

This Week in Hemophilia

Made with ❤️ by Tiago Lopes, PhD, Research Scientist
Nezu Life Sciences, Germany

19.November.2024

Auswirkungen und Kosten von Emicizumab im Vergleich zu FVIII-Konzentraten

Link: <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.1002/pbc.31351>

Diese Studie befasste sich mit schwerer Hämophilie A (SHA) bei Kindern, einer Erkrankung, bei der dem Blut Faktor VIII (FVIII) fehlt - ein entscheidendes Protein für die Blutgerinnung. Dieser Mangel führt zu häufigen, manchmal gefährlichen Blutungen, insbesondere in die Gelenke. Die herkömmliche Behandlung besteht aus regelmäßigen Infusionen von FVIII-Konzentraten (CFC). Diese Behandlung ist jedoch belastend, da sie häufige intravenöse Zugänge erfordert und Risiken wie Infektionen oder Venenschäden erhöht. Eine neuere Therapie, Emicizumab, bietet eine bequemere subkutane Injektion. Obwohl Emicizumab bei älteren Kindern und Erwachsenen umfassend untersucht wurde, ist wenig darüber bekannt, wie es im Vergleich zu CFC bei jüngeren Kindern ohne Inhibitoren – einer Komplikation, bei der der Körper die FVIII-Behandlung abstößt – abschneidet.

Die Forscher führten eine retrospektive Selbstkontrollstudie durch und analysierten die Krankenakten von 15 Kindern unter 12 Jahren, die von CFC auf Emicizumab umgestellt hatten. Durch den Vergleich der Blutungsgeschichte jedes Kindes über gleich lange Behandlungszeiträume hinweg bewerteten sie Ergebnisse wie die jährliche Blutungsrate (ABR), die Gelenkgesundheit und die Kosten. Die Studie vermied mögliche Verzerrungen, indem sie für beide Behandlungsphasen die gleiche Dauer der Datenerfassung nutzte.

Die Ergebnisse zeigten, dass Emicizumab im Vergleich zu CFC Blutungen in Gelenke und spontane Blutungen deutlich reduzierte. Muskelblutungen traten jedoch unter Emicizumab etwas häufiger und schwerer auf, obwohl der Unterschied statistisch nicht signifikant war. Zudem beseitigte Emicizumab Komplikationen im Zusammenhang mit zentralen Venenkathetern (CVAD), die bei der CFC-Therapie häufig benötigt werden. Wichtig ist, dass Emicizumab auch deutlich kostengünstiger war und pro Patient jährlich fast 200.000 US-Dollar einsparte.

Diese Ergebnisse unterstreichen das Potenzial von Emicizumab als sicherere, bequemere und kosteneffizientere Alternative für Kinder mit SHA. Die Studie zeigt, dass Emicizumab die Gesamtblutungsrate effektiv reduziert, jedoch Aufmerksamkeit für Muskelblutungen erfordert. Langzeitstudien sind notwendig, um die vollständigen Auswirkungen auf die Gelenkgesundheit und andere Ergebnisse zu verstehen. Für Familien und medizinisches Fachpersonal bekräftigt diese Forschung, dass Emicizumab eine vielversprechende Option darstellt, die das Management von Hämophilie weniger invasiv und zugänglicher macht und die Lebensqualität junger Patienten verbessert.

Chronische Hepatitis-C-Virusinfektion und Lebererkrankungen bei Männern mit Hämophilie

Link: <https://ashpublications.org/bloodadvances/article/8/22/5767/517941/Predictors-of-liver-disease-outcomes-in>

Diese Studie untersuchte den Zusammenhang zwischen chronischen Infektionen mit dem Hepatitis-C-Virus (HCV) und Lebererkrankungen bei Männern mit Hämophilie, einer Blutgerinnungsstörung, bei der das Blut nicht richtig gerinnt. Vor Jahrzehnten wurden viele Menschen mit Hämophilie durch kontaminierte Blutprodukte mit HCV infiziert, was langfristig zu schweren Leberschäden führte. Ziel der Forscher war es, Faktoren zu identifizieren, die das Risiko für schwere Lebererkrankungen (Leberendstadiumerkrankung oder ESLD) und Leberkrebs (hepatozelluläres Karzinom oder HCC) in dieser Gruppe erhöhen.

Hierfür analysierten sie die medizinischen Daten von 121 Männern, die in einem Hämophilie-Zentrum behandelt wurden. Diese Männer waren durchschnittlich 54 Jahre alt und lebten fast ihr gesamtes Leben mit HCV. Die Forscher untersuchten Lebererkrankungen wie ESLD, HCC und den Thrombozytenwert – ein Marker für die Lebergesundheit – mit statistischen Tests, um Muster und Risikofaktoren zu erkennen.

Die Ergebnisse zeigten, dass etwa 20 % der Männer ESLD entwickelten und 6 % an HCC litten. Besonders niedrige Thrombozytenwerte und eine HIV-Koinfektion erhöhten das Risiko für ESLD erheblich. ESLD selbst war der stärkste Risikofaktor für HCC. Die gute Nachricht ist, dass keiner der Männer, die mit modernen antiviralen Therapien behandelt wurden, ESLD entwickelte. Dies unterstreicht die Bedeutung einer frühzeitigen Behandlung von HCV. Dennoch bleibt oft eine Schädigung wie Leberzirrhose bestehen, selbst nachdem das Virus bekämpft wurde, was die Patienten weiterhin anfällig für Komplikationen macht.

Diese Ergebnisse verdeutlichen die anhaltende Belastung durch Lebererkrankungen bei Menschen mit Hämophilie, die mit HCV infiziert wurden. Trotz Fortschritten in der antiviralen Behandlung sind viele weiterhin einem hohen Risiko für schwere Leberprobleme ausgesetzt, insbesondere wenn sie auch HIV haben oder niedrige Thrombozytenwerte aufweisen. Die Studie betont die Notwendigkeit einer regelmäßigen Überwachung der Lebergesundheit in dieser Bevölkerungsgruppe und die entscheidende Rolle antiviraler Therapien bei der Verlangsamung des Fortschreitens von Lebererkrankungen.

Für Betroffene unterstreicht diese Studie die Bedeutung einer proaktiven Überprüfung der Lebergesundheit und die Notwendigkeit, antivirale Therapien mit ihren Ärzten zu besprechen. Sie zeigt auch, dass eine individuell angepasste Versorgung notwendig ist, um langfristige Risiken bei alternden Personen mit Hämophilie und HCV effektiv zu managen.

Emicizumab und erworbene Hämophilie A

Link:

<https://ashpublications.org/bloodadvances/article/doi/10.1182/bloodadvances.2024013882/517940/Real-world-impact-of-emicizumab-amp>

Erworbene Hämophilie A (AHA) ist eine seltene Autoimmunerkrankung, bei der der Körper Antikörper produziert, die den eigenen Faktor VIII angreifen – ein entscheidendes Protein für die Blutgerinnung. Dies führt zu schweren, spontanen Blutungen, die lebensbedrohlich sein können. Die derzeitigen Behandlungen zielen darauf ab, die Blutung zu stoppen und die Antikörper mit

immunsuppressiven Therapien (IST) zu eliminieren. Diese Therapien bergen jedoch erhebliche Risiken, wie schwere Infektionen. Zudem erfordern bestehende Gerinnungstherapien oft Krankenhausaufenthalte und eine komplexe Überwachung, wodurch eine effektive ambulante Versorgung bisher schwierig war.

Die Studie untersuchte den Einsatz von Emicizumab, einem langwirksamen Medikament, das ursprünglich für die Behandlung der angeborenen Hämophilie A entwickelt wurde. Es wirkt wie Faktor VIII und unterstützt die Blutgerinnung, ohne von den Antikörpern angegriffen zu werden, die natürlichen Faktor VIII zerstören. Die Forscher sammelten Daten von 62 Patienten in 12 Behandlungszentren in den USA, die mit Emicizumab gegen AHA behandelt wurden. Die meisten Teilnehmer hatten bei der Diagnose schwere Blutungen, und viele erlebten trotz Standardtherapien anhaltende Blutungen. Emicizumab wurde als vorbeugende Maßnahme eingesetzt, um Blutungen zu kontrollieren, während die Patienten gleichzeitig mit IST behandelt wurden.

Die Ergebnisse zeigten, dass Emicizumab Blutungsereignisse signifikant reduzierte. Nach Beginn der Behandlung hatten 87 % der Patienten keine weiteren Blutungen, und bei den wenigen Durchbruchblutungen handelte es sich um gut kontrollierbare Ereignisse. Emicizumab ermöglichte zudem eine verstärkte ambulante Versorgung, was Krankenhausaufenthalte verkürzte und die Lebensqualität verbesserte. Bei fast 56 % der Patienten trat eine vollständige Remission ein, bei der die Blutungen aufhörten und sich die Faktor-VIII-Werte normalisierten. Wichtiger noch: Nebenwirkungen waren selten, und es traten keine schweren Blutungen oder Infektionen auf, die mit der Behandlung in Verbindung standen.

Die Studie zeigt, dass Emicizumab ein Wendepunkt in der Behandlung von AHA sein könnte. Es ermöglicht eine sichere und effektive ambulante Behandlung und reduziert gleichzeitig die Risiken, die mit IST verbunden sind. Die Kombination von Emicizumab mit gezielter IST könnte die effektivste Strategie sein, um sowohl akute Blutungsrisiken zu mindern als auch langfristige Remissionen zu erreichen. Damit schließt Emicizumab eine wichtige Lücke in der Behandlung und verspricht, die Ergebnisse und die Lebensqualität für Menschen mit dieser herausfordernden Erkrankung zu verbessern.