

# SUBKUTANE BLUTUNGS- PROPHYLAXE



bei Hämophilie A  
mit Hemlibra®  
(Emicizumab)



Interessengemeinschaft  
Hämophiler e.V.

Remmingsheimer Straße 3  
72108 Rottenburg am Neckar  
**Tel.:** 07472 22648  
**E-Mail:** mail@igh.info  
**Website:** www.igh.info

#### **Rechtliche Hinweise zur Haftung**

Diese Publikation wird von der Interessengemeinschaft Hämophiler e.V. (IGH) als Aufklärungs-/ Informationsmaterial für Mitglieder und Betroffene herausgegeben. Die IGH übt keine medizinische Beratung aus und gibt keine Empfehlung für eine bestimmte Behandlung für Betroffene ab. Patienten wird dringend empfohlen, vor der Anwendung der in dieser Publikation angesprochenen Therapie den Rat eines die Hämophilie behandelnden Arztes einzuholen und die vom Pharmaunternehmen bereitgestellten gedruckten Anweisungen einzusehen. Die IGH gibt keine Empfehlungen für bestimmte Therapien oder Produkte bzw. Hersteller ab.

# Inhalt

- 5 Vorwort
- 6 Hemlibra® – für Menschen mit Hämophilie A (Faktor-VIII-Mangel)
- 7 Was ist Emicizumab (Hemlibra®)?
- 8 Ist Hemlibra® für Kinder und Jugendliche geeignet?
- 9 Wie wirkt Hemlibra®?
- 10 Unterscheidet sich die Halbwertszeit von Hemlibra® von der von Faktor-VIII-Präparaten?
- 12 Wie wird Hemlibra® angewendet?
- 14 Wie viel Hemlibra® sollte ich anwenden?
- 16 Was ist, wenn ich eine Dosis versäumt habe?  
Brauche ich noch Faktor VIII?
- 17 Wie hoch ist mein Faktor-Wert unter Hemlibra®?
- 18 Faktor-VIII-Hemmkörper
  - Führt Hemlibra® zur Entwicklung von Faktor-VIII-Hemmkörpern?
- 19 Gibt es Situationen, in denen bei mir Faktor-VIII-Hemmkörper auftreten können?
- 20 Besonderheiten bei Patienten mit Faktor-VIII-Hemmkörpern
- 21 Kann es zu einer Reaktion meines Immunsystems auf Hemlibra® kommen?
- 22 Was ist der Nutzen von Hemlibra®?
- 23 Was ist bei der Behandlung mit Hemlibra® besonders zu beachten?
- 24 Was muss ich über die Sicherheit und Nebenwirkungen von Hemlibra® wissen?
- 25 Wie wird Hemlibra® aufbewahrt?  
Hilfsmittel für Hemlibra®
- 26 Was geschieht, wenn ich von meiner aktuellen Behandlung auf Hemlibra® umsteige?  
Gibt es Menschen, für die Hemlibra® möglicherweise nicht geeignet ist?
- 27 Was geschieht, wenn ich eine Blutung habe?  
Muss ich meine Hemlibra®-Behandlungen weiterhin dokumentieren?
- 28 Notfallbehandlung
- 29 Notfallausweis
- 30 Glossar



# Vorwort

Lieber Leser,

herzlich willkommen in unserer Informationsbroschüre  
über die Hämophilie-A-Therapie mit Emicizumab (Hemlibra®).

In dieser Broschüre erhältst Du alle wichtigen Informationen rund um diese Therapie-  
möglichkeit bei Hämophilie A: Wie wirkt Hemlibra® und wie unterscheidet es sich von  
Faktor-VIII-Präparaten? Wie erfolgt die Verabreichung bzw. wie viel und wie häufig  
wird es gespritzt? Wie muss Hemlibra® gelagert werden? Können Hemmkörper gegen  
das Medikament gebildet werden und welche Nebenwirkungen sind möglich?  
Was ist im Falle einer Blutung oder eines Notfalls zu unternehmen?

Auf all diese Fragen und noch mehr geben wir Antworten, um dich bei deiner  
Therapie mit Hemlibra® zu unterstützen. Wichtig ist jedoch, dass diese Broschüre das  
Aufklärungsgespräch mit deinem Behandlungsteam nicht ersetzt. Bei Fragen und  
Problemen wende dich stets an dein Hämophilie-Zentrum.

Um den Lesefluss zu vereinfachen, haben wir uns entschieden, in dieser Broschüre nur  
die männliche Form zu verwenden. Wir möchten betonen, dass wir dabei alle Menschen  
ansprechen und einbeziehen.

Wir wünschen viel Freude beim Lesen und hoffen, dass dich diese Broschüre bei deiner  
neuen Hämophilie-A-Therapie unterstützt.

**Interessengemeinschaft Hämophiler e.V.**

**Prof. Dr. med. Ralf Knöfler**  
Hämostaseologie, Universitätsklinikum Carl Gustav Carus Dresden



# Hemlibra® – für Menschen mit Hämophilie A (Faktor-VIII-Mangel)

Diese Broschüre befasst sich mit Hemlibra® (Wirkstoff Emicizumab), einer (etwas anderen) Therapie für Menschen mit Hämophilie A. Hämophilie A ist eine angeborene Blutgerinnungsstörung, die vererbt wird. Es liegt ein Mangel an Gerinnungsfaktor VIII (8) vor, da der Körper diesen zu wenig oder nur fehlerhaft bildet. Dadurch kann keine normale Blutgerinnung stattfinden.

Hemlibra® wird zur Routineprophylaxe von Blutungsereignissen bei Patienten mit Hämophilie A aller Altersgruppen eingesetzt. Laut der aktuellen Zulassung darf dieses Medikament derzeit eingesetzt werden bei:

- Patienten, die
  - eine schwere Hämophilie A haben (Faktor VIII fehlt im Blut und daher ist der Faktor-VIII-Blutwert kleiner als 1 %).
  - eine mittelschwere Hämophilie A (Faktor-VIII-Blutwert zwischen 1 % und 5 %) mit schwerem Blutungsphänotyp haben.
- Patienten aller Schweregrade, bei denen sich zusätzlich ein Hemmkörper (Inhibitor) gegen Faktor VIII gebildet hat. Dieser Hemmkörper ist ein Eiweiß, der die Wirkung einer Faktor-VIII-Ersatztherapie aufhebt, wenn Patienten damit behandelt werden.

Wer kann Hemlibra® anwenden?



➤ Patienten mit schwerer Hämophilie A ohne Hemmkörper



➤ Patienten mit mittel-schwerer Hämophilie A mit schwerem Blutungsphänotyp ohne Hemmkörper



➤ Patienten mit Hämophilie A jeden Schweregrads mit Hemmkörpern

Hemlibra® kann bei allen Altersgruppen eingesetzt werden.

Hemlibra® wird ausschließlich prophylaktisch angewandt und wandelt die schwere bzw. mittelschwere Form der Hämophilie A in eine leichte Form um. So kann einer Blutung vorgebeugt und die Anzahl der Blutungsereignisse bei Menschen mit Hämophilie A verringert werden. Dieses Arzneimittel wird nicht angewendet, um eine akute Blutung zu behandeln. Dazu ist die zusätzliche Gabe von Faktor VIII oder – bei Patienten mit Faktor-VIII-Hemmkörpern – von Faktor-VIII-Bypass-Präparaten wie NovoSeven®, FEIBA® oder CEVENFACTA® erforderlich. Bei invasiven Eingriffen wie Operationen muss blutungsvorbeugend ebenso verfahren werden.

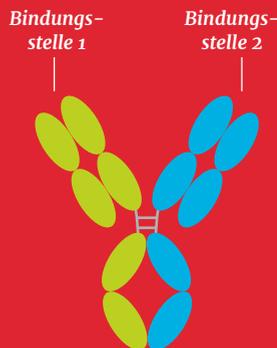
## Was ist Emicizumab (Hemlibra®)?

Hemlibra® enthält den Wirkstoff Emicizumab. Das ist ein sogenannter bispezifischer monoklonaler Antikörper, der nach demselben Grundprinzip aufgebaut ist, wie viele andere natürliche Antikörper im menschlichen Körper.

Antikörper sind wichtige Eiweiße für das Immunsystem. Als Teil der menschlichen Immunabwehr helfen diese, den Körper z. B. vor Krankheiten zu schützen. Sie können bestimmte Zielstrukturen erkennen und daran binden. So können sie Krankheitserreger identifizieren.

Emicizumab ist ein sogenannter monoklonaler Antikörper, der künstlich hergestellt wird und auf eine einzige Zelllinie zurückgeht. Die Besonderheit von Emicizumab besteht darin, dass es an den Gerinnungsfaktor X (10) und den aktivierten Faktor IX (9a) binden und damit die Funktion von Faktor VIII in der Gerinnungskaskade übernehmen kann. Aufgrund dieser Fähigkeit der Doppelbindung an zwei verschiedene Antigene zählt Emicizumab zu den bispezifischen Antikörpern (s. Abbildung 1). Blutungen können so verhindert oder gestoppt werden.

Es gibt aber noch eine zweite Besonderheit von Emicizumab: Hemlibra® hat eine andere Struktur als Faktor VIII und ist keine klassische Faktor-Ersatztherapie. Deswegen wird die Funktion von Hemlibra® nicht durch die Anwesenheit von Hemmkörpern gegen Faktor VIII beeinflusst. Hemlibra® kann auch keine Faktor-VIII-Hemmkörper-Bildung auslösen. Daher kann Hemlibra® bei Menschen mit Hämophilie A mit oder ohne Hemmkörper gegen Faktor VIII eingesetzt werden.



**Abb. 1: Bispezifischer Antikörper (bsAb)**



## Ist Hemlibra® für Kinder und Jugendliche geeignet?



Da Hemlibra® in klinischen Studien bei Säuglingen, Kindern und Jugendlichen untersucht wurde, kann es ohne Altersbeschränkung angewendet werden. Die Studiendaten zeigen, dass bei Kindern das Sicherheitsprofil bezüglich Wirkungen und Nebenwirkungen identisch ist zu dem erwachsener Patienten.



Ein Kind kann sich das Arzneimittel ab einem bestimmten Alter im Rahmen der Heimselbsttherapie selbst injizieren. Voraussetzung ist, dass ärztlicherseits dafür die Zustimmung vorliegt und die Anwendung im Hämophilie-Zentrum geschult wurde. Bei Kindern unter 7 Jahren wird die Selbstinjektion nicht empfohlen.



„Emi“ bedeutet im Japanischen „Lächeln“. „mab“ steht für monoklonaler Antikörper. Monoklonale Antikörper sind künstlich hergestellte Antikörper, die auf eine einzige Zelllinie zurückgehen und an ein bestimmtes Eiweiß binden können. Emicizumab ist ein bispezifischer Antikörper, das heißt, er kann an zwei verschiedene Eiweiße binden, und zwar an Faktor X und den aktivierten Faktor IX (IXa). Damit imitiert er die Funktion des fehlenden oder deutlich verminderten Faktor VIII und hilft so, Blutungen zu verhindern bzw. zu stillen. Der Name steht symbolisch für das Lächeln aufgrund der Verbesserung der Lebensqualität durch das Medikament.

# Wie wirkt Hemlibra®?

Wie in Abbildung 2 gezeigt, verbindet Faktor VIII zwei andere Gerinnungsfaktoren miteinander, den aktivierten Faktor IX (FIXa) und Faktor X (FX). Faktor VIII bildet somit die Brücke zwischen diesen Faktoren, sodass als Ergebnis des Gerinnungsprozesses ein Gerinnsel gebildet und die Blutung gestoppt wird. Die Besonderheit von Hemlibra® besteht darin, dass es die Funktion des Faktor VIII übernimmt und somit die Wirkung von Faktor VIII nachahmt. Daher wird es als eine „mimetische“ Therapie bezeichnet.

Eine mimetische Therapie, oft auch als „Mimetikum“ bezeichnet, ist eine Behandlungsform, bei der Substanzen verwendet werden, die die natürliche Aktivität von körpereigenen Molekülen nachahmen (imitieren). Diese Substanzen sind so aufgebaut, dass sie die Struktur und Funktion von natürlichen Molekülen nachbilden, um eine ähnliche biologische Wirkung hervorzurufen.

Ein Beispiel dafür sind u. a. Insulin-Mimetika. Sie ahmen die Wirkung von Insulin im Körper nach, um den Blutzuckerspiegel bei Menschen mit Diabetes zu regulieren.

Die mimetische Therapie hat den Vorteil, dass sie oft sehr spezifisch ist und gezielt bestimmte biologische Prozesse beeinflussen kann. Das führt zu sehr effektiven Behandlungen, die weniger Nebenwirkungen verursachen.

## *Bispezifischer Antikörper Emicizumab (Hemlibra®)*

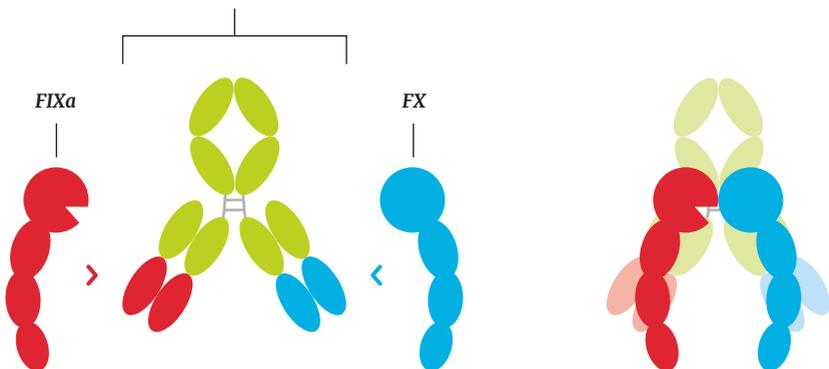
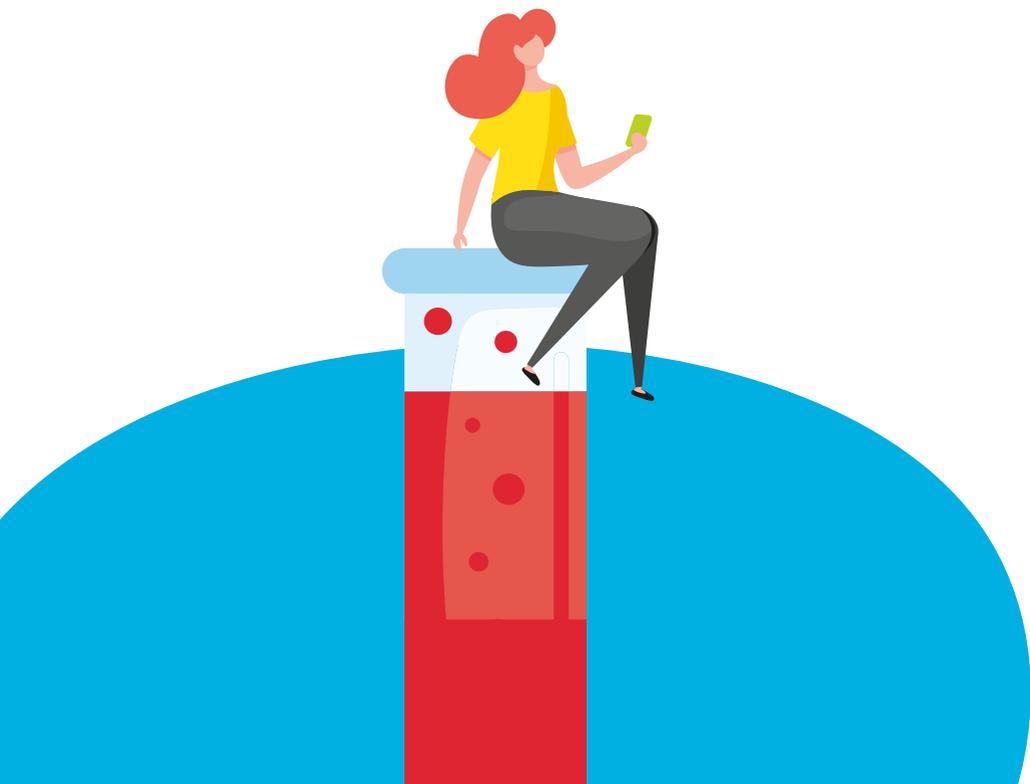


Abb. 2: Der bispezifische Antikörper Hemlibra® ersetzt den fehlenden Faktor VIII.

# Unterscheidet sich die Halbwertszeit von Hemlibra® von der von Faktor-VIII-Präparaten?

Der Begriff „**Halbwertszeit**“ (HWZ) gibt die Zeit an, wie lange es dauert, bis eine Substanz im Körper zur Hälfte abgebaut wurde. Die Halbwertszeit von Faktor-VIII-Konzentraten **kann zwischen 8 bis über 40 Stunden liegen** (ein Faktor-VIII-Präparat mit dieser sehr langen HWZ wurde 2023 in Europa zugelassen) – je nachdem, wie der Körper des einzelnen Patienten auf die Behandlung anspricht und welches Konzentrat (mit oder ohne Halbwertszeit-Verlängerung) angewendet wird.

**Beispiel:** Von einem Faktor-VIII-Präparat mit einer HWZ von 12 Stunden ist nach diesen 12 Stunden nur noch die Hälfte des Medikaments (50 %) im Körper. Nach weiteren 12 Stunden ist erneut die Hälfte des Medikaments abgebaut. Es ist also nur noch ein Viertel des Medikaments (25 %) im Körper vorhanden. Nach weiteren 12 Stunden ist die Menge erneut halbiert (12,5 %) usw.



### Warum ist Hemlibra® länger wirksam?

Aus diesem Grund müssen Faktor-VIII-Gaben häufig verabreicht werden (zwei- bis dreimal pro Woche, bzw. das 2023 zugelassene Faktor-VIII-Präparat einmal pro Woche), damit sie die Gerinnungsfähigkeit des Blutes und den Schutz zur Vorbeugung von Blutungen aufrechterhalten.

Die Halbwertszeit von Hemlibra® ist deutlich länger als die von Faktor VIII und beträgt etwa 4 Wochen. Nach Injektion von Hemlibra® kann daher eine konstante Wirkstoffkonzentration im Plasma aufrechterhalten werden (s. Abbildung 3). Im Gegensatz zu Faktor-VIII-Präparaten treten bei Emicizumab keine Talspiegel auf: Emicizumab liefert einen konstanten therapeutisch wirksamen Plasmaspiegel und damit einen konstanten Blutungsschutz.

#### Hemlibra® - Plasmakonzentration

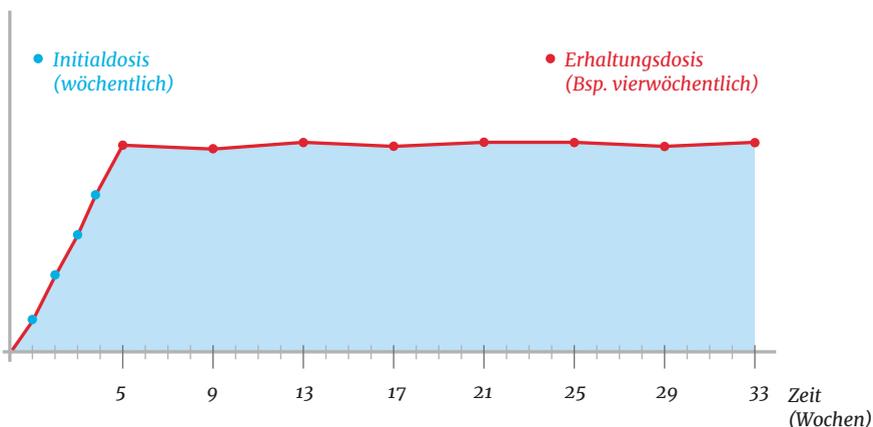


Abb. 3: Konzentration von Hemlibra® im Blutplasma im Zeitverlauf nach der Einstellungsphase von 4 Wochen mit einmal wöchentlicher Gabe (blaue Kreise) und anschließend in der sogenannten Erhaltungstherapie mit wöchentlicher, zweiwöchentlicher oder vierwöchentlicher Applikation (rote Kreise). Deutlich wird der konstante Spiegel des Medikaments im Verlauf durch die lange Halbwertszeit.

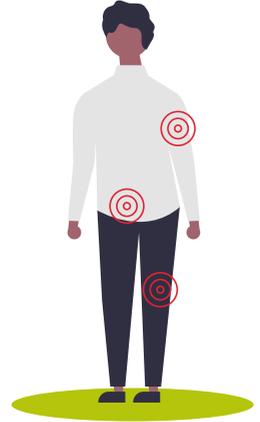
# Wie wird Hemlibra® angewendet?

Hemlibra® wird als Injektion unter die Haut (subkutan, s. c.) gespritzt (s. Abbildung 4), sodass kein Venenzugang notwendig ist.



Die empfohlenen Injektionsstellen sind:

- > Der vordere Bauchbereich (Unterbauch), 5 cm vom Bauchnabel entfernt
- > Die Vorderseite der Oberschenkel
- > Die äußeren Oberarme (nur geeignet, wenn die Injektion von einer Betreuungsperson verabreicht wird)



Injiziere Hemlibra® nur an den empfohlenen Körperstellen.



- > Wechsel die Injektionsstelle bei jeder Medikamentengabe.
- > Vermeide Stellen, an denen die Haut gerötet, verletzt, empfindlich oder verhärtet ist oder an denen sich Leberflecken oder Narben befinden.
- > Während der Behandlung mit Hemlibra® sollte für alle anderen Arzneimittel, die unter die Haut injiziert werden, ein anderer Bereich gewählt werden.
- > Es können Reizungen oder Rötungen an der Injektionsstelle auftreten.
- > Vor der ersten Injektion erhältst du durch dein Hämophilie-Zentrum eine Schulung zur sicheren Anwendung von Hemlibra®. Anschließend kannst du oder deine Betreuungsperson mit der ersten Injektion beginnen.

## Subkutane Injektion

Hemlibra® wird in eine Hautfalte, die durch das Zusammendrücken mit den Fingern entsteht, in das subkutane Fettgewebe (Unterhautfettgewebe) injiziert.

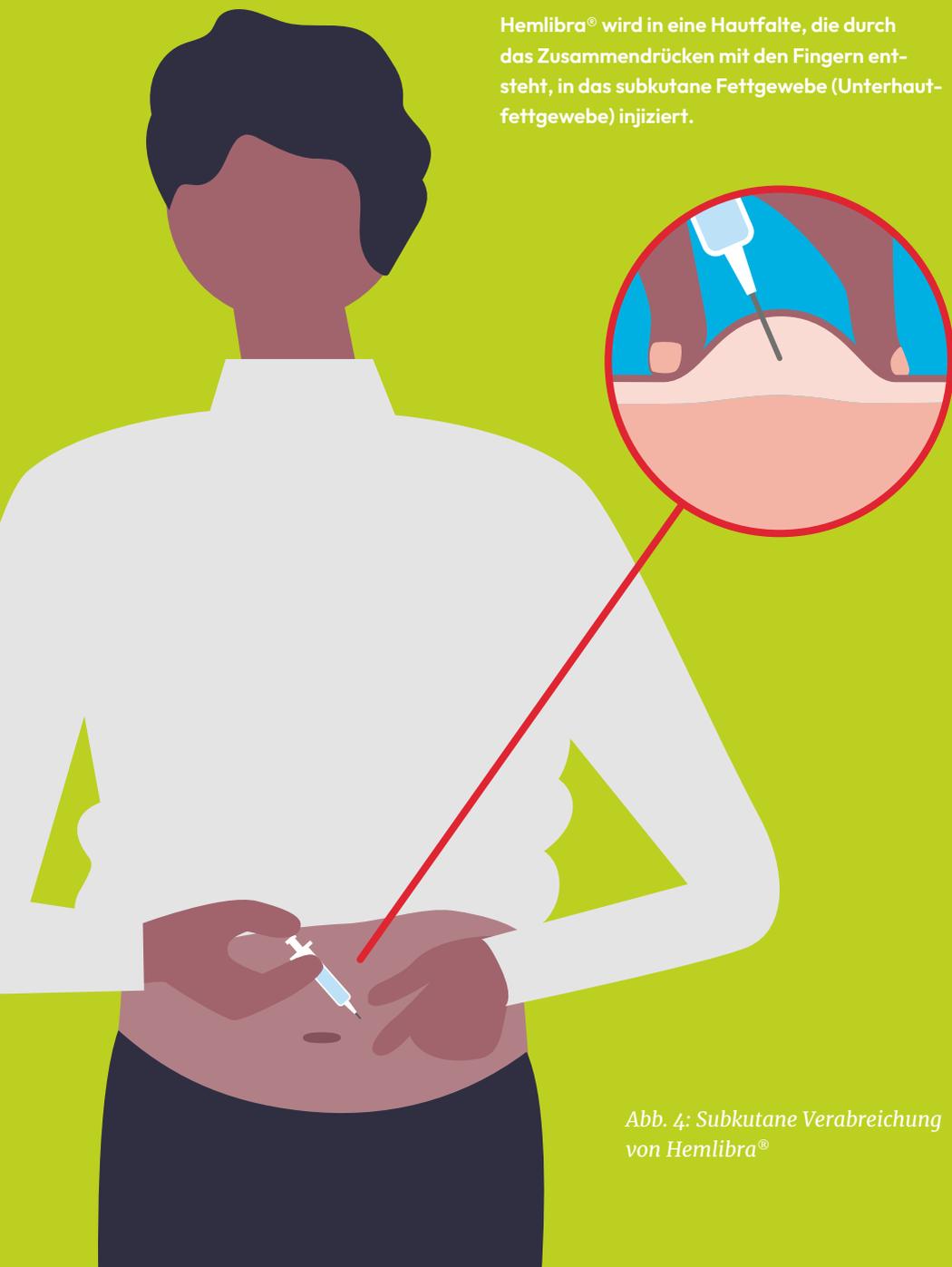


Abb. 4: Subkutane Verabreichung von Hemlibra®

# Wie viel Hemlibra® sollte ich anwenden?

Die Dosierung von Hemlibra® hängt vom Körpergewicht ab. Die Menge (in mg) und die entsprechende Menge der zu injizierenden Hemlibra®-Lösung (in ml) wird von deinen Ärzten berechnet und entsprechend mit einem Rezept verordnet.

Wenn du mit der Einnahme von Hemlibra® beginnst, musst du dir zunächst über einen Zeitraum von vier Wochen einmal wöchentlich eine Dosis verabreichen. Das ist die Initialdosis. Dadurch kann sich die Konzentration von Hemlibra® im Körper aufbauen. In der ersten Woche nach Beginn der Behandlung mit Hemlibra® musst du möglicherweise deine derzeitige prophylaktische Behandlung mit deinem bisherigen Gerinnungsmedikament noch fortsetzen. So können Blutungen vermieden werden, die eventuell auftreten können, wenn die notwendige Hemlibra®-Konzentration im Blut noch nicht vollständig aufgebaut ist.

**Die Initialdosis wird in den Wochen 1 bis 4 verabreicht. Laut Fachinformation beträgt diese 3 mg pro 1 kg Körpergewicht und ist einmal wöchentlich zu injizieren. Kleine Dosisabweichungen davon sind durchaus möglich und letztlich wird die Dosis sowohl in der Initial- als auch in der Erhaltungsphase durch deinen erfahrenen Hämophilie-Behandler festgelegt.**

Die erste Erhaltungsdosis muss ab Woche 5 verabreicht werden. Es stehen drei verschiedene Therapieintervalle zur Verfügung: wöchentlich, vierzehntägig oder monatlich. Die Dosis von Hemlibra® ist unterschiedlich und abhängig vom gewählten Therapieintervall (s. Abbildung 5). Die Entscheidung, welches Intervall für dich das richtige ist, triffst du in Rücksprache mit deinem Arzt.

**1,5 mg pro kg Körpergewicht > Wöchentlich**

**ODER**

**3 mg pro kg Körpergewicht > Alle 2 Wochen**

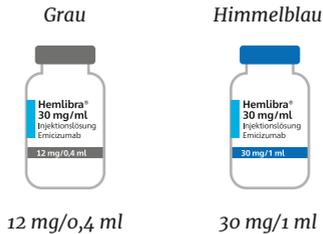
**ODER**

**6 mg pro kg Körpergewicht > Alle 4 Wochen**



Abb. 5: Therapieintervalle und laut Fachinformation empfohlene körperlgegewichtsbezogene Dosen in der Erhaltungsphase bei Hemlibra®

30 mg Hemlibra®/ml



150 mg Hemlibra®/ml

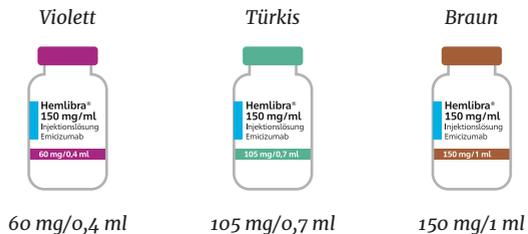
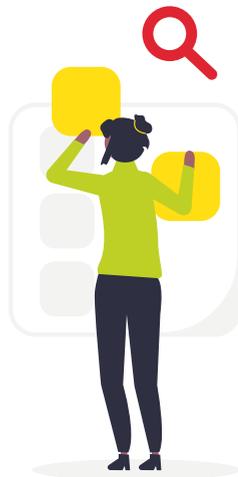


Abb. 6: Hemlibra® ist derzeit in Durchstechflaschen in fünf verschiedenen Größen erhältlich.

Die Anzahl der Durchstechflaschen und die Anzahl der erforderlichen Injektionen pro Dosis von Hemlibra® ist von deinem Körpergewicht und dem Erhaltungsintervall abhängig. Insbesondere in der Erhaltungstherapie entscheiden einige Behandler auch anhand der Ergebnisse von Messungen der Emicizumab-Konzentration im Blut über die zu applizierende Dosis. Patienten sollten wissen, dass die Hemlibra®-Ampullen stets etwas überfüllt sind, d. h. mehr Medikament enthalten, als aus der Packungsbezeichnung hervorgeht. Dein Behandlungsteam bespricht auch solche Details mit dir, wenn du dich für die Einstellung auf Hemlibra® entscheidest.

## Was ist, wenn ich eine Dosis versäumt habe?

Wenn du eine geplante Injektion versäumt hast, solltest du die versäumte Dosis so schnell wie möglich nachholen und – insbesondere bei einem mehrtägigen Versäumnis – dein Behandlungszentrum informieren. Fahre danach mit den Injektionen gemäß dem normalen Dosierungsschema fort. Wende nicht zwei Dosen von Hemlibra® am gleichen Tag an. Wenn du dir nicht sicher bist, was du bei einem Injektionsversäumnis tun sollst, wende dich zur Beratung an dein Behandlungszentrum.



## Brauche ich noch Faktor VIII?

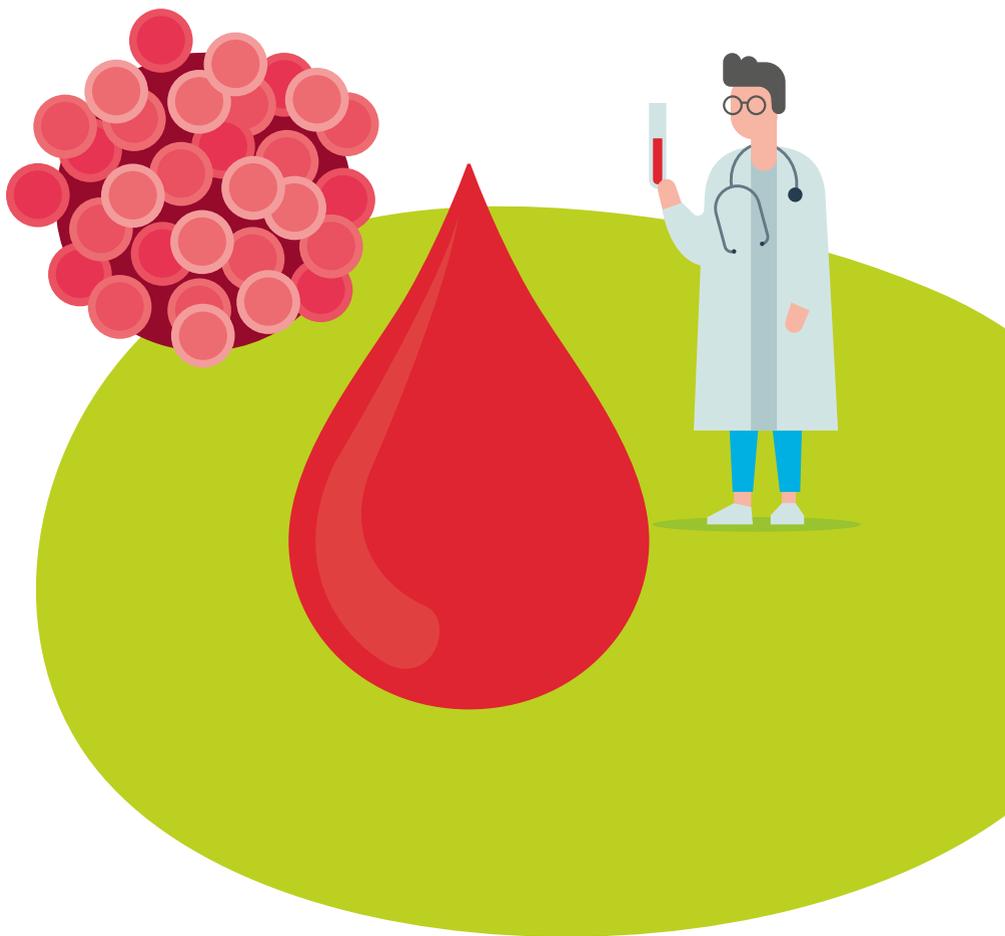
Hemlibra® ist eine prophylaktische Behandlung und kann nicht zur Behandlung einer akuten Blutung oder blutungsvorbeugend für chirurgische Eingriffe eingesetzt werden. Das bedeutet, dass Du zusätzlich Faktor VIII oder bei Vorhandensein eines Faktor-VIII-Hemmkörpers ein Faktor-VIII-Bypass-Präparat benötigst. Für den Fall einer relevanten Blutung solltest Du stets ausreichend Faktor VIII bzw. ein Faktor-VIII-Bypass-Präparat zu Hause zur Verfügung haben und von deinem Hämophilie-Behandler wissen, welche Dosis du in die Vene applizieren musst.

Ein operativer Eingriff – auch im kieferchirurgischen Bereich oder bei einer Zahnentfernung – muss unter einer Behandlung mit Emicizumab mit deinem Hämophilie-Zentrum abgesprochen sein, das dafür meist einen Plan für die gerinnungsunterstützende Therapie erstellt und sich sowohl mit dir als auch dem Operateur oder Zahnarzt abstimmt.

Wenn bei einer Hemlibra®-Therapie dann doch im Fall einer Blutung oder als blutungsvorbeugende Maßnahme Faktor VIII bei Patienten ohne Faktor-VIII-Hemmkörper gegeben werden muss, so wird Hemlibra® aus der Bindung mit Faktor X und Faktor IXa verdrängt. Nach dem Abbau von Faktor VIII bindet das weiterhin im Blut vorhandene Hemlibra® erneut an die beiden Gerinnungsfaktoren.

# Wie hoch ist mein Faktor-Wert unter Hemlibra®?

Da Hemlibra® kein Faktor-VIII-Präparat ist, kann eine Gleichwertigkeit mit Faktor VIII nicht angegeben werden. Der Schutz vor spontanen Blutungen ist vergleichbar dem einer Person mit leichtem Faktor-VIII-Mangel.

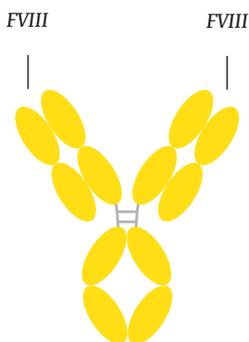


## Faktor-VIII-Hemmkörper

Faktor-VIII-Hemmkörper sind vom Körper produzierte Antikörper, auch Faktor-VIII-Inhibitoren genannt (s. Abbildung 7). Sie richten sich gegen den verabreichten Gerinnungsfaktor VIII, fangen ihn ab und machen ihn unwirksam. Patienten können im Rahmen einer Faktor-VIII-Therapie – insbesondere innerhalb der ersten 20 (bis 50) Verabreichungstage – diese Hemmkörper entwickeln. Dadurch wird die Funktion der Faktor-VIII-Therapie beeinträchtigt, und sie ist somit unwirksam. Die Inhibitor-Entwicklung ist mit einer deutlich erhöhten Blutungsrate und den damit verbundenen Folgen verbunden.

*Bei schwerer Hämophilie A sind ca. ein Drittel aller Patienten von Hemmkörpern betroffen.*

### Hemmkörper



*Abb. 7: Schematische Darstellung von Faktor-VIII-Hemmkörpern, die im Blut des Patienten an den zugeführten Faktor VIII binden und diesen dadurch unwirksam machen.*

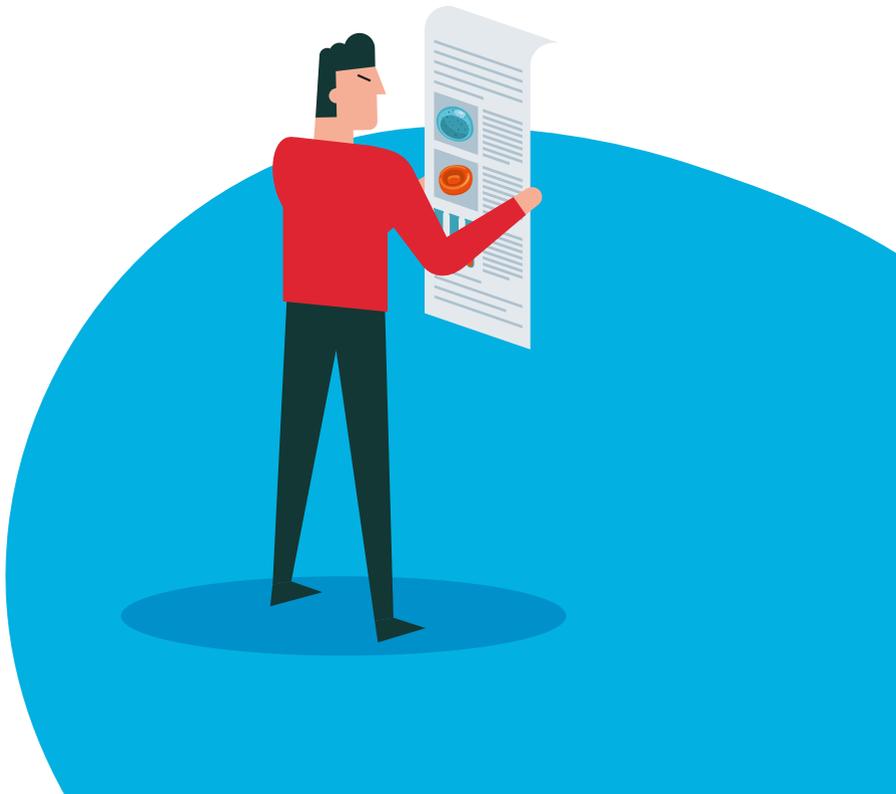
## Führt Hemlibra® zur Entwicklung von Faktor-VIII-Hemmkörpern?

Hemlibra® ist kein Faktor-VIII-Protein. Da Faktor-VIII-Hemmkörper so gebaut sind, dass sie Faktor-VIII-Proteine spezifisch erkennen und nach ihnen „suchen“, erkennen die Hemmkörper Hemlibra® nicht und lassen es daher seine Arbeit tun. Deswegen kann Hemlibra® nicht zur Bildung von Faktor-VIII-Hemmkörpern führen und die Wirkung von Hemlibra® wird dadurch auch nicht beeinträchtigt.

## Gibt es Situationen, in denen bei mir Faktor-VIII-Hemmkörper auftreten können?

Wie bereits erwähnt, muss bei relevanten Blutungen und bei den meisten operativen Eingriffen unter einer laufenden Behandlung mit Hemlibra® zusätzlich Faktor VIII gegeben werden. Bei Patienten, die vor der Einstellung auf Hemlibra mehr als 50 Gaben Faktor VIII zur Blutungsprophylaxe erhalten haben, ist es sehr unwahrscheinlich, dass die zusätzliche Faktor-VIII-Gabe zur Entwicklung eines Faktor-VIII-Hemmkörpers führt.

Bei Kindern unter einer Hemlibra®-Therapie, die bisher noch keinen oder nur wenige Gaben Faktor VIII bekamen, muss nach heutigem Kenntnisstand durchaus ein erhöhtes Risiko für die Bildung von Faktor-VIII-Hemmkörpern angenommen werden. Strategien, dieses Risiko durch begleitende zusätzliche Faktor-VIII-Gaben während der Hemlibra®-Therapie zu reduzieren, werden von einigen Behandlern favorisiert und durchgeführt. Das wird jedoch aus Kostenaspekten und aufgrund der begrenzten Daten dazu durchaus kritisch diskutiert. Letztlich wird sich der Behandler mit den Eltern des betroffenen Kindes auch zu diesem wichtigen Aspekt einer Hemlibra®-Therapie abstimmen.



## Besonderheiten bei Patienten mit Faktor-VIII-Hemmkörpern

### Wie wirkt Hemlibra® bei Menschen mit Hemmkörpern?

Hemlibra® wirkt bei Menschen mit und ohne Hemmkörper gleich. Hemlibra® hat eine andere Struktur als Faktor VIII, und die Hemmkörper erkennen es nicht. Die Stellen, an die Hemmkörper – wie vom Körper eigentlich vorgesehen – an das Faktor-VIII-Protein binden sollen, sind auf dem Hemlibra®-Molekül nicht vorhanden.

Deswegen wird die Funktion von Hemlibra® nicht durch die Anwesenheit von Hemmkörpern gegen Faktor VIII beeinflusst. Somit kann Hemlibra® seine Aufgabe ungehindert erfüllen – auch in Anwesenheit von Faktor-VIII-Hemmkörpern. Durch Hemlibra® kann deshalb auch keine Bildung von Faktor-VIII-Hemmkörpern ausgelöst werden.

*Hemlibra® kann bei Menschen mit Hämophilie A mit und ohne Hemmkörper eingesetzt werden.*

### Brauche ich noch Bypass-Präparate?

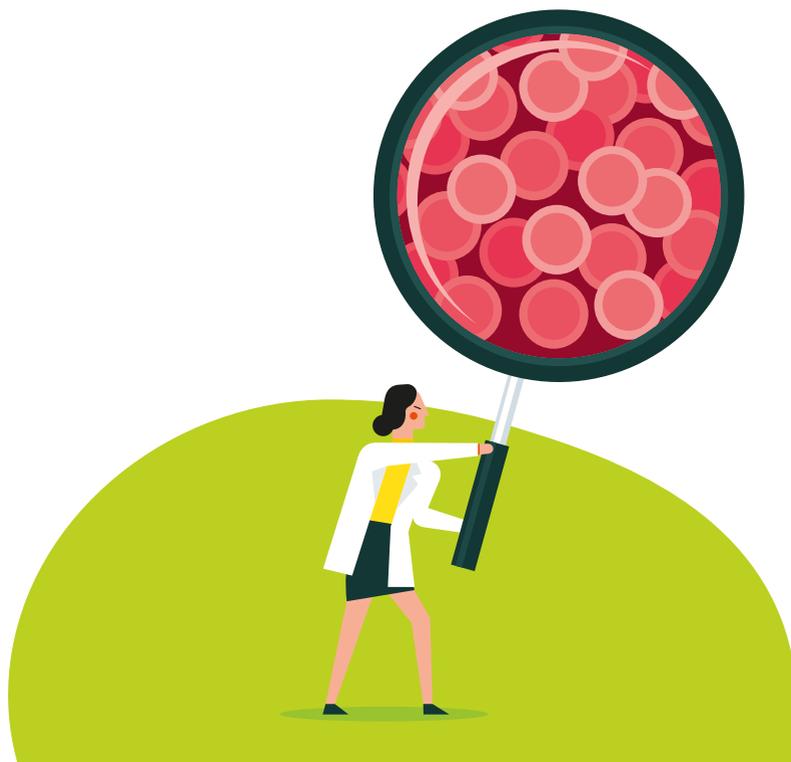
Da Hemlibra® nur prophylaktisch und nicht zur Behandlung einer akuten Blutung eingesetzt werden kann, musst du bei Blutungen eine ergänzende Behandlung erhalten, damit sie schneller gestoppt werden kann. Bei Patienten mit Hemmkörpern sind dies sogenannte Bypass-Präparate, die bei einer Behandlung von Blutungen, Traumata oder Operationen angewendet werden. Dafür stehen drei Präparate zur Verfügung, das aktivierte Prothrombinkomplex-Konzentrat FEIBA® und der synthetisch hergestellte aktivierte Faktor VII (NovoSeven® und CEVENFACTA®, wobei letztgenanntes Präparat erst ab einem Alter von über 12 Jahren in Europa zugelassen ist). Aufgrund von Studiendaten sollte die Anwendung von FEIBA® mit Hemlibra® vermieden werden bzw. diese Kombination nur unter ganz bestimmten Umständen und guter Überwachung angewendet werden.

# Kann es zu einer Reaktion meines Immunsystems auf Hemlibra® kommen?

Daten aus Studien haben gezeigt, dass sich in sehr seltenen Fällen Antikörper gegen Hemlibra® selbst bilden können. Von diesen sogenannten Anti-Drug-Antikörpern (ADA) gibt es zwei Typen: neutralisierende und nicht-neutralisierende ADA.

Ein nicht-neutralisierender Antikörper bindet an Hemlibra®, hält es aber nicht davon ab, eine Brücke zwischen FIXa und FX zu bauen, sodass Hemlibra® weiterhin wirkt. Ein neutralisierender Antikörper stoppt die Wirkung von Hemlibra® komplett. In Studien traten ADA insgesamt bei 3,5 % der Patienten auf, jedoch kam es nur bei weniger als 1 % zu einer Neutralisierung von Hemlibra.

Ein Verdacht auf einen neutralisierenden ADA liegt vor, wenn bei dir spontane Blutungen unter der Behandlung mit Hemlibra® auftreten. Dann wird dein Hämophilie-Zentrum Bluttests durchführen, um festzustellen, ob sich ein ADA entwickelt hat.



# Was ist der Nutzen von Hemlibra®?

- › Es besteht ein langanhaltender, konstanter Schutz vor Blutungen.
- › Du erhältst weniger Injektionen und hast lange therapiefreie Zeitintervalle.
- › Die Notwendigkeit intravenöser Gaben von Faktor VIII wird drastisch reduziert.
- › Subkutane Injektionen sind – auch wenn sie am Anfang vielleicht etwas gewöhnungsbedürftig sind – einfacher zu erlernen und anzuwenden als eine intravenöse Therapie.
- › Bei kleineren Operationen, einigen Zahnbehandlungen und anderen invasiven Eingriffen benötigst du möglicherweise keinen zusätzlichen Faktor VIII, sondern ergänzend nur eine Gerinnungsunterstützung durch ein Medikament, welches die Auflösung von Blutgerinnseln hemmt (Tranexamsäure, Cyklokapron®). Du musst vor einem invasiven Eingriff und einer Zahnentfernung stets mit deinem Hämophilie-Zentrum Rücksprache halten.
- › Es besteht ein sehr geringes Risiko, Antikörper (ADA) gegen Hemlibra® zu entwickeln, die dessen Wirkung verhindern.



# Was ist bei der Behandlung mit Hemlibra® besonders zu beachten?

- Hemlibra® bietet einen anderen Typ Schutz als die Faktor-VIII-Behandlung. Es bietet dir zwar einen gleichbleibenden Schutz, der jedoch dem einer leichten Hämophilie A entspricht und somit zu keinem Zeitpunkt zu einer Normalisierung der Gerinnung führt. Diese Normalisierung wird hingegen in den ersten Stunden nach einer ausreichenden Menge Faktor VIII erreicht.
- Wenn du sportlich sehr aktiv bist, solltest du mit deinem Behandlungszentrum besprechen, ob eine Behandlung mit Hemlibra® für Dich geeignet ist.
- Das Arzneimittel kann nicht zur Behandlung einer akuten Blutung verwendet werden. Daher musst du ein Faktor-VIII-Konzentrat oder ein Bypass-Präparat weiterhin zur Behandlung einer relevanten Blutungsepisode verfügbar haben.
- Bei Menschen, die mit Hemlibra® behandelt werden, sind oft vor Operationen routinemäßig durchgeführte Gerinnungstests irreführend. Dies ist in Notfällen von Bedeutung, wenn du nicht in der Lage bist, den behandelnden Arzt darüber zu informieren, dass du Hämophilie hast. Deswegen ist es wichtig, dass du immer deinen aktuellen Notfallausweis bei dir trägst, bzw. dies auf deiner Versichertenkarte als Notfalldatensatz und im Medikationsplan gespeichert ist.
- Aufgrund der langen Halbwertszeit von Hemlibra® können Gerinnungstest bis zu 6 Monate nach der letzten Dosis beeinflusst werden.
- Aufgrund der selten notwendigen intravenösen Gabe von Faktor VIII unter einer Therapie mit Hemlibra® besteht das Risiko, dass die ggf. zuvor gut beherrschte Technik der venösen Punktion verlernt bzw. insbesondere durch Eltern von Kindern mit Hemlibra®-Therapie gar nicht erlernt wird. Im Blutungsfall kann dies die notwendige zusätzliche Faktor-VIII-Gabe deutlich verzögern, was das Ausmaß und die Folgen der Blutung erschwert.
- Bei bisher nicht oder nur wenig mit Faktor VIII behandelten Kindern ist im Fall mehrerer Faktor-VIII-Gaben insbesondere bei operativen Eingriffen ein erhöhtes Risiko der Entwicklung von Faktor-VIII-Hemmkörpern anzunehmen.

# Was muss ich über die Sicherheit und Nebenwirkungen von Hemlibra® wissen?

Wie alle Arzneimittel kann auch Hemlibra® Nebenwirkungen verursachen. Die müssen aber nicht bei jeder Person auftreten, die das Arzneimittel anwendet.

Während der Behandlung können verschiedene Nebenwirkungen auftreten, deren Häufigkeit und Schwere variieren können. Um deine Sicherheit zu gewährleisten, empfehlen wir dir, ungewöhnliche oder anhaltende Beschwerden sofort deinen behandelnden Ärzten oder dem Hämophilie-Zentrum mitzuteilen (24/7 Notfallnummer des Zentrums).

Da es sich bei dieser Broschüre um eine allgemeine Information handelt, sind die spezifischen Nebenwirkungen hier nicht im Detail aufgeführt. Bitte lies die Packungsbeilage sorgfältig durch, um umfassende Informationen zu erhalten. Wenn du Fragen oder Unterstützung benötigst, wende dich bitte an dein medizinisches Betreuungsteam, deine Apotheke oder das Hämophilie-Zentrum.



# Wie wird Hemlibra® aufbewahrt?

Hemlibra® muss in der Originalverpackung aufbewahrt und bis zum Verfallsdatum im Kühlschrank bei 2 bis 8 °C gelagert werden. Nach der Entnahme aus dem Kühlschrank können Durchstechflaschen ungeöffnet bis zu 7 Tage bei Raumtemperatur (unter 30 °C) aufbewahrt werden. Ungeöffnete Durchstechflaschen können nach Aufbewahrung bei Raumtemperatur wieder im Kühlschrank gelagert werden. Die gesamte Aufbewahrungszeit der Durchstechflasche bei Raumtemperatur darf 7 Tage nicht überschreiten.

Um weitere Informationen zur Aufbewahrung oder Kühlung von Hemlibra® zu erhalten, wende dich bitte an dein Hämophilie-Zentrum oder die IGH.

## Aufbewahrung von Hemlibra® – Schnellübersicht



- › Bei 2–8 °C im Kühlschrank aufbewahren
- › Haltbar bis zum Verfallsdatum



- › Ungeöffnete Flaschen bei unter 30 °C aufbewahren
- › Ungeöffnete Flaschen können nach Lagerung bei Raumtemperatur in den Kühlschrank zurückgelegt werden
- › Maximal 7 Tage

## Hilfsmittel für Hemlibra®

Für das Aufziehen und Verabreichen von Hemlibra® wird dir ein Anwendungsset (Injektionskit) zur Verfügung gestellt. Dieses erhältst du in deinem Hämophilie-Zentrum oder in einer Apotheke.

### Zurzeit enthält das Anwendungsset folgenden Inhalt:

- › Adapter für Durchstechflaschen oder Transfernadeln mit Filter (12 oder 24 Stück)
- › Spritzen (12 Stück)
- › Injektionsnadeln für die subkutane Anwendung mit Nadelschutzsystem (12 Stück)
- › weitere Materialien – falls erforderlich

Derzeit sind zwei verschiedene Kits erhältlich: eines mit einer 1-ml-Spritze und eines mit einer 2-ml-Spritze. Du erhältst das Anwendungsset, das am besten zu deinem Behandlungsbedarf passt.

Wie häufig du das Anwendungsset bekommst, hängt von der Anzahl der pro Dosis verwendeten Adapter oder Transferringeln mit Filter ab. Du musst für jede aufgezogene Durchstechflasche einen separaten Adapter oder eine separate Transferringel mit Filter sowie für jede Injektion eine separate Injektionsnadel verwenden.

## Was geschieht, wenn ich von meiner aktuellen Behandlung auf Hemlibra® umstelle?

Wenn du mit der Hemlibra®-Behandlung beginnst, wird dein Behandlungszentrum dich in der Anwendung und Injektion von Hemlibra® schulen. Auch wird es dich in Bezug auf eventuelle Nebenwirkungen von Hemlibra® überwachen. Nachdem du vollständig unterwiesen wurdest und dich im Aufziehen und in der Verabreichung deiner Hemlibra®-Dosis sicher fühlst, kannst du dir das Medikament zu Hause selbst verabreichen. Ob du in der ersten Zeit weiterhin eine Faktor-VIII-Prophylaxe durchführen solltest, besprichst du mit deinen Ärzten.

## Gibt es Menschen, für die Hemlibra® möglicherweise nicht geeignet ist?

Der Arzt an deinem Hämophilie-Zentrum wird mit dir über dieses Thema sprechen. Hemlibra® darf nicht angewendet werden, wenn du allergisch gegen Emicizumab oder einen der sonstigen Bestandteile dieses Arzneimittels bist.

## Was geschieht, wenn ich eine Blutung habe?

Hemlibra® beugt Blutungen vor, es ist aber keine Behandlung für Blutungen. Wenn du auf Hemlibra® umstellst, besprich mit deinem Hämophilie-Team, wie eine Blutung oder Verletzung zu behandeln ist. Es kann sein, dass sich die Behandlung von der bisherigen Vorgehensweise unterscheidet, da du nun Hemlibra® anwendest.

Es ist wichtig, dass du genau weißt, was bei einer Blutung zu tun ist, damit du schnell reagieren und dir dein Notfallmedikament zeitnah verabreichen kannst. Eine verzögerte Gabe kann die Folgen der Blutung verschlimmern.

Abgesehen von deinen Hämophilie-Medikamenten behandelst du Blutungen wie gewohnt mit der PECH-Regel: Pause, Eis (Kühlung), Kompression (compression) und Hochlagern.

## Muss ich meine Hemlibra® - Behandlungen weiterhin dokumentieren?

Ja, es ist wichtig, dass du alle Behandlungen und gegebenenfalls auftretenden Blutungen dokumentierst. Dies hilft dir und deinem Hämophilie-Team bei der Beobachtung, wie gut Hemlibra® wirkt.



# Notfallbehandlung

Wenn du dich in einer Notaufnahme mit einer Blutungsepisode vorstellst, die eine Behandlung erfordert, ist es wichtig, dass du so schnell wie möglich untersucht und behandelt wirst. Da das in der Realität oft aber nicht der Fall ist, solltest du oder ein dir nahestehender Mensch idealerweise in der Lage sein, dir das notwendige zusätzliche Notfallmedikament zu geben.

**Um weitere Verzögerungen zu vermeiden, kann Folgendes hilfreich sein:**

- Zeige deinen Notfallausweis vor und nutze den Notfalldatensatz und Medikationsplan deiner Versichertenkarte.
- Zeige deinen Hemlibra®-Notfallausweis vor. Diesen erhältst du, wenn du deine Behandlung mit Hemlibra® beginnst.

**Solltest du in eine nicht auf Hämophilie spezialisierte Einrichtung kommen, ist es wichtig, dass Kontakt mit dem zuständigen Hämophilie-Zentrum aufgenommen wird.**

- Die Mitarbeitenden der Klinik/Notaufnahme sollten immer das Behandlungszentrum anrufen, wenn sie Fragen haben oder Hilfe benötigen.
- Rufe dein Hämophilie-Behandlungszentrum an oder bitte ein Familienmitglied darum. Es hilft, wenn dein Hämophilie-Team weiß, dass du einen Notfall hast – unabhängig davon, in welchem Krankenhaus du dich befindest.



# Notfallausweis

Denke immer daran, deinen aktuellen Notfallausweis und deinen Hemlibra®-Ausweis mit dir zu führen. Ebenso sollte deine Versichertenkarte mit einem Notfallaufkleber gekennzeichnet sein.

Hier kannst du dir deinen eigenen Notfallausweis erstellen und die Notfallaufkleber bestellen. Frage dein Behandlungsteam nach dem Hemlibra®-Notfallausweis.

Notfallausweis & Notfallaufkleber:



# Glossar

**Bispezifisch** (S. 7)

Bispezifische Antikörper können an zwei verschiedene Strukturen gleichzeitig binden.

**Blutungsphänotyp** (S. 6)

Ausprägung der Hämophilie und ihrer Symptome

**Blutungsrate** (S. 18)

Häufigkeit von Blutungen

**Bypass-Medikamente** (S. 7)

Sie umgehen die klassische Gerinnungskaskade und lösen die Bildung eines Blutgerinnsels aus, ohne auf Faktor VIII angewiesen zu sein. Sie enthalten keinen bzw. nur geringfügige Mengen an Faktor VIII. Deswegen können sie bei einer Hemmkörper-Hämophilie sowohl als prophylaktische als auch als Bedarfsbehandlung eingesetzt werden.

**Faktorerersatztherapie** (S. 7)

(Auch Faktor-VIII-Substitution oder Substitutionstherapie genannt) Therapeutischer Ansatz, bei dem Faktor VIII in konzentrierter Form gespritzt wird, der die Aufgabe des fehlenden oder fehlerhaft gebildeten körpereigenen Faktors übernimmt. Faktor VIII wird vom Körper mit der Zeit abgebaut und muss daher regelmäßig gespritzt werden, um Schutz vor Blutungen zu gewährleisten.

**Gerinnungsfaktoren** (S. 6)

Gerinnungsfaktoren sind Proteine, die in der Leber gebildet werden. Sie kommen im Blut vor und sind wichtig für die Blutgerinnung und damit für den Wundverschluss. Die Gerinnungsfaktoren werden mit römischen Zahlen von I bis XIII bezeichnet.

**Gerinnungskaskade** (S. 7)

Kommt es zu einer Verletzung und Blut tritt aus, wird die Gerinnungskaskade in Gang gesetzt. Dabei aktivieren sich die Gerinnungsfaktoren gegenseitig in einer festgelegten Reihenfolge. In der Bezeichnung wird die Aktivierung durch ein „a“ verdeutlicht: Faktor VIII wird zu Faktor VIIIa oder IX wird zu IXa.

**Halbwertszeit (S. 10)**

Zeitraum, in dem eine Substanz zur Hälfte vom Körper abgebaut wurde.

**Hemmkörper (engl. Inhibitor) (S. 6)**

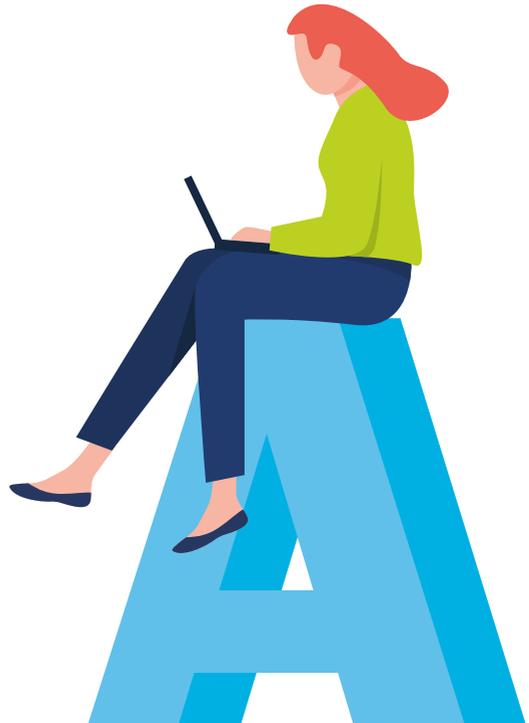
Hemmkörper bei Hämophilie sind Eiweiße, die die Aktivität eines anderen Moleküls hemmen. Der Körper kann den gespritzten Faktor VIII als fremd erkennen und bildet zur Abwehr Antikörper gegen ihn, sogenannte Hemmkörper. Diese richten sich dann gegen Faktor VIII und hemmen dessen Aktivität. In der Folge kann trotz einer Faktor-VIII-Ersatztherapie die Blutgerinnung nicht ausreichend ablaufen.

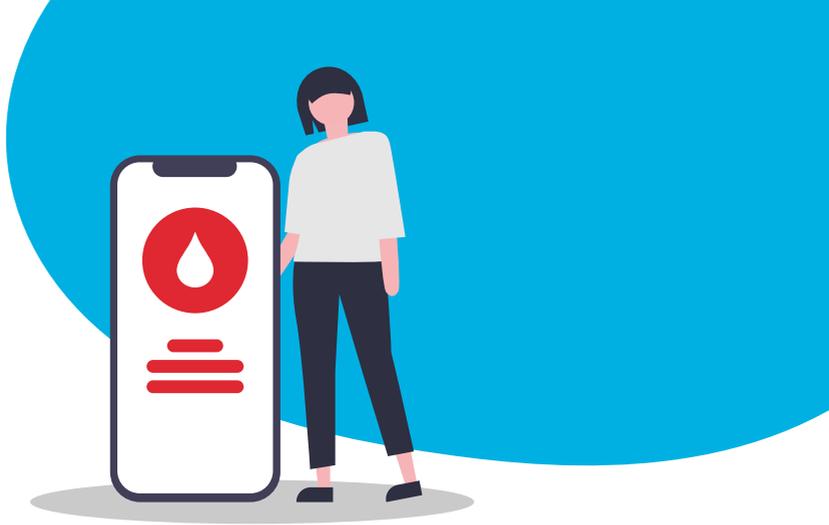
**Prophylaxe (S. 6)**

Therapeutischer Ansatz, bei dem ein Medikament regelmäßig vorbeugend verabreicht wird und bestimmte Ereignisse – im Fall von Hämophilie Blutungen – verhindern soll.

**s. c. (S. 12)**

Die Abkürzung steht für „subkutan“ und bedeutet so viel wie „unter die Haut“. Subkutane Medikamente werden mit einer Spritze oder einem Pen ins Unterhautfettgewebe verabreicht.





*Wenn du weitere Informationen wünschst,  
ist die IGH für dich erreichbar.*

Weitere Informationen findest du auch auf der Website der IGH  
und auf unseren Social-Media-Kanälen:

[www.igh.info](http://www.igh.info)



**Emicizumab (Hemlibra®), Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels,  
Europäische Arzneimittel-Agentur (EMA), März 2023.**

Die Interessengemeinschaft Hämophiler e.V. (IGH) setzt sich seit 1992 für Menschen mit angeborenen Blutungskrankheiten und ihre Angehörigen ein. Der Patientenverband wächst beständig weiter und vertritt bundesweit ihre Interessen. Unsere Ziele sind u. a. die Verbesserung der Lebenssituation der Hämophilen, die Unterstützung von Forschungs- und Entwicklungsprojekten, die Schaffung von Infrastrukturen für ambulante Vorortbetreuung sowie ein Netzwerkaufbau und Öffentlichkeitsarbeit.

© 2025, Interessengemeinschaft Hämophiler e.V. (IGH)