

dlouhodobé profylaxe dostupné v režimu individuální úhrady podle § 16 zákona č. 48/1997 Sb., o veřejném zdravotním pojištění. U dětských pacientů je ikatibant rovněž dostupný cestou individuální úhrady podle § 16 uvedeného zákona. V době přípravy tohoto článku jsou garadacimab a donidalorsen dostupné na základě individuální úhrady podle § 16 zákona č. 48/1997 Sb., o veřejném zdravotním pojištění.

Centralizace péče do omezeného počtu center umožňuje zachování vysoké odbornosti a zkušenosti s diagnostikou a léčbou tohoto vzácného onemocnění a současně zajišťuje pacientům přístup k moderní terapii.

Závěr

Léčba HAE-C1-INH prošla v posledních letech zásadním vývojem. Moderní cílená léčba umožňuje u většiny pacientů významně snížit frekvenci atak a v řadě případů dosáhnout jejich úplné eliminace. Současný trend směřuje k jednodušším formám podání, individualizované terapii a v budoucnu potenciálně i ke kurativním přístupům založeným na genové terapii. Cílem léčby již není pouze zvládnutí jednotlivých atak, ale dosažení plné kontroly onemocnění a normalizace kvality života pacientů.

PROHLÁŠENÍ AUTORŮ: Prohlášení o původnosti: Publikace byla zpracována s využitím uvedené literatury a nebyla publikována ani zaslána k recenznímu řízení do jiného média. **Střet zájmů:** Žádný. **Financování:** Ne. **Registrace v databázích:** N/A. **Projednání etickou komisí:** N/A.

LITERATURA

1. Reshef A, Buttgerit T, Betschel SD, et al. Definition, acronyms, nomenclature, and classification of angioedema (DANCE): AAAAI, ACAAI, ACARE, and APAAACI DANCE consensus. *J Allergy Clin Immunol*. 2024;154(2):398-411.e1.
2. Vázquez DO, Giavina-Bianchi P, Josviack D, et al. The 2025 WAO Guidelines for the classification, diagnosis, and treatment of hereditary angioedema, with consideration of worldwide disparities. *World Allergy Organ J*. 2026;19(5):101335.
3. Bork K, Wulff K, Witzke G, et al. Hereditary angioedema with normal C1-INH with versus without specific F12 gene mutations. *Allergy*. 2015;70(8):1004-1012.
4. Bork K, Machnig T, Wulff K, et al. Clinical features of genetically characterized types of hereditary angioedema with normal C1 inhibitor: a systematic review of qualitative evidence. *Orphanet J Rare Dis*. 2020;15(1):289.
5. Baroš J, Hakl R, Pešák S, et al. Angioedém jako nežádoucí účinek léčby různými farmaky. *Vnitřní lékařství*. 2025;71(8):517-523.
6. Riedl MA, Bernstein JA, Li H, et al. Recombinant human C1-esterase inhibitor relieves symptoms of hereditary angioedema attacks: phase 3, randomized, placebo-controlled trial. *Ann Allergy Asthma Immunol*. 2014;112(2):163-169.e1.
7. Bork K. Pasteurized and nanofiltered, plasma-derived C1 esterase inhibitor concentrate for the treatment of hereditary angioedema. *Immunotherapy*. 2014;6(5):533-551.
8. Moldovan D, Bernstein JA, Cicardi M. Recombinant replacement therapy for hereditary angioedema due to C1 inhibitor deficiency. *Immunotherapy*. 2015;7(7):739-752.
9. Cicardi M, Banerji A, Bracho F, et al. Icatibant, a new bradykinin-receptor antagonist, in hereditary angioedema. *N Engl J Med*. 2010;363(6):532-541.
10. Cicardi M, Levy RJ, McNeil DL, et al. Ecallantide for the treatment of acute attacks in hereditary angioedema. *N Engl J Med*. 2010;363(6):523-531.
11. Riedl MA, Farkas H, Aygören-Pürsün E, et al. Oral Sebetralstat for On-Demand Treatment of Hereditary Angioedema Attacks. *N Engl J Med*. 2024;391(1):32-43.
12. Maurer M, Stobiecki M, Valeriewa A, et al. Oral deucricitibant for on-demand treatment of hereditary angioedema attacks (RAPiDe-1): a randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 2 trial. *Lancet Haematol*. 2026;13(4):e200-e214.
13. Zanichelli A, Ghezzi M, Santicchia I, et al. Short-term prophylaxis in patients with angioedema due to C1-inhibitor deficiency undergoing dental procedures: An observational study. *PLoS One*. 2020;15(3):e0230128.
14. Longhurst HJ, Cancian M, Grivcheva-Panovska V, et al. Hereditary Angioedema Attacks in Patients Receiving Long-Term Prophylaxis: A Systematic Review. *Clin Rev Allergy Immunol*. 2024;67(1-3):83-95.
15. Banerji A, Busse P, Shennak M, et al. Inhibiting Plasma Kallikrein for Hereditary Angioedema Prophylaxis. *N Engl J Med*. 2017;376(8):717-728.
16. Riedl MA, Bernstein JA, Craig T, et al. An open-label study to evaluate the long-term safety and efficacy of lanadelumab for prevention of attacks in hereditary angioedema: design of the HELP study extension. *Clin Transl Allergy*. 2017;7:36.
17. Valeriewa A, Senter R, Wu MA, et al. Lanadelumab for the prevention of attacks in hereditary angioedema. *Expert Rev Clin Immunol*. 2019;15(12):1239-1248.
18. Buttgerit T, Vera C, Weller K, et al. Lanadelumab Efficacy, Safety, and Injection Interval Extension in HAE: A Real-Life Study. *J Allergy Clin Immunol Pract*. 2021;9(10):3744-3751.
19. Zuraw B, Lumry WR, Johnston DT, et al. Oral once-daily berotralstat for the prevention of hereditary angioedema attacks: A randomized, double-blind, placebo-controlled phase 3 trial. *J Allergy Clin Immunol*. 2020.
20. Longhurst H, Cicardi M, Craig T, et al. Prevention of Hereditary Angioedema Attacks with a Subcutaneous C1 Inhibitor. *N Engl J Med*. 2017;376(12):1131-1140.
21. Bernstein JA, Li HH, Craig TJ, et al. Indirect comparison of intravenous vs. subcutaneous C1-inhibitor placebo-controlled trials for routine prevention of hereditary angioedema attacks. *Allergy Asthma Clin Immunol*. 2019;15:13.
22. Reshef A, Hsu C, Katelaris CH, et al. Long-term safety and efficacy of garadacimab for preventing hereditary angioedema attacks: Phase 3 open-label extension study. *Allergy*. 2025;80(2):545-556.
23. Fung S. Garadacimab: First Approval. *Drugs*. 2025;85(6):827-832.
24. Riedl MA, Tachdjian R, Lumry WR, et al. Efficacy and Safety of Donidalorsen for Hereditary Angioedema. *N Engl J Med*. 2024;391(1):21-31.
25. Riedl MA, Bernstein JA, Jacobs JS, et al. Donidalorsen Treatment of Hereditary Angioedema in Patients Previously on Long-Term Prophylaxis. *J Allergy Clin Immunol Pract*. 2025.
26. Cicardi M, Bergamaschini L, Cugno M, et al. Long-term treatment of hereditary angioedema with attenuated androgens: a survey of a 13-year experience. *J Allergy Clin Immunol*. 1991;87(4):768-773.
27. Gelfand JA, Sherins RJ, Alling DW, et al. Treatment of hereditary angioedema with danazol. Reversal of clinical and biochemical abnormalities. *N Engl J Med*. 1976;295(26):1444-1448.
28. Bork K, Wulff K, Steinmüller-Magin L, et al. Hereditary angioedema with a mutation in the plasminogen gene. *Allergy*. 2018;73(2):442-450.
29. Bork K, Wulff K, Witzke G, et al. Treatment of patients with hereditary angioedema with the c.988 A>G (p.Lys330Glu) variant in the plasminogen gene. *Orphanet J Rare Dis*. 2020;15(1):52.
30. Longhurst HJ, Lindsay K, Petersen RS, et al. CRISPR-Cas9 In Vivo Gene Editing of KLKB1 for Hereditary Angioedema. *N Engl J Med*. 2024;390(5):432-41.
31. Cohn DM, Gurugama P, Magerl M, et al. CRISPR-Based Therapy for Hereditary Angioedema. *N Engl J Med*. 2025;392(5):458-467.
32. Buttgerit T, Aulenbacher F, Adatia A, et al. Unmet needs in hereditary angioedema: an international survey of physicians. *Orphanet J Rare Dis*. 2025;20(1):383.