

+++ MEDIZIN-TELEGRAMM +++

Selbstbestimmt leben mit Hämophilie

Start der Filmreihe „Liberate Life on Tour“

6. März 2020 - Die neue Filmreihe „Liberate Life on Tour“ von Sobi feierte nun im Rahmen der 64. Jahrestagung der Gesellschaft für Thrombose- und Hämostaseforschung (GTH) Premiere. Die Filme zeigen, dass Menschen mit Hämophilie ein selbstbestimmtes Leben führen können. Zentrale Voraussetzung ist ein sicherer Blutungs- und Gelenkschutz. Hierbei hat sich die individuelle Prophylaxe mit den Halbwertszeit-verlängerten Faktorpräparaten Elocta® und Alprolix® langfristig bewährt.¹⁻¹⁰

Sobis Vision ist es, Menschen mit Hämophilie ein freies und aktives Leben ohne Einschränkungen zu ermöglichen. Sie wird kurz „Liberate Life“ benannt. Denn noch immer begegnen Hämophilie-Patienten viele Herausforderungen. Das verdeutlicht auch eine aktuelle ethnografische Studie, die Alltagserfahrungen von Patienten mit Hämophilie und deren Angehörigen in Europa näher beleuchtet hat.¹¹ Nach wie vor scheint es einen ungedeckten Bedarf an mehr Flexibilität und Individualisierung bei den bestehenden Therapieansätzen zu geben.¹¹ Um zu zeigen, wie Menschen mit Hämophilie heute leben, hat sich „Liberate Life“ jetzt mit dem Schauspieler und Moderator Michael Kessler auf den Weg quer durch Deutschland gemacht. Dabei ist die Filmreihe „Liberate Life on Tour“ entstanden, die auf der Jahrestagung der Gesellschaft für Thrombose- und Hämostaseforschung (GTH) 2020 in Bremen erstmals einem großen medizinischen Fachpublikum präsentiert wurde. Gespräche mit Patienten und ihren behandelnden Ärzten veranschaulichen darin deutlich, wie Menschen mit Hämophilie heute ein selbstbestimmtes Leben führen können, das nicht von ihrer Erkrankung bestimmt wird. Möglich wird dies unter anderem durch eine individuelle Prophylaxe mit Halbwertszeit-verlängerten Faktorpräparaten, wie die beiden Fc-Fusionsproteine Elocta® (Efmoroctocog alfa, rFVIII Fc) und Alprolix® (Eftrenonacog alfa, rFIX Fc) bei Hämophilie A bzw. Hämophilie B.^{1,2}

Leistungssport und Hämophilie? Das ist für Martin möglich – dank individueller Prophylaxe

Der Schlüssel liegt dabei in einem wirksamen Blutungs- und Gelenkschutz, zu jeder Zeit.¹² Die Prophylaxe mit Elocta® bzw. Alprolix® lässt sich durch das flexible Dosierungsschema an die individuellen Bedürfnisse von Patienten anpassen und kann auch bei hoher körperlicher Aktivität einen sicheren Schutz vor Blutungen bieten.¹⁻⁸ Welche Auswirkungen dies auf das Leben von Patienten haben kann, demonstriert Martin, einer der Patienten in „Liberate Life on Tour“, eindrucksvoll: Martin ist 20 Jahre alt und hat schwere Hämophilie B. Trotzdem ist er seit Kindertagen sportlich aktiv und spielt erfolgreich im Tischtennisverein. Unter der individuellen Prophylaxe mit Alprolix® fühlt er sich so sicher, dass er sogar einige Zeit auf Reisen in Australien und Neuseeland verbracht hat. Sein behandelnder Arzt Dr. Dr. Christoph Königs, Facharzt im Gerinnungszentrum der Klinik für Kinder- und Jugendmedizin des Universitätsklinikums Frankfurt am Main, benennt die Vorteile der individuellen Therapie aus medizinischer Sicht: „Die Therapie auf das Leben des Menschen einzustellen, rückt zunehmend in den Fokus der Hämophilie-Behandlung. Man versucht dabei beispielsweise, die Injektionen des Faktorpräparats und damit den Spitzenspiegel auf die Tage mit der größten körperlichen Aktivität zu legen. Durch die zeitliche Abstimmung der Faktorgaben können bei körperlichen Aktivitäten ohne einen höheren Verbrauch annähernd normale Faktorwerte mit einem entsprechenden Blutungsschutz erreicht werden.“

„Liberate Life on Tour“ machte darüber hinaus Halt bei Prof. Dr. Andreas Tiede und Dr. Ivonne Wieland von der Medizinischen Hochschule Hannover sowie bei Prof. Dr. Johannes Oldenburg und Dr. Georg Goldmann, Universitätsklinikum Bonn.

Alle Filme sind online unter www.sobi-deutschland.de/liberate-life-on-tour abrufbar.

Effektiver Gelenkschutz unter Fc-Fusionsproteinen

Finale Auswertungen der Langzeitstudien ASPIRE und B-YOND zeigen, dass sich die individuelle Prophylaxe mit den Fc-Fusionsproteinen Elocta® und Alprolix® positiv auf die Gelenkgesundheit auswirkte.^{5,8,10} In beiden Studien blieben die medianen annualisierten Blutungsraten (annualized bleeding rates, ABRs) unter individueller Prophylaxe mit Elocta® bzw. Alprolix® während des gesamten Follow-ups in allen Altersgruppen niedrig, insbesondere in Bezug auf Gelenkblutungen.^{5,8} So lag die mediane spontane Gelenkblutungsrate unter individueller Prophylaxe sowohl unter Elocta® als auch unter Alprolix® bei 0 (ASPIRE: Erwachsene und Jugendliche ≥ 12 Jahre: 0,0 [0,0–0,7], Kinder < 12 Jahre: 0,0 [0,0–0,6]; B-YOND: Erwachsene und Jugendliche ≥ 12 Jahre: 0,4 [0,0–1,4], Kinder 6 bis < 12 Jahre: 0,0 [0,0–0,3]).^{5,8}

Die individuelle Prophylaxe mit Elocta® oder Alprolix® kann nicht nur Gelenkblutungen verhindern, sondern sogar den Gelenkstatus verbessern: Von A-LONG-Baseline bis zum Ende von ASPIRE betrug die mediane Veränderung des mHJHS (modified Haemophilia Joint Health Score) bei Jugendlichen und Erwachsenen -5,0, wobei negative Werte eine positive Entwicklung abbilden.⁹ In B-YOND wurden unter Alprolix® 100 % (93/93) der Zielgelenke bei jugendlichen und erwachsenen Patienten (n=37) behoben.¹⁰

Referenzen:

1. Fachinformation Elocta®; Stand: Juli 2019.
2. Fachinformation Alprolix®; Stand: Juli 2018.
3. Mahlangu J, Powell JS, Ragni MV, et al. Phase 3 study of recombinant factor VIII Fc fusion protein in severe hemophilia A. *Blood* 2014;123(3):317–25.
4. Young G, Mahlangu J, Kulkarni R, et al. Recombinant factor VIII Fc fusion protein for the prevention and treatment of bleeding in children with severe hemophilia A. *J Thromb Haemost* 2015;13(6):967–77.
5. Nolan B, Mahlangu J, Young G, et al. ASPIRE final results confirm established safety and sustained efficacy for up to 4 years of treatment with rFVIII Fc in previously treated subjects with severe hemophilia A. *Blood* 2018;132(suppl 1):abstr. 1192.
6. Powell JS, Pasi KJ, Ragni MV, et al. Phase 3 study of recombinant factor IX Fc fusion protein in hemophilia B. *N Engl J Med* 2013;369(24):2313–23.
7. Fischer K, Kulkarni R, Nolan B, et al. Recombinant factor IX Fc fusion protein in children with haemophilia B (Kids B-LONG): results from a multicentre, non-randomised phase 3 study. *Lancet Haematol* 2017;4(2):e75–82.
8. Ragni M, Kulkarni R, Pasi KJ, et al. B-YOND final results confirm established safety, sustained efficacy, and extended dosing interval for up to 4 years of treatment with rFIX Fc in previously treated subjects with severe hemophilia B. *Blood* 2018;132(suppl 1):1214.
9. Oldenburg J, Pasi KJ, Pabinger I, et al. Improvements in joint health during long-term use of recombinant factor VIII Fc fusion protein prophylaxis in subjects with haemophilia A. P158. 12th Annual Congress of the European Association for Haemophilia and Allied Disorders, 6–8 February 2019, Prague, Czech Republic.
10. Kulkarni R, Pasi KJ, Feng J, et al. Target joint outcomes with prophylaxis with rFIX Fc in adults and adolescents with hemophilia B: updated results from B-YOND. *Res Pract Thromb Haemost* 2017;1(Suppl 1):PB 961.
11. Brok-Kristensen M, Gargeya Y, Stevens J, et al. Living well with haemophilia: the everyday experience of haemophilia in Europe in 2018. European Congress on Thrombosis and Haemostasis, October 2–4, 2019, Glasgow, United Kingdom.
12. Iorio A, Iserman E, Blanchette V, et al. Target plasma factor levels for personalized treatment in haemophilia: a Delphi consensus statement. *Haemoph Off J World Fed Hemoph* 2017;23(3):e170–9.

Quelle:

Sobi-Symposium, im Rahmen der 64. Jahrestagung der Gesellschaft für Thrombose- und Hämostasieforschung (GTH) Bremen, 19. Februar 2020

+++ MEDIZIN-TELEGRAMM +++