

Wichtige Entwicklungen bei neuartigen Therapien für Blutungsstörungen

Band 1, Ausgabe 1, April 2026



Canadian Hemophilia Society
Help Stop the Bleeding



IRISH HAEMOPHILIA
SOCIETY
Cumann Haemifile Na hEireann

Inhaltsverzeichnis

Einleitung	2
Faktor-VIII-Konzentrate	3
Gentherapie	3
Faktor-VIII-Mimetika	4
Ausgleichsmittel	6

Einleitung

„Wichtige Entwicklungen bei neuen Therapien für Blutungsstörungen“ richtet sich an ein breites Publikum – Menschen mit Blutungsstörungen und ihre Angehörigen sowie medizinisches Fachpersonal –, das sich eine einfache und prägnante Zusammenfassung der neuesten wichtigen Entwicklungen bei Gerinnungstherapien zur Behandlung erblicher Blutungsstörungen wünscht. Die Publikation berichtet über Ergebnisse klinischer Studien und Forschungsergebnisse nach der Markteinführung zu Behandlungen für Hämophilie A und B, das von-Willebrand-Syndrom, seltene Faktor-Mangelzustände und Thrombozytenfunktionsstörungen.

Die Zusammenfassungen in dieser Ausgabe basieren auf Manuskripten, die seit Dezember 2025 in medizinischen Fachzeitschriften veröffentlicht wurden, sowie auf Forschungszusammenfassungen, die auf Konferenzen vorgestellt wurden. Dazu gehören der Kongress der American Society of Hematology (ASH) im Dezember 2025 und der Kongress der European Association of Haemophilia and Allied Disorders (EAHAD) im Februar 2026.

Die behandelten Themen wurden vom Autor und vom Gutachter ausgewählt. Die Informationen erheben keinen Anspruch auf Vollständigkeit und dienen nicht als Leitfaden für die klinische Praxis. Leser werden gebeten, die Originalpublikationen zu konsultieren, um mehr zu erfahren. Links sind angegeben.

„Key Developments in Novel Therapies for Bleeding Disorders“ erscheint zweimal jährlich. Die Publikation ist eine Zusammenarbeit zwischen der Canadian Hemophilia Society und der Irish Haemophilia Society.

Autor: David Page, Berater für Sicherheit und Versorgung mit Gerinnungsprodukten, Kanadische Hämophilie-Gesellschaft
Rezensent: Brian O'Mahony, Geschäftsführer, Irish Haemophilia Society

Faktor-VIII- -Konzentrate

Efanesoctocog alfa

Susen et al. berichteten auf der ASH-Tagung über die Phase-3-Langzeit-Verlängerungsstudie XTEND-ed bei Erwachsenen, Jugendlichen und Kindern mit schwerer Hämophilie A, die mit **Efanesoctocog alfa** (Altuviiiio, Altuvoct) behandelt wurden. Die mediane Behandlungsdauer bei 146 Erwachsenen und Jugendlichen betrug 166 Wochen. Es wurden keine FVIII-Inhibitoren beobachtet. Die mittlere jährliche Blutungsrate (ABR) betrug 0,70, 0,62 bzw. 0,45 im ersten, zweiten und dritten Jahr. 65 %, 68 % bzw. 78 % der Patienten berichteten über keine Blutungen in diesen drei Jahren. 94 % der behandelten Blutungen klangen nach einer Infusion ab. Es wurden keine behandlungsbedingten schwerwiegenden unerwünschten Reaktionen berichtet.

Bei 71 Kindern (35 unter 6 Jahren, 36 im Alter von 6 bis 12 Jahren) betrug die mediane Behandlungsdauer 116 Wochen. Es wurden keine FVIII-Inhibitoren beobachtet. Der mittlere ABR betrug im ersten Jahr 0,68 und im zweiten Jahr 0,49. 64 % bzw. 66 % der Patienten gaben an, in diesen beiden Jahren keine Blutungen gehabt zu haben. 91 % der behandelten Blutungen klangen nach einer Infusion ab. Es wurden keine behandlungsbedingten schwerwiegenden unerwünschten Reaktionen berichtet.

Die Forscher kamen zu dem Schluss, dass die Ergebnisse der bis zu vier Jahre dauernden XTEND-ed-Studie zeigen, dass Efanesoctocog alfa bei einmal wöchentlicher Gabe weiterhin gut vertragen wird und bei Erwachsenen, Jugendlichen und Kindern mit schwerer Hämophilie A einen hochwirksamen Schutz vor Blutungen bietet, ohne dass sich Inhibitoren bilden.

<https://ashpublications.org/blood/article/146/Supplement%201/539/552327/Clinical-outcomes-up-to-4-years-of-once-weekly>

Astermark et al. berichteten auf der EAHAD in einem Poster über körperliche Aktivität und Wirksamkeit bei Patienten mit schwerer Hämophilie A unter Behandlung mit **Efanesoctocog alfa** (die FREEDOM-Studie). Die Patienten wurden mithilfe des International Physical Activity Questionnaire (IPAQ) und eines tragbaren Aktivitätstrackers überwacht. Insgesamt wurden 93 Patienten in die Studie aufgenommen. Das durchschnittliche Maß an körperlicher Aktivität blieb vom Studienbeginn bis zum 12. Monat stabil. Insgesamt meldeten 15 Patienten 27 behandelte Blutungen; 84 % gaben an, in dem 12-monatigen Zeitraum keine Blutungen gehabt zu haben. Die Forscher kamen zu dem Schluss, dass das Aktivitätsniveau vor Beginn der Studie hoch war und über den Studienzeitraum hinweg unverändert blieb. Efanesoctocog alfa war trotz des hohen Niveaus an körperlicher Aktivität wirksam bei der Prävention von Blutungen.

<https://onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.1111/hae.70195>, Seite 56

Gen- stherapie

Etranacogene dezaparovec (Hemgenix)

Die abschließende Analyse der Studie zu **Etranacogene Dezaparovec** (Hemgenix), einer Gentherapie für HB, mit 5-Jahres-Ergebnissen wurde im Dezember 2025 von Pipe et al. im New England Journal of Medicine (NEJM) veröffentlicht. Zu den Ergebnissen gehörten:

1. Fünfzig (50) der 54 eingeschriebenen Patienten absolvierten die 60-monatige Nachbeobachtungszeit. Eine Person widerrief ihre Einwilligung zur Wirksamkeitsbeobachtung aufgrund einer geringen Expression von Faktor IX (FIX). Eine zweite Person erhielt eine Lebertransplantation, woraufhin die Erfassung von Wirksamkeitsdaten eingestellt wurde. Zwei Personen starben an Ursachen, die nicht mit dem Medikament in Zusammenhang standen.
2. Nur 3 der verbleibenden 50 Probanden benötigen eine kontinuierliche FIX-Prophylaxe (alle bereits zuvor berichtet). Die übrigen 47 Probanden benötigen keine Prophylaxe. Niemand nahm die FIX-Prophylaxe im 4. und 5. Jahr wieder auf.
3. Der mittlere FIX-Aktivitätsgrad blieb in den Jahren 1 bis 5 nach der Gentherapie stabil und lag stets über 36 %. Jahr 1: 41,5 %; Jahr 2: 36,7 %; Jahr 3: 38,6 %; Jahr 4: 37,4 %; Jahr 5: 36,1 %.
4. Die Ergebnisse für die 54 Patienten waren wie folgt: Fehlende Daten (siehe Punkt 1): 4 Personen; mangelnde Wirksamkeit: 2 Personen; 5-12 % FIX: 5 Personen; 12-40 % FIX: 26 Personen; 40-100 % FIX: 17 Personen.
5. Bei AAV5-NAb-positiven und NAb-negativen Personen wurden ähnliche Ergebnisse beobachtet.
6. Die jährlichen Blutungsraten für alle Blutungen bei allen 54 Patienten betragen: Jahr 1: 1,33; Jahr 2: 0,91; Jahr 3: 0,83; Jahr 4: 0,40; Jahr 5: 0,40. Die meisten dieser Blutungen traten bei den 3 Patienten auf, die zur

Prophylaxe zurückkehrten.

7. Der durchschnittliche jährliche FIX-Verbrauch der 54 Personen stellte sich wie folgt dar:

Einleitungsphase: 257.339 IE; Jahr 1: 10.532 IE; Jahr 2: 8.777 IE; Jahr 3: 10.218 IE; Jahr 4: 9.421 IE; Jahr 5: 10.900 IE.

Die Forscher kamen zu dem Schluss, dass die Patienten nach einer einmaligen Infusion von Etranacogene Dezaparvovec über einen Zeitraum von fünf Jahren einen anhaltenden klinischen Nutzen und eine dauerhafte endogene Faktor-IX-Expression aufwiesen, wobei die Werte bei mehr als 90 % der Teilnehmer im Bereich einer leichten Hämophilie oder einer Nicht-Hämophilie lagen. Die erhöhte Faktor-IX-Expression ging mit einer Verringerung der annualisierten Blutungsraten und des exogenen Faktor-IX-Verbrauchs einher. Darüber hinaus wurden nach der Behandlung mit Etranacogene Dezaparvovec nach den ersten 6 Monaten keine Anzeichen für Onkogenität, langfristige toxische Wirkungen auf die Leber oder sonstige wesentliche toxische Wirkungen beobachtet.

<https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa2514332>

CSL220 (früher AMT-060)

Miesbach et al. präsentierten auf der EAHAD ein Poster, das eine stabile FIX-Expression 9 Jahre nach Verabreichung der Hämophilie-B-Gentherapie **CSL220 (früher AMT-060)** mit dem Wildtyp-FIX-Gen zeigte. Dies war der Vorläufer von Etranacogene Dezaparvovec (Hemgenix), das die Padua-FIX-Genmutation nutzt.

Neun von zehn Patienten aus den beiden Kohorten mit jeweils fünf Patienten nahmen an der Verlängerungsstudie teil. Die mediane FIX-Aktivität im 9. Jahr betrug 5,0 in Kohorte 1 und 5,7 in Kohorte 2. Die durchschnittliche jährliche Rate spontaner Blutungen betrug 2,3 in Kohorte 1 und 0,3 in Kohorte 2. Im 9. Jahr wurden keine neuen unerwünschten Ereignisse gemeldet, und kein Patient musste die Prophylaxe wieder aufnehmen.

Die Forscher kamen zu dem Schluss, dass die 9-jährige Nachbeobachtungszeit Belege für die Dauerhaftigkeit und Sicherheit dieser AAV5-basierten Gentherapie liefert und dass die Ergebnisse die Wirksamkeit von Etranacogene Dezaparvovec vorhersagen.

<https://onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.1111/hae.70195>, Seite 20

Valoctogogene roxaparvovec (Roctavian)

In einem Vortrag auf der EAHAD-Tagung stellten Klamroth et al. 5-Jahres-Daten zu erhöhten ALT-Werten nach einer Gentherapie bei Hämophilie A mit Valoctogogene Roxaparvovec (Roctavian) vor. Zu Beginn der Studie hatten 15 % bzw. 31 % der 124 Teilnehmer eine Hepatitis-B- bzw. Hepatitis-C-Infektion in der Vorgeschichte. Im ersten Jahr wiesen 105 von 134 (78 %) der Teilnehmer erhöhte ALT-Werte auf und erhielten Glukokortikoide. Die Zahlen gingen in den folgenden Jahren zurück: 39 von 134 (29 %) im zweiten Jahr; 20 von 130 (15 %) im dritten Jahr; 21 von 131 (16 %) im vierten Jahr und 23 von 129 (18 %) im fünften Jahr. Nach dem zweiten Jahr lag kein Anstieg über dem Fünffachen des oberen Normwertes. Die meisten Erhöhungen waren vorübergehend. Die Daten zeigten, dass die meisten Erhöhungen vorübergehend und leicht waren, im ersten Jahr ihren Höhepunkt erreichten und dann abnahmen und sich stabilisierten.

<https://onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.1111/hae.70195> (FVIII-Mimetika), Seite 23

FVIII-Mimetika

Mim8 (Denecimig)

In einem Vortrag auf der ASH-Tagung berichteten Lentz et al. über die Wirksamkeits- und Sicherheitsergebnisse bei Erwachsenen und Jugendlichen mit Hämophilie A, die im Rahmen der Phase-3-Studie FRONTIER2 eine Mim8-Prophylaxe erhielten. In den ersten 26 Wochen (Hauptphase) wurden die 281 Teilnehmer randomisiert entweder der Gruppe mit Mim8 einmal wöchentlich (QW), der Gruppe mit Mim8 einmal monatlich (QM) oder der Gruppe mit fortgesetzter Bedarfsbehandlung mit Gerinnungsfaktor zugewiesen. In den letzten 26 Wochen (Verlängerungsphase) wurden alle Patienten, die eine Bedarfsbehandlung erhielten, auf Mim8 QW oder QM umgestellt; diejenigen, die bereits Mim8 erhielten, setzten die Behandlung entweder wöchentlich oder monatlich fort. Bei den Patienten, die zuvor eine FVIII-Prophylaxe erhielten, hatten 67 % bzw. 70 % der Patienten unter QW keine Blutungen und wiesen in der Haupt- bzw. Verlängerungsphase einen mittleren ABR von 2,32 bzw. 1,28 auf. Unter QM hatten 63 % bzw. 69 % der Patienten keine Blutungen und einen mittleren ABR von 1,79 bzw. 1,54 in der Haupt- bzw. Erweiterungsphase. Bei 7 % der Empfänger wurden Anti-Mim8-Antikörper nachgewiesen, ohne dass klinische Anzeichen einer neutralisierenden Aktivität vorlagen. Es wurden keine thromboembolischen Ereignisse oder Überempfindlichkeitsreaktionen gemeldet.

<https://submit.hematology.org/program/presentation/677635>

In einem Vortrag auf der EAHAD-Tagung stellten Kenet et al. die 52-Wochen-Ergebnisse zur Sicherheit und Wirksamkeit bei Kindern mit Hämophilie A im Alter von 1 bis 11 Jahren unter Mim8-Prophylaxe vor (FRONTIER3). Die 70 Patienten erhielten 26 Wochen lang einmal wöchentlich (QW) subkutane Injektionen (Teil 1); 32 entschieden sich anschließend für einen Wechsel zu monatlichen Injektionen (QM) für die letzten 26 Wochen (Teil 2). Es wurden keine schweren transfusionsbedingten unerwünschten Ereignisse berichtet. Es traten keine thromboembolischen oder Überempfindlichkeitsreaktionen auf. Bei 5 von 70 Patienten (7 %) bildeten sich Anti-Mim8-Antikörper, von denen jedoch keiner neutralisierend war. Der mittlere ABR für behandelte Blutungen in der QW-Gruppe betrug 0,53 in Teil 1 und 0,42 in Teil 2 sowie insgesamt 0,50. Bei den Patienten, die in Teil 2 QM erhielten, betrug der ABR 0,25. Bei keinem der Patienten mit HA und Inhibitoren wurden Blutungen gemeldet. Alle 10 Zielgelenke, die zu Studienbeginn betroffen waren, waren bis Woche 52 geheilt. Alle Patienten entschieden sich für die Teilnahme an FRONTIER4, der Verlängerungsstudie.

<https://onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.1111/hae.70195>, Seite 16

In einem Poster auf der EAHAD-Tagung präsentierten Hermans et al. die von Patienten berichteten Ergebnisse nach 52 Wochen bei Jugendlichen und Erwachsenen mit Hämophilie A, mit und ohne Inhibitoren, unter Mim8-Prophylaxe (FRONTIER2).

Die 281 Patienten erhielten die subkutanen Injektionen entweder einmal wöchentlich (QW) über 52 Wochen oder einmal wöchentlich (QW) über 26 Wochen und anschließend einmal monatlich (QM) über weitere 26 Wochen. Die Ergebnisse der QW- und QM-Gruppen waren konsistent. Die von den Patienten berichteten Ergebnisse wurden anhand des Hemophilia Treatment Experience Measure (Hemo-TEM), des Pediatric Quality of Life Inventory (PedsQL) und des Hemophilia Patient Preference Questionnaire gemessen. Die Forscher kamen zu dem Schluss, dass die Mim8-Prophylaxe im Vergleich zur bisherigen Behandlung - Prophylaxe oder bedarfsgerechte Behandlung mit Gerinnungsfaktorkonzentrat - mit anhaltenden Verbesserungen hinsichtlich der Behandlungsbelastung, der körperlichen Funktionsfähigkeit und der Gelenkschmerzen verbunden war. Die Patienten äußerten eine starke Präferenz gegenüber früheren Therapien.

<https://onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.1111/hae.70195>, Seite 58

In einem Posterbeitrag auf der EAHAD-Tagung beschrieben Fijnvandraat et al. die von den Betreuungspersonen berichteten Ergebnisse bei Kindern unter Mim8-Prophylaxe (FRONTIER3). Die von den Betreuungspersonen angegebene Behandlungsbelastung und die gesundheitsbezogene Lebensqualität wurden mithilfe des „Child Hemophilia Treatment Experience Measure“ (Child Hemo-TEM) und des „Pediatric QoL Inventory“ (PedsQL) erfasst. Vor der Studie erhielten 40 von 70 (57 %) eine Faktor-Konzentrat-Prophylaxe, 25 von 70 (36 %) erhielten Konzentrate nach Bedarf und 5 von 70 (7 %) waren unbehandelt oder befanden sich in einer Immuntoleranzinduktion (ITI). Die von den Betreuern berichteten Ergebnisse deuten darauf hin, dass die Mim8-Prophylaxe das Potenzial hat, die Behandlungsbelastung zu verringern und die körperliche Funktionsfähigkeit bei Kindern zu verbessern.

NXT007

In einem Vortrag auf der EAHAD berichteten Nogami et al. über die Sicherheit, Pharmakodynamik und Wirksamkeit von **NXT007**, einem auf Emicizumab basierenden bispezifischen Antikörper der nächsten Generation, der FVIII nachahmt, bei Patienten mit Hämophilie A mit und ohne Inhibitoren nach Umstellung von Emicizumab.

Vierzehn Patienten im Alter von 12 bis 65 Jahren erhielten NXT007 in vier Dosiskohorten ohne Auswaschphase für Emicizumab. Die Patienten in den beiden Kohorten mit höherer Dosierung erreichten eine geschätzte FVIII-Äquivalenz auf dem Nicht-Hämophilie-Niveau (über 40 %). NXT007 wurde gut vertragen, es traten keine thromboembolischen Ereignisse und kein Anstieg des D-Dimers auf. Bei einem Patienten entwickelte sich ein Anti-Medikament-Antikörper, er setzte jedoch die Studie ohne Blutungsereignisse fort. Die Kohorten mit höheren Dosierungen zeigten eine robuste hämostatische Kontrolle, keine behandelten Blutungen und eine normalisierte Thrombingerierung.

<https://onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.1111/hae.70195>, Seite 22

In einem auf der EAHAD vorgestellten Poster präsentierten Nakajima et al. Daten zur Normalisierung des globalen Gerinnungspotenzials unter **NXT007**. Fünf der 12 Patienten in der Phase-1/2-Studie wurden von einer FVIII-Prophylaxe umgestellt, die anderen 7 von Emicizumab. Die Patienten erhielten eine Initialdosis und wöchentliche Injektionen in vier Kohorten mit steigenden Dosierungen. Das Gerinnungspotenzial von NXT007 wurde mittels Thromboelastometrie und Thrombingerationsassays bewertet. Das Potenzial stieg dosisabhängig an. In den beiden Kohorten mit der höchsten Dosierung wurde das Gerinnungspotenzial als vergleichbar mit dem von gesunden Personen eingeschätzt.

<https://onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.1111/hae.70195>, Seite 96

Neugewichtung von „-Agenten

VGA039

In einem Vortrag auf der EAHAD präsentierten Yamaguti-Hayakawa et al. Ergebnisse einer klinischen Phase-1/2-Studie mit **VGA039** bei Patienten mit von-Willebrand-Syndrom. VGA039 ist ein vollständig humaner monoklonaler IgG4-Antikörper, der die gerinnungshemmende Aktivität von Protein S hemmt und die Thrombingenerierung fördert. Sechs Patienten erhielten eine Pauschalosis; die übrigen 10 erhielten gewichtsabhängige Dosen. Es traten keine schwerwiegenden arzneimittelbedingten unerwünschten Ereignisse oder signifikante Erhöhungen der D-Dimere auf.

Sechzehn symptomatische Patienten mit verschiedenen VWD-Typen/-Subtypen im Alter von 15 bis 53 Jahren erhielten eine Initialdosis und anschließend alle vier Wochen fünf weitere Dosen. Bei drei Patienten mit einem ABR-Wert über 12 kam es zu einer Senkung zwischen 72 % und 80 %. Die Forscher kamen zu dem Schluss, dass die Ergebnisse eine Optimierung des Dosierungsschemas stützen, um die Dosisfindung für eine Phase-3-Studie zu untermauern.

<https://onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.1111/hae.70195>, Seite 20

In einem auf der EAHAD vorgestellten Poster zeigten Sakurai et al., dass **VGA039** die Hämostase bei der von-Willebrand-Krankheit in einem Ex-vivo-Modell wiederherstellt. In dieser Studie wurde mit VGA039 behandeltes Vollblut durch ein „Hemostasis-on-a-Chip“-Modell geleitet. Während Proben von VWD-Patienten im Vergleich zu gesunden Probanden signifikant längere Blutungszeiten aufwiesen, reduzierte die Behandlung der Proben mit VGA039 die Ex-vivo-Blutungszeiten und normalisierte die Blutungsparameter. Diese Verkürzungen der Blutungszeiten gingen mit beschleunigten Ablagerungsraten von Thrombozyten und Fibrin einher. Die Forscher kamen zu dem Schluss, dass dies einen Beweis für die Korrektur hämostatischer Defizite bei VWD-Patienten mit VGA039 liefert.

<https://onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.1111/hae.70195>, Seite 146

Marstacimab (Hypavzi)

In einem aktuellen Vortrag auf der EAHAD berichteten Mahlangu et al. über den Tod einer Person mit Hämophilie A und Inhibitoren im Rahmen der Marstacimab-BASIS-Open-Label-Erweiterungsstudie (OLE). Am Tag der Operation zur Entfernung eines Uretersteints wegen Nieren- und Harnwegsteinen, die unter rFVIIa-Substitution erfolgte, erlitt der Patient multiple Hirninfarkte. Fast zwei Wochen später kam es zu einer leichten Hirnblutung, die sich verschlimmerte und zu seinem Tod führte.

In separaten Berichten entwickelte ein 24-jähriger Patient, der ebenfalls an der BASIS-OLE-Studie teilnahm und über weitere Risikofaktoren für Thrombosen verfügte, darunter ein zuvor nicht diagnostizierter Faktor-V-Leiden-Mangel - eine Erkrankung, die mit einem erhöhten Thromboserisiko einhergeht -, nach dreijähriger Behandlung mit Marstacimab eine tiefe Venenthrombose. Nach der Marktzulassung wurden zwei Fälle von Thrombosen gemeldet. Der erste Fall betraf einen 41-Jährigen mit Hämophilie A ohne Inhibitoren und stand im Zusammenhang mit einer Off-Label-Dosierung (häufiger als verschrieben) von Marstacimab in Kombination mit FVIII; er führte wahrscheinlich zu einem Koronarinfarkt. Der zweite Fall trat bei einem 51-Jährigen mit Hämophilie B auf, bei dem neurologische Symptome auftraten, die wahrscheinlich mit Marstacimab in Zusammenhang standen.

In einem Vortrag auf der EAHAD berichteten Mahlangu et al. über die Gelenkgesundheit bei Patienten mit Hämophilie A oder B und Inhibitoren, die im Rahmen der Phase-3-Studie BASIS mit **Marstacimab** behandelt wurden.

Von den 60 Patienten in der 6-monatigen Beobachtungsphase (OP) im Alter von 12 bis 75 Jahren litten 47 an schwerer Hämophilie A und 13 an mittelschwerer bis schwerer Hämophilie B; 51 von ihnen gingen in die aktive Behandlungsphase (ATP) über. Sie wurden ein Jahr lang mit Marstacimab behandelt: zunächst mit einer Initialdosis, anschließend einmal wöchentlich. Die jährliche Blutungsrate (ABR) sank von 15,15 in der OP auf 1,1 in der ATP. Zu Studienbeginn wiesen 43 von 60 Patienten mindestens ein Zielgelenk auf. Diese Zahl sank von 0,6 in der OP auf 0,0 am Ende der ATP. Die Hemophilia Joint Health Scores verbesserten sich leicht. Die Forscher kamen zu dem Schluss, dass Marstacimab bei Patienten mit Inhibitoren die Gelenkblutungen und die Anzahl der Zielgelenke deutlich reduzierte.

<https://onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.1111/hae.70195>, Seite 16

In einem Poster auf der EAHAD berichteten Coppola et al. über die Immunogenität von Marstacimab im Rahmen der BASIS-Studie bei Menschen mit Hämophilie A oder B und Inhibitoren. Von den 51 Patienten, die über ein Jahr lang Marstacimab erhielten, entwickelten 10 Anti-Medikament-Antikörper (ADA). Die Titer waren niedrig, und bei 9 von 10 hatten sie sich bis zum Ende der Studie zurückgebildet. Bei 2 von 10 Patienten wurden neutralisierende Antikörper nachgewiesen, die jedoch bei beiden bis zum Ende der Studie negativ waren. Die annualisierten Blutungsraten für behandelte Blutungen waren bei ADA-positiven und ADA-negativen Patienten vergleichbar. Ein behandlungsbedingtes unerwünschtes Ereignis, ein Hautausschlag des Grades 3, führte zum Abbruch der Studie.

<https://onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.1111/hae.70195>, Seite 66

**Diese Veröffentlichung wurde gemeinsam
von der Canadian Hemophilia Society und
der Irish Haemophilia Society
herausgegeben**

Canadian Hemophilia Society
301-666 Sherbrooke Street West
Montreal, QC H3A 1E7

Irish Haemophilia Society
Erster Stock
Cathedral Court
New Street South
Dublin 8, D08
VH64

