

Leiter der
PCD Ambulanz für
Kinder & Erwachsene

Management und neue Therapien für pädiatrische PCD Patienten

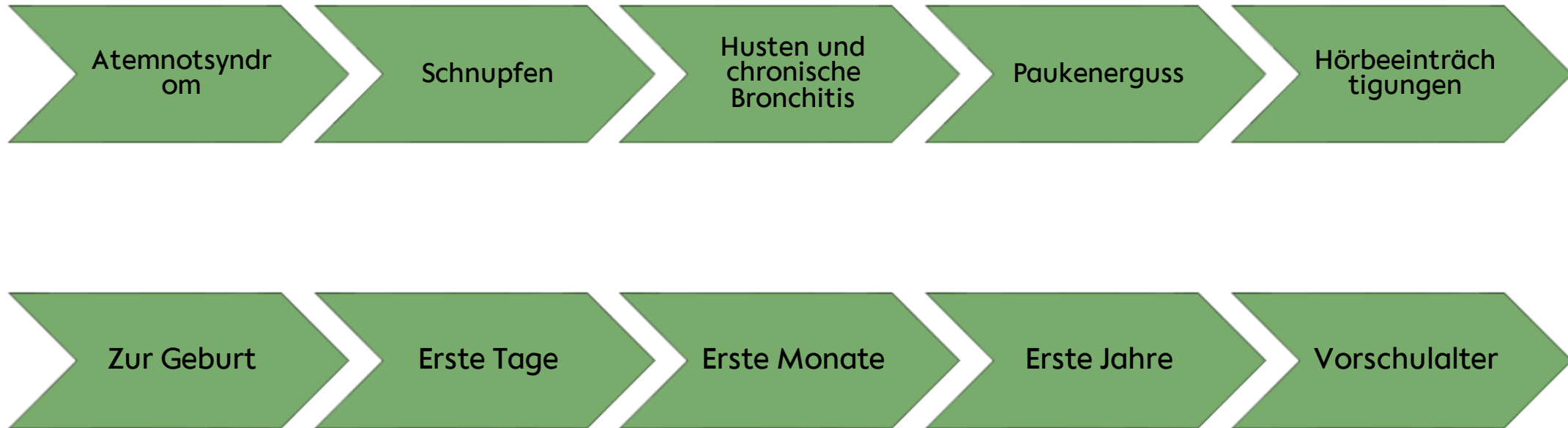
Dr. Jobst Röhmel | 21. November 2023 | BEAT-PCD Online
Patient Conference



Was sind die Hauptprobleme für pädiatrische PCD Patienten?

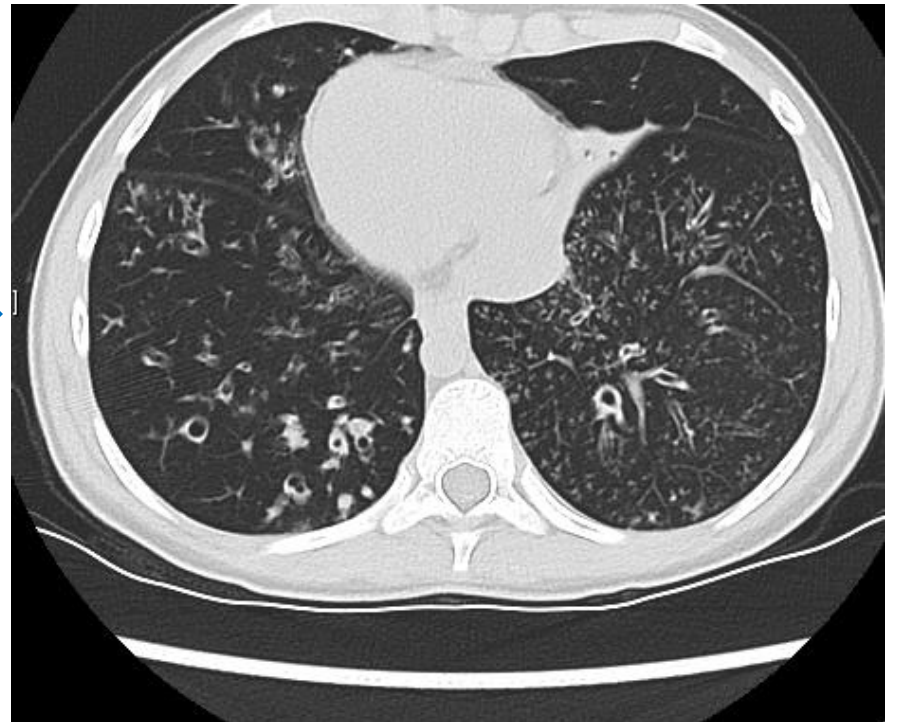
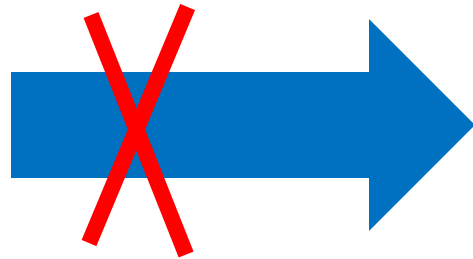
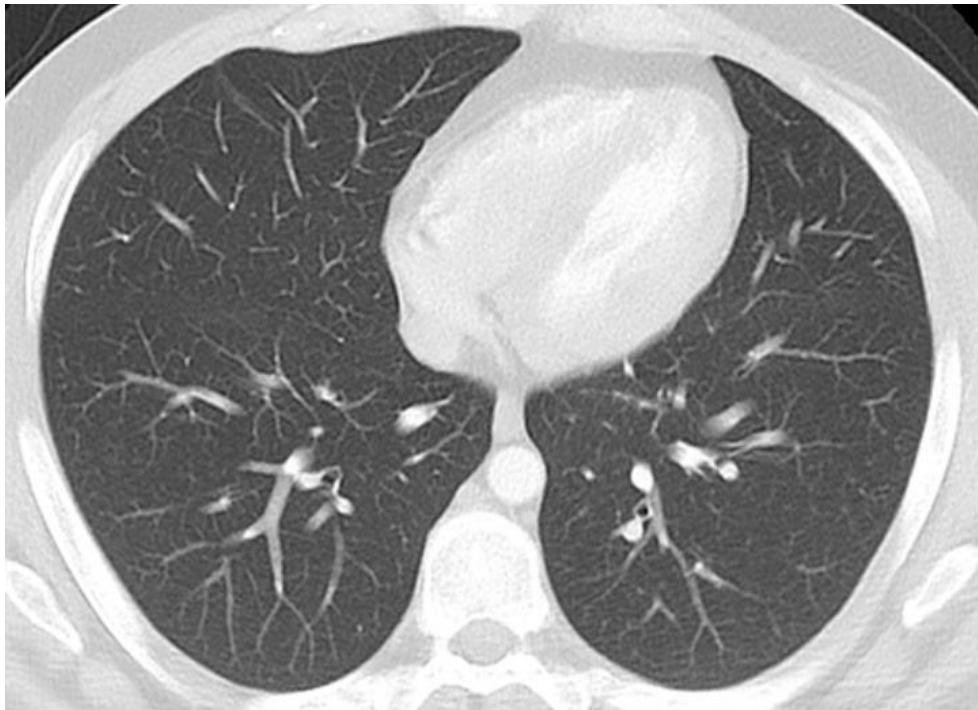
Eingeschränkte Selbstreinigungsfunktion der oberen und unteren Atemwege

Beginn der PCD Symptome



Grundprinzip der PCD Behandlung

Verhinderung von Krankheitsmanifestation und des Fortschritts



Überwachung der PCD Erkrankung

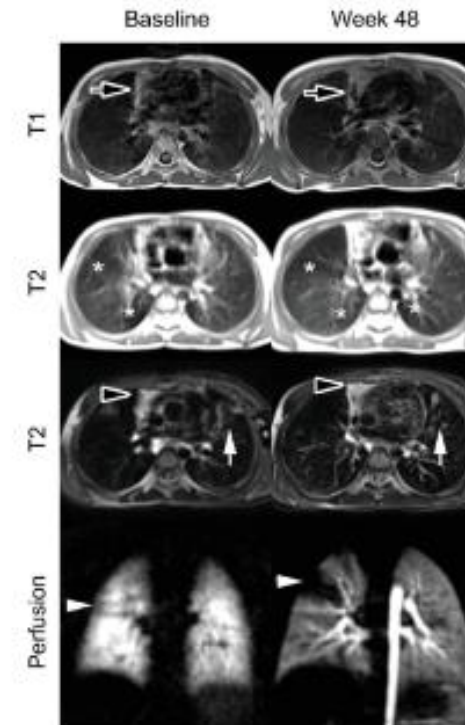
- Es gibt keine Heilung bisher – das heißt eine lebenslange symptomatische Therapie ist notwendig
- Die Therapie erfordert eine regelmäßige Verlaufskontrolle

Verlaufskontrolle alle 3 Monate:

- i. Untersuchung
- ii. Sputumkulturen
- iii. Lungenfunktion

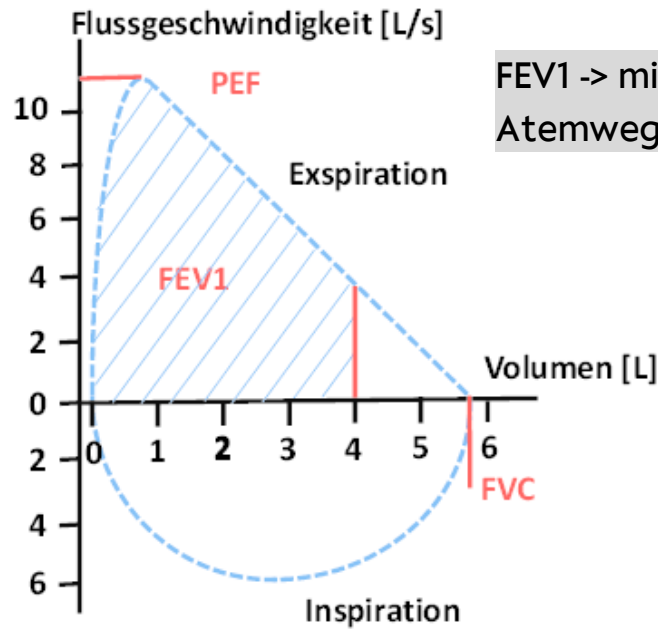
Jahres Check-Up

- i. Untersuchung
- ii. Sputumkulturen
- iii. Lungenfunktion
- iv. Blutuntersuchungen -Blutbild, Allergietest, ABPA Screening, Pseudomonas Antikörper
- v. Hörtests und HNNO Untersuchung
- vi. Bildgebung der Lunge
- vii. Physiotherapieschulung und Sozialberatung



Überwachung der Lungenfunktion bei PCD

Spirometry – FEV1

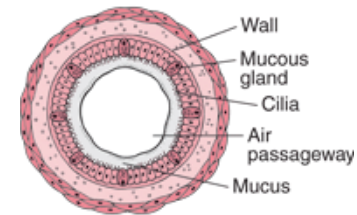


FEV1 -> mittlere und große Atemwege

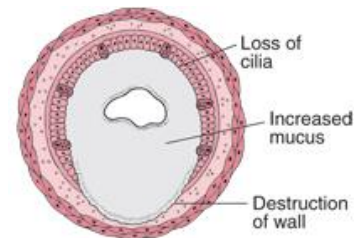
Multiple Breath Washout – Lung Clearance Index



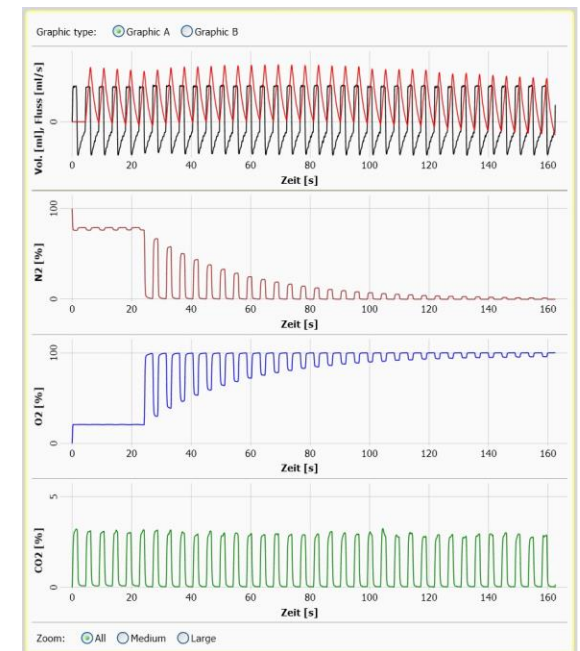
LCI -> kleine Atemwege



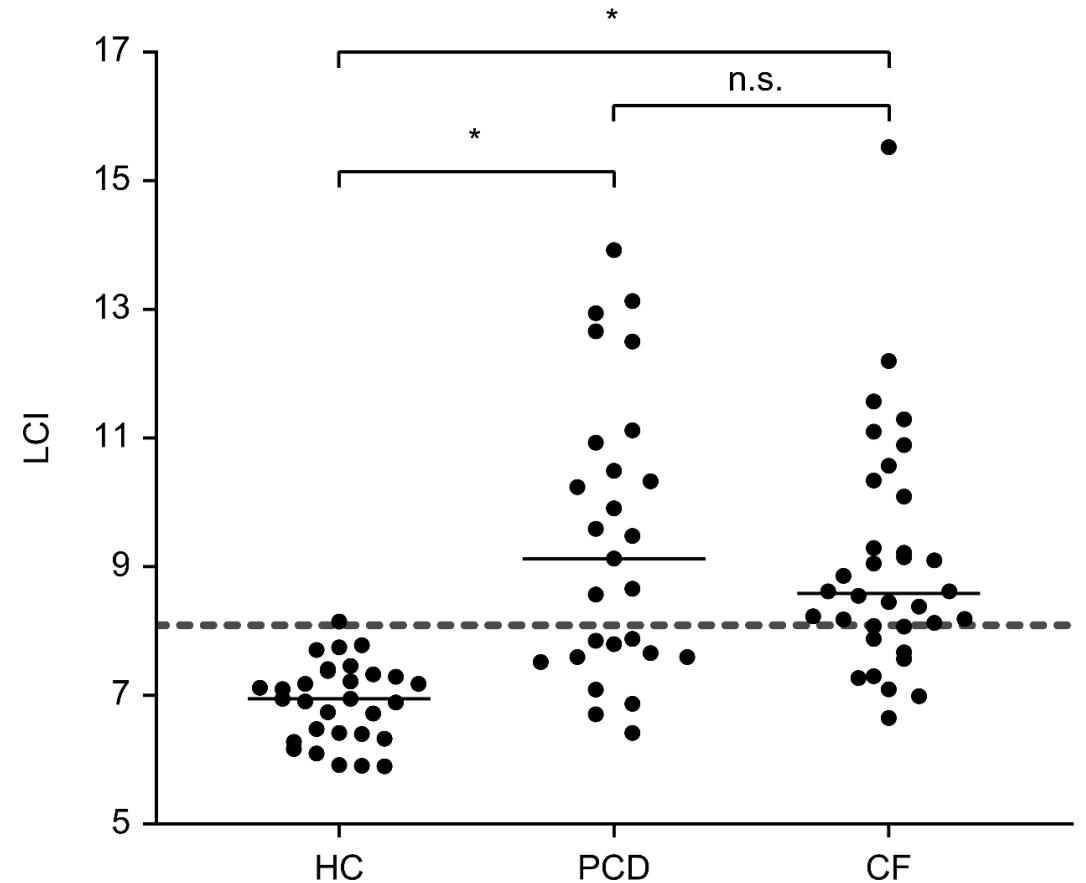
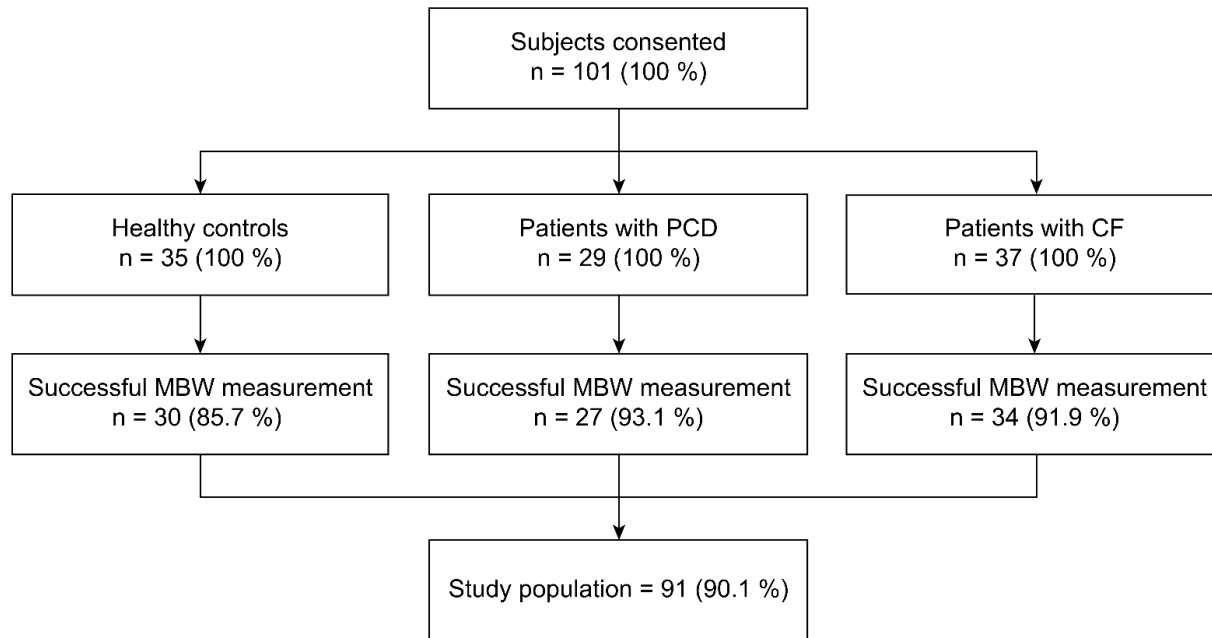
Normal Bronchus



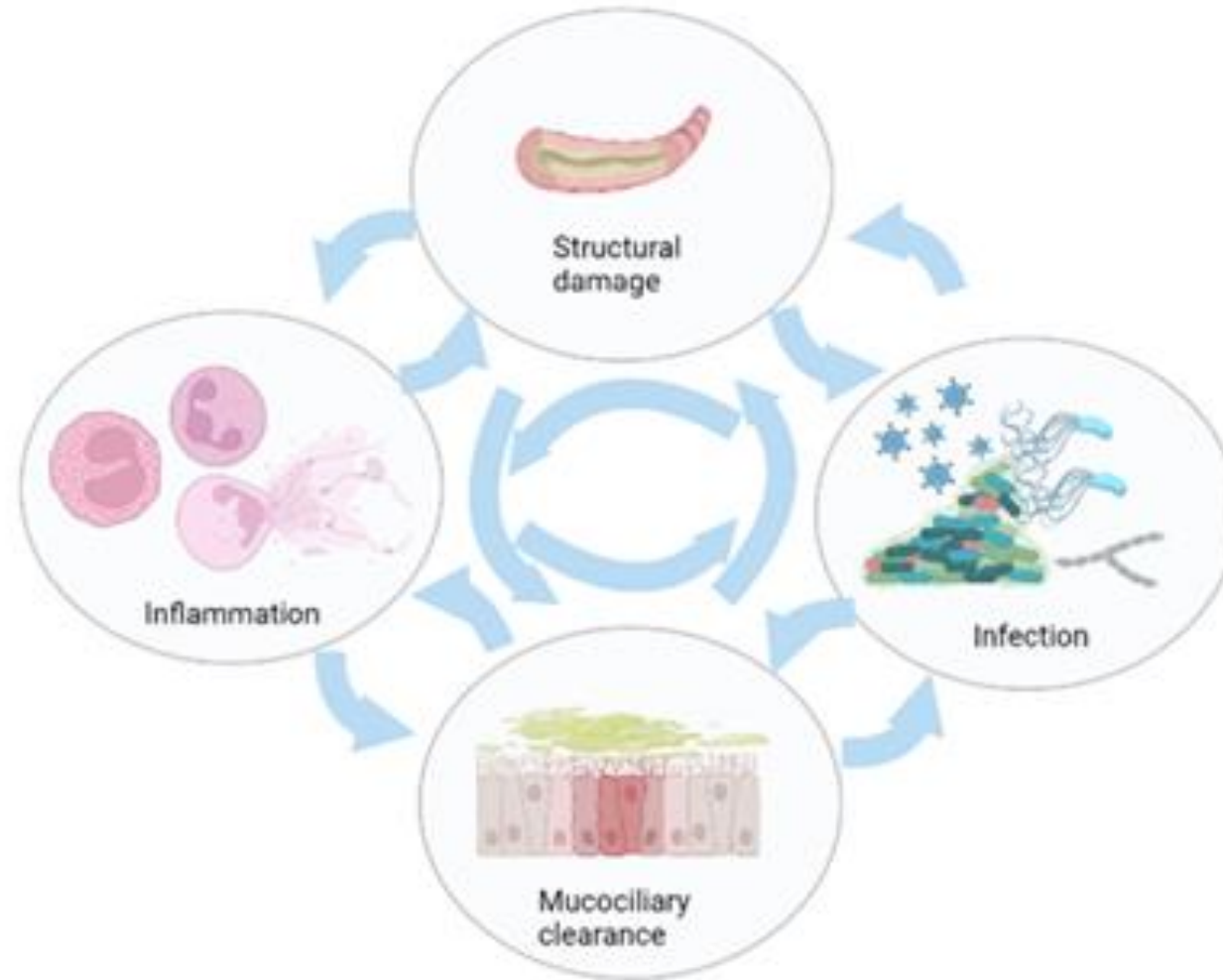
Bronchiectasis



Kleinkinder mit PCD haben mit CF vergleichbare Einschränkung der Lungenfunktion



Teufelskreis der Bronchiektasenentwicklung bei PCD



Therapien für PCD

Mukolytische
Therapie

Physio-
therapie
Autogene
Drainage

Anti-
entzündlich

Anti-
infektiv

HNO

Sport

Mukolytische Inhalationen

- Tägliche Feuchtinhalationen mit 2 x 4 ml (NaCl 6%) mit Inhalationsgerät
- Inhalative Corticosteroide sind KEINE Standardtherapie für PCD, nur indiziert wenn auch allergisches Asthma vorliegt.
- *Zukunft: ENAC Inhibition?*



Therapie: Nasenspülungen



- Tägliches Spülen beider Nasenöffnungen mit 20-100ml NaCl 0,9% (oder höher %)

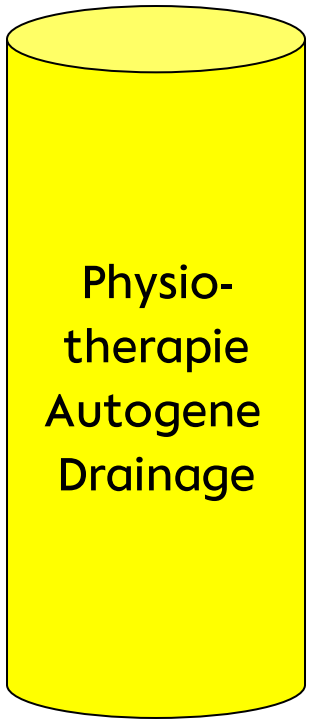
Physiotherapie & autogene Drainage

- **Physiotherapie** 1-2x per week
- **Tägliche** autogene **Drainage**
- **Bewegungsübungen**, z.B. Trampolin



Hustentechnik und Sekretolyse

- Gute Husten- und Niestechniken zur Schleimbeseitigung müssen von einem Physiotherapeuten vermittelt werden
- Hilfsmittel wie Flutter, Cornet, PEP, ... können hilfreich sein.
- Im Gegensatz zur Mukoviszidose ist der Schleim eher dünnflüssig und kann mechanisch mobilisiert werden.



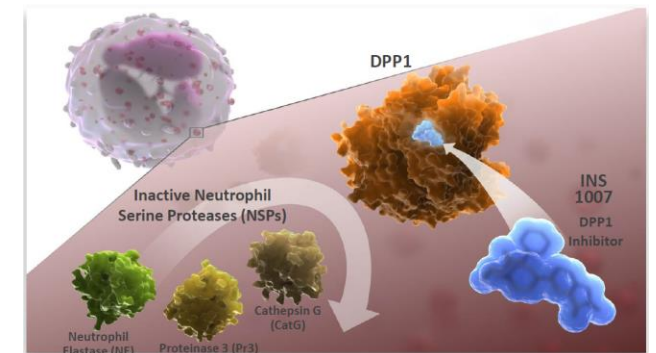
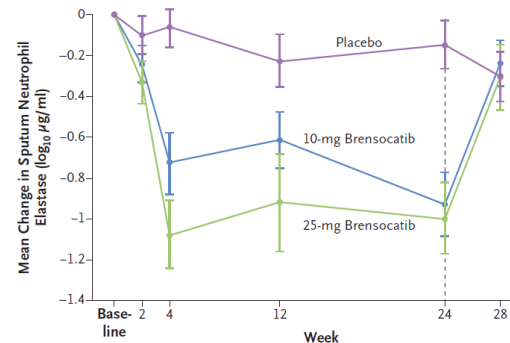
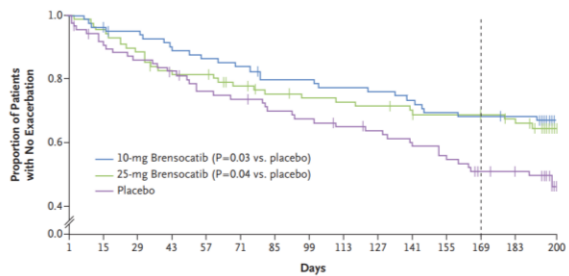
Antiendzündliche Behandlung

- Azithromycin – Dauertherapie
3 x / Woche, 10mg pro kg Körpergewicht – sicher & effizient
- Steroide
- Inhalativ nur bei zusätzlichem allergischen Asthma
- Systemisch ggf. im Falle obstruktiver Exazerbationen
- Topische Steroide sind häufig Basistherapie für die Nase



Kobbernagl et al , Lancet Resp. Med. 2021
Stick et al., Lancet Resp. Med. 2022
Chalmers et al, NEJM, 2022

Nahe Zukunft: Cathepsin C Hemmung



Chalmers JD, et al. *N Engl J Med.* 2020; McKelvey MC, et al. *Am J Respir Crit Care Med.* 2020

DPP1, dipeptidyl peptidase 1

Korkmaz B, et al. *Semin Immunopathol.* 2013;35(4):411; Doyle K, et al. *J Med Chem.* 2016;59:9457.

Anti-infektive Behandlung

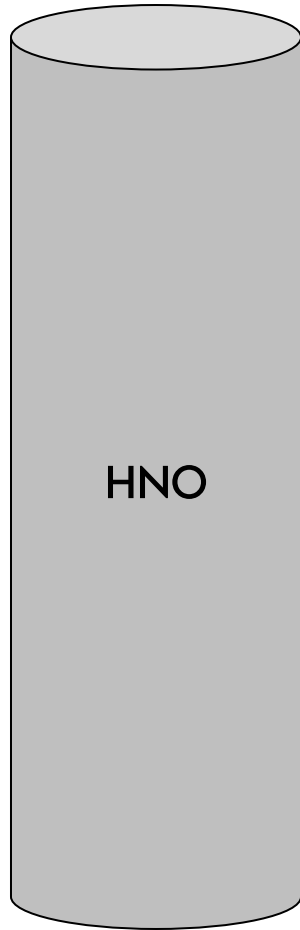
- Konzepte:
 - **Kolonoisation** vs. pulmonale **Exazerbation**
 - Sputumüberwachung: **Sputumkultur** oder Rachenabstriche alle 3 Monate
- Für **Exazerbationen** (Akute Bronchitis) 14 Tage zielgerichtete Antibiotika
 - Standard für Patienten mit Staph. aureus und Haemophilus
 - Oral Amoxicillin/ Clavulansäure
- Für **Pseudomonas aeruginosa**
 - Erstnachweis → Eradikationstherapie (oral/inhal/IV)
 - Exazerbationen → Antibiotikatherapie (14Tage) (oral/inhal/IV)
 - Chronisch → Suppressionstherapie (inhal)



Anti-
Infektive
Therapie

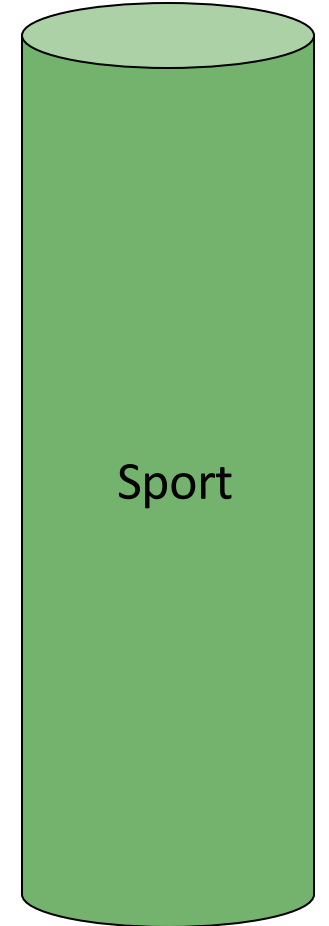
HNO Bereich

- Oft werden HNO-Eingriffe schon durchgeführt, bevor die PCD-Diagnose steht.
- Bei Vorschulkindern mit PCD kommt es sehr häufig zu einer Hörbeeinträchtigung aufgrund eines Paukenergusses
- Paukenröhrchen sollten nicht die erste Wahl sein!
- Niedrige Schwelle für verürbegehende Hörgeräte
- Lokale und systemische Antibiotika
- Tägliche Nasenspülungen
- Kortikosteroide zur topischen Anwendung in der Nase
- Auch bei Nasenpolypen ist eine Operation nicht die erste Wahl



Körperliche Bewegung ist ebenso wichtig wie die anderen Behandlungen

- Jede Sportart ist äußerst förderlich für den Verlauf der PCD-Erkrankung
- Kinder sollten so früh wie möglich mit dem Sport beginnen.



Weitere Präventionsmaßnahmen

- Impfungen
- Geringe Luftverschmutzung in Wohnung und Umgebung
- KEIN ZIGARETTENRAUCH
- Rehabilitation
- Psychologische Beratung
- Sozialberatung

Zusammenfassung

- Bei der PCD-Therapie geht es vor allem um die Prävention der Manifestation und des Fortschreitens der Krankheit
- Dafür braucht man
- Krankheitsüberwachung
- Schleimbeseitigung
- Entzündungskontrolle
- Infektionskontrolle
- Es gibt gute etablierte Therapien mit wenig Evidenz
- NEUE SPEZIFISCHE THEAPIEN sind auf dem Weg und werden den pädiatrischen Patienten innerhalb von 2-10 Jahren zur Verfügung stehen

Greeting from the pediatric and adult PCD Team at Charité Universitätsmedizin Berlin



Speaker contact: Dr. Jobst Röhmel, jobst.roehmel@charite.de

Head of PCD-Clinic Berlin