

Fünf Jahre Hämophilie-Bündnis

Frühe Prophylaxe mit großem Benefit



© photos.com

Die Behandlung von Hämophilie-Patienten muss in allen Phasen des Lebens optimal sein, erklärte Prof. Dr. Johannes Oldenburg aus Bonn auf einem Pressegespräch anlässlich des fünfjährigen Bestehens des Bündnis zur Förderung der Sicherheit von Hämophilen (BFSH). Die Therapie beginnt im Kindesalter mit der Prophylaxe, um Blutungen von vornherein zu vermeiden und das Risiko für Gelenkschäden von Anfang an zu minimieren. Die erste prospektive doppelblinde randomisierte Studie zur Prophylaxe zeigte, dass die vorbeugende Gabe von Faktor VIII (25 I.E./kg jeden zweiten Tag bei 65 Patienten unter 30 Monaten über fünf Jahre) das Risiko für Gelenkschäden um 83% reduziert – von 45% unter intensiver Bedarfstherapie auf 7% [N Engl J Med 2007; 357: 535–44].

Durch die Indikation zur Prophylaxe im Kindesalter sei heute eine Generation von Patienten mit einem weitgehend normalen Gelenkstatus herangewachsen, so Oldenburg weiter. Noch in den 70er-Jahren hatten Patienten im Alter zwischen 26 und 30 Jahren durchschnittlich sechs geschädigte Gelenke. Aktuelle Studien zeigen, dass die Fortführung der Prophylaxe im Erwachsenenalter vorteilhaft ist und zum Beispiel die Häufigkeit lebensbedrohlicher intrazerebraler Blutungen senken kann, die bei Hämophilie-Pati-

Sind meine Faktorkonzentrate auch wirklich sicher? – Diese Angst muss heute zum Glück kein Patient mehr haben.

enten Werte zwischen 2,7% und 15,6% erreicht. In der Normalbevölkerung liegt die Häufigkeit bei 0,01–0,02%.

Hemmkörper gefährden Therapieerfolg

Prophylaxe verhindert auch die Entwicklung von Hemmkörpern. Diese häufige Komplikation der Substitutionsbehandlung kommt bei 20–30% der Patienten mit schwerer Hämophilie vor. Dabei neutralisieren Antikörper das Faktor-VIII-Protein. Eine 2010 von Kurnik et al. veröffentlichte Studie wies nun nach, dass eine sehr frühe Prophylaxe, die ab dem dritten Lebensmonat in einem Alter beginnt in dem noch keine Blutungen auftreten, die Hemmkörper-Entwicklung auf 3,8% reduziert – verglichen mit der Standardtherapie mit 47,8%. Eine frühere Studie demonstrierte ein um 60% reduziertes Hemmkörperisiko durch vorbeugende Gabe.

Zur Hemmkörperbehandlung gibt es zwei generelle Konzepte: die Behandlung der akuten Blutung durch Bypassprodukte wie Faktor VIIa oder FEIBA („factor eight inhibitor bypassing activity“), das aus Faktoren des Prothrombinkomplexes besteht, und außerdem die Eradikation der Hemmkörper durch hochdosierte Faktor-VIII-Gabe zweimal täglich über ein bis zwei Jahre, die mit Kosten zwischen einer und fünf Millionen Euro jedoch teuer ist. Die derzeitigen Jahrestherapiekosten für die etwa 6.000 in Deutschland lebenden Patienten liegen bei 500 Millionen Euro.

Optimierte Präparate in der Pipeline

„Die Sicherheit der Gerinnungsfaktorpräparate ist heute kaum noch zu verbessern“, sagte Oldenburg. Bei den aus Plasma hergestellten Faktoren sorgten Virusinaktivierungsverfahren für höchste Sicherheit gegenüber bekannten Erregern, bei den

Fünf Jahre BFSH

Das 2005 gegründete Bündnis zur Förderung der Sicherheit von Hämophilen hat das Ziel, die Behandlung von Hämophilie-Patienten weiter zu optimieren. Dazu veranstaltet das BFSH wissenschaftliche Symposien und Fortbildungen, Intensivkurse Hämophilie und Laborkurse Hämostaseologie. Die Pharmaunternehmen Bayer und Novo Nordisk unterstützen das Bündnis.

gentechnisch hergestellten rekombinanten Faktorkonzentraten bestehe absolute Sicherheit auch gegen neue Infektionserreger. Aktuell arbeiten alle Hersteller jedoch intensiv an neuen optimierten Faktorkonzentraten, die die derzeit erforderliche Prophylaxe-Frequenz von mindestens drei Gaben pro Woche deutlich reduzieren sollen. Oldenburg erwartet in zirka drei Jahren Ergebnisse der klinischen Entwicklung mit neuen Präparaten mit langer Halbwertszeit.

Wesentlich beigetragen zur Steigerung der Lebensqualität und der Lebenserwartung haben so genannte Comprehensive Care Center. Die Behandlung in solchen spezialisierten Zentren konnte die Mortalität von Hämophilie-Patienten um 60% und die stationäre Behandlungsbedürftigkeit um 40% reduzieren, wie Prof. Dr. Rainer Zimmermann berichtete. Trotz aller Fortschritte ist die Sterblichkeit von Patienten mit schwerer Hämophilie verglichen mit der Normalbevölkerung immer noch 2,7fach erhöht, die Lebenserwartung um etwa 15 Jahre geringer. Bei leichter bis mittelschwerer Hämophilie fallen die Zahlen etwas moderater aus – mit 1,2fach erhöhter Sterblichkeit und um drei Jahre reduzierter Lebenserwartung.

koc

Pressegespräch „5 Jahre Bündnis zur Förderung der Sicherheit von Hämophilen (BFSH e.V.) – Bilanz und Perspektiven“, Berlin, 1. Dezember 2010