



## **Konsensus über die Therapie mit Gerinnungspräparaten bei Patienten mit Hämophilie mit Schwerpunkt auf den primär unbehandelten Patienten (PUP)**

**Überarbeitet in der Sitzung des Wissenschaftlichen Beirates der Österreichischen Hämophilie Gesellschaft am 20. November 2020**

Der Konsensus bezieht sich auf den derzeitigen Stand der Wissenschaft, der sich kurzfristig ändern kann. Der Konsensus wird daher einmal jährlich durch den Wissenschaftlichen Beirat der ÖHG auf Aktualität geprüft.

In Österreich sind aus menschlichem Plasma gewonnene Faktorenkonzentrate und gentechnisch hergestellte und zur Verlängerung der Halbwertszeit modifizierte („Extended Half-Life“, EHL) Faktorenkonzentrate für Prophylaxe und Therapie der Hämophilie A und B, sowie ein Nicht-Faktorpräparat (Emicizumab) für die Prophylaxe bei Hämophilie A mit oder ohne FVIII Hemmkörper zugelassen.

Plasmapräparate bergen nach aktuellem Wissen ein äußerst geringes Infektionsrisiko in sich. Ein theoretisches Risiko für Infektionen kann auch für rekombinante Produkte nicht gänzlich ausgeschlossen werden. Das Auftreten eines Inhibitors in den ersten Behandlungstagen (zumeist bis zum 75. Behandlungstag) ist derzeit die schwerwiegendste Komplikation der Hämophilie-Therapie bei primär unbehandelten Patienten (PUPs) mit Hämophilie A und B. Das Risiko, Hemmkörper zu entwickeln, hängt von der genetischen Prädisposition und anderen Faktoren, wie z.B. der Art des Produktes und der Behandlung ab. Bei PUPs mit schwerer Hämophilie A gibt es Hinweise für ein höheres Inhibitorrisiko bei Behandlung mit rekombinanten im Vergleich zu plasmatischen Produkten. Dies wird auch durch eine Interventionsstudie (SIPPET-Studie, NEJM 2016, 374: 2054-64) untermauert.

Modifizierte gentechnisch hergestellte Faktorenkonzentrate mit verlängerter Halbwertszeit (EHL) haben Vorteile für die praktische Anwendung. Eine umfassende Bewertung der Sicherheitsaspekte von EHL (Inhibitorinzidenz, Polyethylenglykol[PEG]-Akkumulation, etc.) mit diesen neuen Produkten ist derzeit noch nicht abgeschlossen. Der Wissenschaftliche Beirat empfiehlt daher ausdrücklich die Behandlung sowohl von vorbehandelten als auch primär unbehandelten Patienten mit neuen Präparaten im Rahmen von prospektiven Studien und Registern zu dokumentieren.



Büro (Mo 10 - 12 Uhr) Tel. +43(1)595 37 33, Fax +43(1)595 3733-67, Mobil +43(676)5303000

E-Mail: [office@bluter.at](mailto:office@bluter.at) - [www.bluter.at](http://www.bluter.at)

P.S.K. IBAN AT98 6000 0000 0721 0628 BIC OPSKATWW

Erste Bank IBAN AT30 2011 1000 0311 9823 BIC GIBAATWWXXX

ZVR:951039816

Für Emicizumab gibt es für Nicht-Hemmkörper-Patienten unter 12 Jahren keine Studiendaten, insbesondere bei PUPs auch kaum klinische Erfahrungen. Eine Behandlung von PUPs oder mit Faktorkonzentrat vorbehandelten Kleinkindern mit Emicizumab sollte ausschließlich innerhalb von Studien/Registern erfolgen.

Nach möglichst vollständiger Information über Vor- und Nachteile soll eine individuelle Wahl des Präparates gemeinsam mit dem Patienten beziehungsweise dessen Eltern getroffen werden.

Dieser Konsensus findet bei 100% (n=20) des Wissenschaftlichen Beirates, die bei der Sitzung anwesend waren, Zustimmung.