



# themenbote

## MEDIZIN

Das funktioniert

# Hämophilie und Lebensqualität

Stetiger Fortschritt und unermüdliche Forschung nehmen der Bluterkrankheit heute den größten Schrecken. Menschen mit dieser Erbkrankheit können inzwischen ein gutes und langes Leben führen.

### NEUE THERAPIEN

• Von Gefahren und Halbwertszeiten.  
• Welche Wege bringt die Zukunft?

• Seite 6

### GENTHERAPIE IN SICHT

• Bereits in wenigen Jahren könnte diese  
• Methode zugelassen werden.

• Seite 8

### HÄMOPHILIE IM ALTER

• Mit welchen Schwierigkeiten müssen  
• Senioren mit Hämophilie rechnen?

• Seite 10

## Liebe Leserin, lieber Leser,

blaue Flecken gehören zum Leben wie die Luft zum Atmen. Ein schmerzhafter Stoß – und das Hämatom zeigt am nächsten Tag seine unschöne Färbung. Was für die meisten Menschen nur eine lästige Druckstelle ist, kann für Menschen mit Hämophilie schwere Folgen haben. Schon winzige Verletzungen können bei Betroffenen der sogenannten Bluterkrankheit zu Gelenkblutungen führen, denn ihre Gerinnung ist gestört. Die innere Wunde blutet länger – und das kann lebensbedrohliche Folgen für die Patienten haben.

Rund 10.000 Patienten in Deutschland leiden unter der bisher unheilbaren seltenen Erbkrankheit. Doch wie lässt es sich mit Hämophilie leben? Was bedeutet die Krankheit im Alltag und welche neuen Therapieansätze gibt es?

Darüber möchten wir in dieser Ausgabe des Themenboten berichten. Privat-Dozent Dr. Robert Klamroth, Chefarzt im Vivantes Klinikum Berlin, spricht über zahlreiche Fortschritte im Bereich von Diagnose und Therapie – hier hat sich in den letzten Jahren viel getan. Auch Prof. Dr. Miesbach, Leiter des Schwerpunkts Hämostaseologie am Universitätsklinikum Frankfurt am Main, macht Mut und zeigt auf, was mithilfe der Gentherapie in schon absehbarer Zukunft möglich sein wird.

Von ihrer Arbeit mit älteren Betroffenen berichtet Dr. Katharina Holstein. Die Fachärztin für Innere Medizin und Hämatologie am Universitätsklinikum Hamburg-Eppendorf kümmert sich vor allem um Patienten, die als Folge der Bluterkrankheit unter Arthrose oder versteiften Gelenken leiden. So wie der Hamburger Rentner Dieter Dengel, der trotz allem sein persönliches Geheimrezept für ein langes Leben mit der Krankheit gefunden hat.

Auch der 11-jährige Sohn von Charlotte Staff leidet unter Hämophilie. Seine Mutter erzählt, wie ihr die Diagnose den Boden unter den Füßen weggerissen hat, wie sie heute auf die Krankheit blickt und wie sie den Alltag der Familie verändert hat.

All diese Entwicklungen geben viel Anlass zur Hoffnung für Betroffene genauso wie für Angehörige. Und wir hoffen, mit dieser Ausgabe unseren Teil dazu beitragen zu können.

Herzlichst, Ihr

Sascha Bogatzki



Sascha Bogatzki, Herausgeber

# t INHALT



6



8



10

## Hämophilie und Lebensqualität – das funktioniert

### 4 Ein Faktor für mehr Lebensfreude

Verletzungen können für Menschen mit Hämophilie schwere Folgen haben – aber dank moderner Therapien führen Betroffene heute ein fast normales Leben.

### 6 Von Genfährden und Halbwertszeiten

Priv.-Doz. Dr. Robert Klamroth, Chefarzt im Vivantes Klinikum Berlin, gibt im Interview einen Überblick über moderne Diagnose- und Therapiemethoden.

### 7 Wissen bündeln – besser helfen

Hämophilie-Zentren und -Ärzte sind die Basis für die Betreuung von Hämophilie-Patienten. Der Vorteil ist die zentrale Bündelung von Patienten und Know-how.

### 8 Die Heilung zum Greifen nah

Prof. Dr. Wolfgang Miesbach, Leiter des Schwerpunkts Hämostaseologie am Uniklinikum Frankfurt, hofft, dass die Gentherapie in wenigen Jahren zugelassen wird.

### 9 Telemedizin: Effizient und nah am Patienten

Die Digitalisierung schafft in der Medizin ganz neue Möglichkeiten, Patienten schnell und unkompliziert mit dem passenden Spezialisten zusammenzuschalten.

### 10 Wenn Bluter zu Senioren werden

Welche Probleme Hämophile im Alter bekommen, erklärt Frau Dr. Katharina Holstein, Fachärztin für Innere Medizin und Hämatologie am UKE in Hamburg, im Interview.

### 11 Jeden Tag eine Spritze Lachen

Der Rentner Dieter Dengel blickt auf ein langes Leben mit Hämophilie zurück. Im Interview erzählt er, wie es ist, mit der Krankheit alt zu werden.

### 12 „Die Sorge ist immer da“

Der Sohn von Charlotte Staff hat Hämophilie B. Sie berichtet, wie sie als Mutter mit der Diagnose umgegangen ist und wie die Familie den Alltag bewältigt.

### 14 Behandlungsqualität auf dem Spiel

Ein neues Gesetz sieht vor, dass in Zukunft auch Hausärzte die medikamentöse Versorgung von Hämophilie-Patienten übernehmen können. Das hätte Folgen.

#### WERBEBEITRÄGE

5 Advertorial Sobi – Swedish Orphan Biovitrum GmbH  
**Ausreichend Schutz, um frei zu sein**

9 Advertorial Pfizer Pharma GmbH  
**Verbesserung der Therapietreue durch elektronische Dokumentationssysteme**

11 Advertorial Novo Nordisk Pharma GmbH  
**Lebensqualität per Hausbesuch**

13 Advertorial Octapharma GmbH  
**Octacare – Homecare seit 2016**

# Ein Faktor für mehr Lebensfreude

VON JULIA BRANDT

Hämophilie ist eine seltene Erkrankung, bei der die Blutgerinnung gestört ist. Unbehandelt können Verletzungen und Stöße schwere Folgen haben. Heilbar ist die sogenannte Bluterkrankheit nicht. Dank moderner Therapie können Betroffene heute jedoch ein fast normales Leben führen.



Beim Aufstehen mit dem Knie ans Tischbein gestoßen – ein kurzer Schmerz, der schnell wieder vergessen ist. Für Menschen mit Hämophilie kann ein normalerweise unbedeutender Zwischenfall ein folgenschweres Nachspiel haben. Wo bei gesunden Menschen schlimmstenfalls ein blauer Fleck bleibt, droht Hämophilie-Patienten, wenn es schlecht kommt, eine Knie-Arthrose: Winzige Verletzungen führen zu Blutungen in den Gelenken. Der Abbau des Blutes kann eine Entzündung entfachen, die das Gelenk dauerhaft schädigt.

Bei Menschen mit Hämophilie ist die Blutgerinnung gestört. Während bei einem gesunden Menschen der Körper nach einer Verletzung einen Prozess in Gang setzt, der das Blut gerinnen lässt und dadurch die offenen Stellen in den Blutgefäßen verschließt, ist dieser Mechanismus bei Hämophilie-Patienten beeinträchtigt. Ihnen fehlt eines der 13 Proteine, die sogenannten Gerinnungsfaktoren, die diesen Prozess ermöglichen. Dadurch gerinnt das Blut nicht oder nur sehr langsam – die Wunde blutet länger.

## Ursache im Erbgut

Es gibt verschiedene Formen von Hämophilie. Sie unterscheiden sich je nachdem, welcher Gerinnungsfaktor fehlt. Die einzelnen Gerinnungsfaktoren werden in römischen Ziffern benannt: Faktor I bis Faktor XIII. Bei Menschen mit Hämophilie Typ A fehlt der Gerinnungsfaktor VIII, bei Hämophilie B fehlt Faktor IX.

Die Blutungsneigung ist bei beiden Hämophilie-Formen auf einen Fehler

im Erbgut zurückzuführen: Durch ein verändertes Gen auf dem X-Chromosom wird der entsprechende Gerinnungsfaktor nicht gebildet oder funktioniert nicht. Bei Frauen, die diesen Gendefekt tragen, prägt sich die Krankheit in der Regel nicht aus, da Frauen und Mädchen zwei X-Chromosomen haben – das zweite X gleicht den Fehler im mutierten Chromosom aus. Jungen und Männer verfügen jedoch über ein X- und ein Y-Chromosom. Ohne zweites, intaktes X-Chromosom führt diese Veranlagung daher immer zur Hämophilie.

## Sonderform der Bluterkrankheit

Doch es gibt auch eine Sonderform der Hämophilie, von der beide Geschlechter gleichermaßen betroffen sind: Beim sogenannten Von-Willebrand-Syndrom fehlt ein Faktor, der den Gerinnungsfaktor VIII vor vorzeitigem Abbau schützt. Dieser Gerinnungsfaktor wurde nach dem Entdecker dieser Bluterkrankheit, Erik Adolf von Willebrand, benannt: von-Willebrand-Faktor.

Das Von-Willebrand-Syndrom wird in den meisten Fällen ebenfalls vererbt, kann jedoch auch im Laufe des Lebens erworben werden, zum Beispiel als Folge eines Herzklappenfehlers, von Gefäßverengungen oder Immunkrankheiten. Die anderen Hämophilie-Formen bestehen hingegen immer von Geburt an. In etwa der Hälfte der Fälle von Hämophilie A und B erben die Betroffenen die Krankheit von ihren Eltern. Bei der anderen Hälfte tritt sie als spontaner Gendefekt auf. Schätzungen zufolge kommt etwa einer von 10.000 Jungen mit Hämophilie

A und ungefähr einer von 30.000 Jungen mit Hämophilie B auf die Welt. Rund 800.000 Menschen in Deutschland leben mit einem Von-Willebrand-Syndrom.

## Mehr Lebensqualität dank Therapie

Das Krankheitsbild kann sehr unterschiedlich stark ausprägt sein. Leichte Formen der Hämophilie bereiten im Alltag kaum Beschwerden. Bei schweren Formen hingegen ist nicht nur das Risiko erhöht, bei einer Verletzung zu verbluten, sondern auch an Folgeerkrankungen wie Arthrose zu erkranken. Heilbar ist Hämophilie bislang nicht. Aber es gibt Therapien, die die Auswirkungen der Krankheit eindämmen. Im Rahmen einer Dauerbehandlung spritzen sich die Betroffenen Präparate, die den fehlenden Gerinnungsfaktor im Körper ersetzen. Das schützt sie im Verletzungsfall. Spezialisierte Fachzentren für Hämophilie geben die Medikamente aus und überwachen die Behandlung.

„Berufswahl, Freizeit, Reisen: Dank moderner Therapie schränkt die Hämophilie das Leben der Patienten bei Weitem nicht mehr so stark ein wie früher“, erklärt Dr. Wolfgang Voerkel, stellvertretender Vorsitzender der Deutschen Hämophiliegesellschaft. „In der Regel sieht man den Betroffenen nichts an und auch die Patienten, insbesondere die jungen, fühlen sich meist gut. Dennoch darf man nicht vergessen: Sie leben mit einer potenziell lebensbedrohlichen Krankheit und sind ihr Leben lang auf eine gut eingestellte Therapie und die Fachexpertise der behandelnden Ärzte angewiesen.“ f

## HÄTTE SIE ES GEWUSST?

**Innere Verletzungen sind für Menschen mit Hämophilie ein größeres Problem als äußere.**

Mit dem Küchenmesser ausgerutscht und verblutet? Das ist heutzutage ein Hämophilie-Märchen. Anders als geglaubt beeinträchtigen innere Verletzungen Hämophilie-Patienten mehr als äußere. Durch Stöße etwa kann es zu Muskel- und Gelenkblutungen kommen, die auf lange Sicht das Gewebe schädigen. Blutungen im Kopf, Hals oder Bauch gelten als besonders gefährlich.

**Gerinnungsdefekt kann bei Frauen zur Dauer-Menstruation führen.**

Bei Frauen mit Gerinnungsdefekten kann die verstärkte Blutungsneigung dazu führen, dass die Monatsblutung besonders lang und intensiv auftritt. Eine Australierin mit Von-Willebrand-Syndrom hatte über fünf Jahre hinweg dauerhaft ihre Menstruation, bevor die Krankheit diagnostiziert wurde. Innerhalb weniger Tage verlor sie mehr als einen halben Liter Blut – gesunde Frauen scheiden während einer normalen Periode nur etwa 20 bis 60 Milliliter Blut aus.

**Menschen mit Hämophilie können und sollen Sport treiben.**

Schonung aus Angst vor Verletzungen ist auch bei Hämophilie nicht angesagt. Durch Sport kräftigen sich die Muskeln, welche die Gelenke entlasten und schützen. Bei gut eingestellter Therapie ist ein sportlicher Lebensstil kein Problem. Sportarten mit hohem Verletzungsrisiko, zum Beispiel Eishockey, Rugby oder Boxen, sollten jedoch besser gemieden werden.

**Kinder mit Hämophilie leben heute genauso lange wie gesunde.**

Voraussetzung dafür ist allerdings, dass die Krankheit früh entdeckt und behandelt wird. Unbehandelt kann Hämophilie noch vor dem Eintritt ins Erwachsenenalter zum Tod führen. Kinder, die konsequent behandelt werden, haben eine ebenso lange Lebenserwartung wie gesunde Gleichaltrige.

**Hämophilie wird auch als „königliche Krankheit“ bezeichnet.**

Königin Victoria, die von 1837 bis 1901 England regierte, soll den Gendefekt getragen haben, der zu Hämophilie B führt – und ihn an drei ihrer neun Kinder weitergegeben haben. Dadurch, dass die Königinnen-Kinder in unterschiedliche Königshäuser verheiratet wurden, breitete sich die Krankheit in mehreren Königsfamilien in England, Deutschland, Russland und Spanien aus.

## ADVERTORIAL

# Ausreichend Schutz, um frei zu sein

Wo die Sorge regiert, da fehlt der Spaß: Menschen mit Hämophilie möchten nicht, dass die Krankheit ihr Leben einschränkt. Eine gut eingestellte Therapie und moderne Faktorpräparate ermöglichen es ihnen, trotz Erkrankung ein aktives Leben zu führen.

„Soll ich das wirklich machen?“ Diese Frage stellen sich die meisten Menschen, die kurz vor einem Bungee-Sprung stehen. Menschen mit der Bluterkrankheit Hämophilie stellen sich diese Frage sicher noch ein paar Mal öfter. Denn wenn die Blutgerinnung gestört ist, können selbst kleine Verletzungen und Stöße schwerwiegende Folgen haben. Für Mark Wilkes ist die Krankheit jedoch kein Grund, auf solche Abenteuer zu verzichten.

Der 27-jährige Architektur-Student lebt seit seiner Geburt mit einer schweren Hämophilie B. Zweimal die Woche spritzt er sich den fehlenden Gerinnungsfak-

tor IX. Diese Therapie ermöglicht Wilkes seinen aktiven Lebensstil: Bungee-Jumping, Bodyflying – sogar Tätowierungen ließ er sich stechen. Allesamt Aktivitäten, von denen Ärzte Hämophilie-Patienten eher abraten. Doch Vorsicht ist manchmal belastender als ein Risiko, findet Wilkes: „Manchmal muss man ein bisschen was riskieren. Denn: Wenn ich immer nur vorsichtig wäre, dann wäre das Leben doch ziemlich langweilig.“

an Gerinnungsfaktoren im Körper am höchsten ist. Eine kluge Entscheidung. Denn wie gut und schmerzfrei Menschen mit Hämophilie leben können, hängt vor allem davon ab, wie gut die Therapie eingestellt ist – und wie effektiv das Faktor-Präparat wirkt. Langzeitstudien zeigen, dass es trotz Dauertherapie mit den entsprechenden Gerinnungsfaktoren im Laufe des Lebens der Betroffenen gelegentlich zu Blutungen kommt.

## Schwachstelle Gelenke

Zu den größten Problemen von Menschen mit Hämophilie gehören Gelenksbeschwerden – selbst unter Prophylaxe-Therapie. Durch eine Erschütterung oder einen Stoß kommt es immer wieder zu Blutungen, insbesondere in den Sprung-, Knie- oder Ellbogengelenken. Das beim Abbau des Blutes freigesetzte Eisen kann eine Entzündung hervorrufen. Unbehandelt besteht die Gefahr, dass sich dadurch die Strukturen an der Gelenkinnenhaut und am Knorpel verändern. Narben und Wucherungen an der Gelenkinnenhaut führen dazu, dass das betroffene Gelenk noch anfälliger für Blutungen wird.

Vor allem der Gelenkknorpel leidet darunter. Er ist für die Beweglichkeit des Gelenks verantwortlich und verhindert, dass die Knochen direkt aufeinander reiben. Knorpelschäden führen zu chronischem Gelenkverschleiß, der sogenannten Arthropathie. Das Gelenk schmerzt, die Betroffenen vermeiden Bewegung und das Gelenk versteift. Mehr Schmerzen sowie eine eingeschränkte Mobilität sind die Folge.

## Faktor für mehr Lebensqualität

Bereits eine einzige Einblutung kann einen bleibenden Schaden anrichten. Daher ist es wichtig, dass die Prophylaxe-Therapie perfekt auf den jeweiligen



Patienten eingestellt ist und er zu jedem Zeitpunkt über ausreichenden Gerinnungsschutz verfügt. Eine Herausforderung in der Behandlung von Hämophilie, denn der Körper baut den gespritzten Gerinnungsfaktor kontinuierlich ab.

Damit die niedrigste Konzentration des Gerinnungsfaktors, der sogenannte Talspiegel, immer noch hoch genug ist, um auch aktive Patienten vor Gelenkblutungen zu schützen, müssen zum einen die Spritzintervalle entsprechend angepasst werden. Das heißt: Bevor der Talspiegel kritisch sinkt, muss das Medikament mit dem fehlenden Gerinnungsfaktor erneut gespritzt werden. Um

bestmöglichem Schutz auch bei größeren Spritzintervallen zu gewährleisten, wurden daher halbwertszeitverlängerte Faktorpräparate entwickelt. Studien belegen, dass sie weniger schnell vom Körper abgebaut werden und dadurch länger zuverlässigen Schutz bieten.

Zu wissen, dass zu jedem Zeitpunkt eine ausreichende Menge an Gerinnungsfaktor im Körper ist, ist die Voraussetzung für einen selbstbestimmten Alltag. Ein Alltag ohne Einschränkungen ist ein wichtiger Faktor für mehr Lebensqualität. Das findet auch Hämophilie-Patient Wilkes – und freut sich schon auf sein nächstes Abenteuer: Fallschirmspringen.

» Ein Alltag ohne Einschränkungen ist ein wichtiger Faktor für mehr Lebensqualität.

## FORSCHUNG FÜR EINE BESSERE ZUKUNFT

Swedish Orphan Biovitrum AB (Sobi) ist ein pharmazeutisches Unternehmen mit Hauptsitz in Stockholm, das sich auf die Behandlung von seltenen Erkrankungen spezialisiert hat. Sobi versteht sich als Partner für Ärzte und Patienten. Das Unternehmen blickt auf über 50 Jahre Erfahrung im Bereich der Gerinnungsfaktorherstellung zurück und hat in den 1940er-Jahren Pionierarbeit bei der Fraktionierung von Plasmaprotein geleistet.

Seit 2016 stellt Sobi gemeinsam mit Bioverativ eine einzigartige, zukunftsweisende Hämophilie-Behandlung zur Verfügung: Die Verwendung der natürlichen Fc-Fusionstechnologie und die dadurch bedingte verlängerte Halbwertszeit der Gerinnungsfaktoren VIII und IX im Körper hat das Potenzial, das Leben von Menschen mit Hämophilie langfristig zu verbessern. Durch kontinuierliche wissenschaftliche Forschung treibt Sobi die Verbesserung der Versorgung von Hämophilie-Patienten voran.

Das Engagement des Pharmaunternehmens geht über die bloße Behandlung der Krankheit hinaus. Um das Leben der Betroffenen mit all seinen Facetten bestmöglich zu unterstützen, arbeitet Sobi eng mit Hämophilie-Verbänden zusammen und hat dadurch zum Beispiel eine anwenderfreundlichere Verpackung entwickelt. Das Ziel ist es, Menschen mit Hämophilie eine bessere Zukunft zu ermöglichen.

Mehr spannende Geschichten aus dem Leben von Menschen mit Hämophilie finden Sie im Internet unter:  
[www.liberatelife-community.de](http://www.liberatelife-community.de)





Priv.-Doz. Dr. Robert Klamroth ist in Berlin Chefarzt im Vivantes-Klinikum für Innere Medizin, Angiologie und Hämostaseologie sowie Leiter des Zentrums für Hämophilie.

# Von Genföhren und Halbwertszeiten

VON JOHANNA BADORREK

Die Erkrankung Hämophilie ist selten, mittlerweile aber gut erforscht, sodass Ärzte und Wissenschaftler die Lebenserwartung und -qualität der Betroffenen stetig verbessern konnten. Ging es in den 1940er-Jahren noch darum, die ersten Patienten bei Blutungen mit Blutplasma von gesunden Spendern zu versorgen, machte bereits 1965 das Verfahren der Kryofällung ambulante Behandlungen akut auftretender Blutungen möglich. In den 1970er-Jahren wurden die Weichen für die ärztlich kontrollierte Heimselbstbehandlung gestellt. 1984 gelang es erstmals, das Gen, das für Faktor VIII zuständig ist, zu klonen, was den Weg für eine gentechnische Produktion der Gerinnungspräparate ebnete. Priv.-Doz. Dr. Robert Klamroth, Chefarzt im Vivantes Klinikum Berlin, gibt einen Überblick, wo wir heute stehen und wo es hingeht.

## Am Anfang einer Therapie steht die Entdeckung der Krankheit. Wann wird eine Hämophilie in der Regel bemerkt?

Der Zeitpunkt hängt von dem Schweregrad der Hämophilie ab und davon, ob die Krankheit in der Familie bekannt ist. Ist Letzteres der Fall, wird das Kind direkt nach der Geburt untersucht. Wenn die Mutter Konduktorin der Hämophilie ist, besteht eine 50-prozentige Wahrscheinlichkeit, dass der neugeborene Junge an der Hämophilie erkrankt. Aber es treten auch relativ häufig Spontanmutationen auf, sodass die Hämophilie erst beim Auftreten von Blutungssymptomen entdeckt wird. Eine mittelschwere Hämophilie wird meist im Kindesalter entdeckt, eine milde manchmal erst im Jugend- oder Erwachsenenalter, zum Beispiel bei einer größeren Operation. Eine schwere Form wird früh entdeckt, meistens wenn das Kind zu krabbeln beginnt und vermehrt Hämatome auftreten. Im Verdachtsfall führt der Kinderarzt eine erste Gerinnungsabklärung durch. Gibt es Auffälligkeiten, erfolgen weitere Untersuchungen im Hämophilie-Zentrum.

## Wie sieht die Diagnostik heute aus?

Die laboranalytischen Verfahren sind seit Längerem ausgereift und funktionieren sehr gut. Wir können die Ursache der Blutungsneigung und den Schweregrad genau identifizieren. Wir machen auch eine genetische Analyse, in der der Defekt des Gens betrachtet wird, und überwachen im Labor, ob Hemmkörper gebildet werden, wenn wir Faktor VIII substituie-

ren. Das bedeutet, dass das körpereigene Immunsystem Antikörper gegen den verabreichten Faktor bildet und diesen neutralisiert. Das kann die Therapie unwirksam machen. Jedes dritte Kind mit einer schweren Hämophilie A entwickelt zu Beginn der Therapie mit Faktor VIII eine solche Immunreaktion.

## Wie geht es dann weiter?

Mit einer Immuntoleranztherapie (ITT), dabei werden über eine längere Zeit hohe Dosen Faktor VIII verabreicht. So soll sich das Immunsystem an den substituierten Faktor VIII gewöhnen. Funktioniert auch das nicht, versucht man eine Blutungsprophylaxe mit Bypass-Medikamenten oder einem neuen Medikament, das die Funktion des Faktors VIII imitiert.

## Das hört sich an, als hätte sich in der Therapie einiges verändert.

Ja, in der Therapie gibt es erhebliche Entwicklungen. Zunächst einmal haben sich Ansprüche und Ziele stark verändert. So wissen wir heute beispielsweise, dass schon eine einzige Gelenkblutung später für große Schäden sorgen kann. Deshalb ist es immer oberstes Ziel, das zu verhindern. Dann ist die Therapie sehr viel individueller geworden. Ein Mensch, der sich weniger bewegt, wird anders behandelt als ein aktiver Jugendlicher, der Sport macht.

## Wie sieht es bei den Präparaten aus?

Auch da hat sich viel verbessert. Der Gerinnungsfaktor muss regelmäßig in-

travenös gespritzt werden. Wie oft, das hängt von der Halbwertszeit ab, also der Zeit, in der sich der zugeführte Faktor um die Hälfte im Körper verringert. Je länger die Halbwertszeit, desto weniger muss gespritzt werden. Hier gibt es nun neue Präparate, die langsamer vom Körper abgebaut werden und deshalb länger im Körper wirksam sind. Es muss also seltener gespritzt werden. Aber das ist nur Schritt eins.

## Was ist Schritt zwei?

Bei der Hämophilie A geht es grundsätzlich darum, den Faktor VIII zu ersetzen. Er sorgt dafür, dass Faktor IX Faktor X aktivieren kann. Er beschleunigt die Reaktion, sodass ein stabiles Blutgerinnsel entsteht. Fehlt Faktor VIII, ist diese Reaktion verlangsamt und die Patienten bluten. Hier gibt es nun eine geniale Idee. Wissenschaftler haben einen bispezifischen monoklonalen Antikörper entwickelt, der die Wirkung von Faktor VIII imitiert. Das Präparat ist seit Kurzem zur Therapie von Patienten mit schwerer Hämophilie A mit und ohne einem Hemmkörper zugelassen. Es wird einmal pro Woche subkutan gespritzt. Damit entfällt also die intravenöse Injektion. Das ist eine große Verbesserung, vor allem bei schwierigem venösen Zugang. Besonders profitieren von diesem Medikament aber Patienten mit einem Hemmkörper gegen Faktor VIII, da es durch den Hemmkörper nicht in seiner Funktion beeinträchtigt wird.

## Ist eine „Reparatur“ der defekten Gene in Sicht?

Da ist für mich eine neue Studie sehr interessant. Dabei wird ein gesundes Gen mit einer Genföhre – einem Vektor, im Fall der Hämophilie ist das ein nicht pathogenes Virus – in eine Leberzelle eingeschleust. Diese Leberzelle produziert dann den fehlenden Gerinnungsfaktor wie in einem gesunden Körper. Das Gen wird allerdings nicht in die DNA der Leberzelle integriert, was dazu führt, dass die Information verloren gehen kann, wenn sich die Leberzelle teilt. Deshalb ist diese Therapie für Kinder noch nicht geeignet. Wir wissen auch nicht genau, wie lange der Effekt der Gentherapie anhält, gehen aber davon aus, dass es mindestens zehn Jahre sind. Ein Patient, der im Rahmen einer Studie bei uns behandelt wurde, ist jetzt seit knapp drei Jahren ohne spontane Blutungen. Diese Gentherapie ist nicht perfekt, aber sicher, auch weil das Gen nicht in die zelleigene DNA eingefügt wird und es keine Hinweise auf eine mögliche Krebsentwicklung gibt.

## Was bringt die Zukunft?

Man versucht bereits bei Mäusen mit der Idee der Gen-Editierung das defekte Gen zu reparieren. Dabei werden die defekten Sequenzen mithilfe einer Genschere ausgeschnitten und gegen eine gesunde Sequenz eingetauscht. Das würde eine vollständige Heilung für die Patienten bedeuten. fa

# Wissen bündeln – besser helfen

VON JOHANNA BADORREK

Hämophilie-Zentren und -Ärzte sind die Basis für die Betreuung von Hämophilie-Patienten. Was sie leisten, geht jedoch weit über eine bloße Versorgung hinaus, denn gerade bei seltenen Erkrankungen ist die Bündelung aller Ressourcen entscheidend.

Rund 10.000 Patienten in Deutschland sind von der Blutgerinnungsstörung Hämophilie betroffen. Sie werden versorgt von Hämophilie-Ärzten und -Zentren, die im Verbund eine umfassende und interdisziplinäre Betreuung leisten. Dr. Robert Klamroth, Chefarzt im Vivantes Klinikum, leitet das Hämophilie-Zentrum in Berlin. Er erklärt: „Hämophilie ist eine komplexe Krankheit, eine falsche Betreuung kann lebensgefährdend sein. Wir wissen heute, dass Patienten, die in einem Hämophilie-Zentrum versorgt werden, länger leben. Denn dort fließt viel zusammen, Ärzte mit unterschiedlichen Fachgebieten bieten gemeinsame Sprechstunden an, wir

haben Spezial-Labore sowie Ansprechpartner mit Zugriff auf Medikamente, die für den Notfall rund um die Uhr zur Verfügung stehen.“ Im Nebeneffekt wird das Gesundheitssystem entlastet, da diese nachhaltige Betreuung hilft, Behandlungskosten für Folgeerkrankungen zu vermeiden. Aber auch die Bündelung von Fällen und Know-how ist sinnvoll, denn Hämophilie zählt zu den seltenen Erkrankungen. Es gibt also nur wenige Patienten und Spezialisten. In den Hämophilie-Zentren werden beide Seiten zusammengeführt. Das macht Sinn, weil mehr Patienten mehr Erfahrung für die Spezialisten bedeuten, was zu einer verbesserten Versorgung führt.

## Bundesweites Netzwerk

Die Deutsche Hämophilie Gesellschaft e. V. (DHG) listet alle Zentren und Fachleute, die gemeinsam eine bundesweite und möglichst wohnortnahe Versorgung leisten. Unterschieden werden zwei Arten von Zentren sowie die Hämophilie-Ärzte mit eigener Praxis (HB). Die umfangreichsten Versorgungsmöglichkeiten bieten die Comprehensive Care-Center (CCC), die mehr als 40 Patienten versorgen, oft an Unikliniken angeschlossen sind und Studien durchführen. An sie sollten sich Patienten bei Komplikationen oder größeren Operationen wenden, wie Klamroth rät. Wenn alles rund läuft, reiche

eine Betreuung in einem der kleineren Haemophilia Treatment Centre (HTC), die mindestens zehn Patienten versorgen. Ergänzend gewährleisten Hämophilie-Ärzte eine wohnortnahe Betreuung, falls das nächste Zentrum für den Patienten zu weit weg ist. Sie arbeiten mit einem der CCC-Zentren zusammen und stellen ihren Patienten dort mindestens einmal im Jahr vor. Alle Zentren und Ärzte melden Erkrankte dem Deutschen Hämophilie-Register (DHR), das unter Beachtung des Datenschutzes Daten sammelt und auswertet, um die Forschung voranzutreiben und den Verbrauch an Gerinnungspräparaten zu ermitteln. **f**



Holger George freut sich über die Erleichterungen in seinem Alltag durch die neuen Medikamente.

## PATIENTENREPORTAGE

# Ein Wechsel ins leichtere Leben

Bis zu mehrmals wöchentlich Injektionen in die Vene: Diese Therapie ist für viele Menschen mit schwerer Hämophilie A fast ebenso belastend wie die Krankheit selbst. Doch die Forschung steht nicht still: Moderne Medikamente schützen länger und sicherer vor Blutungen – was die Lebensqualität der Betroffenen erheblich verbessert. Für Hämophilie A-Patienten lohnt es sich, mit ihrem behandelnden Arzt im Hämophilie-Zentrum über neue Therapiemöglichkeiten zu sprechen.

Seltener spritzen müssen und sogar besser geschützt sein: Holger George lebt heute wesentlich besser mit seiner Krankheit als noch vor einigen Jahren. Im Alter von zwei Jahren wurde bei dem heute 52-Jährigen eine schwere Form der Hämophilie A diagnostiziert, die sogenannte Bluterkrankheit, bei der der Gerinnungsfaktor VIII teilweise oder ganz fehlt. Seine Kindheit stand im Zeichen der Erkrankung: Dreimal die Woche Medikamente in die Vene spritzen, trotzdem auf Sport verzichten, dazu geschädigte Knie und kaputte Sprunggelenke.

Wenn die Blutgerinnung nicht richtig funktioniert, können bereits leichte Stöße Blutungen in den Gelenken auslösen, die zu Narben und hämophilen Arthrosen führen können. Die Folge: starke Schmerzen und

eine eingeschränkte Lebensqualität. „Ich war ein wildes Kind und hatte daher öfter Gelenkblutungen“, erinnert sich George.

## Länger und besser geschützt

Das Problem ist, dass der Körper die bisherigen Medikamente schnell abbaut. So kann es passieren, dass sie nicht über den gesamten Zeitraum zwischen zwei Spritzen optimal wirken und die niedrigste Konzentration, die als Talspiegel bezeichnet wird, nicht mehr optimal vor Gelenkblutungen schützt. Um dies zu verhindern, wurden die Medikamente im Laufe der Jahre kontinuierlich verbessert, sodass sie möglichst zu jedem Zeitpunkt ausreichend Gerinnungsschutz bieten.

Dass es sich lohnt, auf moderne Arzneimittel umzustellen, davon ist George

überzeugt. Vor 18 Monaten hat er im Rahmen einer Studie ein neues Präparat getestet, das vom Körper nur sehr langsam abgebaut wird und auf diese Weise Gelenkblutungen weitestgehend verhindert – und das sogar über einen Zeitraum bis zu vier Wochen. Ein wichtiger Pluspunkt für die Patienten. Denn: Seltenes und vereinfachtes Spritzen bedeutet weniger Belastung im Alltag und sorgt für mehr Lebensqualität.

## Seltener spritzen, besser leben

George muss sich dank des neuen Präparats statt dreimal die Woche nur noch einmal in der Woche spritzen. Und auch die Menge des Medikaments ist deutlich geringer. „Wenn ich früher für mehrere Tage verreisen wollte, musste ich ein wei-

teres Gepäckstück nur für die Hämophilie-Medikamente mitschleppen“, erinnert sich George. „Mit der neuen Therapie fühle ich mich unterwegs sprichwörtlich leichter.“

George empfiehlt anderen Patienten mit Hämophilie, sich regelmäßig bei ihrem Arzt im Hämophilie-Zentrum über neue Behandlungsmethoden zu informieren. „Die spezialisierten Ärzte sind sehr innovativ und setzen sich toll für die Patienten ein“, resümiert George. „Ich fühle mich durch die Umstellung auf das neue Medikament besser geschützt und durch die verlängerten Spritzintervalle gleichzeitig freier. Meine Lebensqualität ist deutlich gestiegen.“

Mit freundlicher Unterstützung der Roche Pharma AG und Chugai Pharma Germany GmbH

# Die Heilung zum Greifen nah

VON WIEBKE TOEBELMANN

Durch eine einzige Behandlung auf das ständige Spritzen verzichten? Die Gentherapie soll es möglich machen. Und steht tatsächlich unmittelbar davor, Blutern weltweit das Leben erheblich zu erleichtern. Studien zeigen bahnbrechende Ergebnisse. Doch ein wenig Forschung ist auch noch notwendig.



Prof. Dr. Wolfgang Miesbach, Leiter des Schwerpunkts Hämostaseologie am Universitätsklinikum Frankfurt am Main, arbeitet mit seinem Team an der Heilung der Hämophilie.

Wer an schwerer Hämophilie leidet, muss mit Einschränkungen leben und ist je nach Form auf eine Ersatztherapie mit dem fehlenden Gerinnungsfaktor VIII oder IX angewiesen. Um von der vorbeugenden Wirkung zu profitieren, muss der Patient mehrmals in der Woche intravenöse Injektionen oder Infusionen erhalten. Eine lebenslange Behandlung, die durch eine einzige ersetzt werden soll – das verspricht die Gentherapie. Sie könnte das Leben von weltweit rund einer halben Million Betroffener grundlegend verändern. Der Weg dorthin war im medizinischen Kontext ein relativ kurzer, ist die Bluterkrankheit doch ein gut erforschtes und schon lange bekanntes Leiden.

„Es ist schon erstaunlich. Es handelt sich bei der Hämophilie um eine Erkrankung, die schon seit über 2.000 Jahren bekannt ist,

aber die relevanten Veränderungen in der Therapie haben erst in den letzten Jahren stattgefunden“, sagt Professor Wolfgang Miesbach, Leiter des Schwerpunkts Hämostaseologie am Universitätsklinikum Frankfurt am Main. „Dafür kamen diese Entwicklungen umso rasanter. Wir können geradezu von Quantensprüngen reden.“

## Studie mit überraschenden Ergebnissen

Diese Quantensprünge werden durch mehrere Studien bestätigt. 2017 geschah etwa ein weiterer Durchbruch in Form einer im New England Journal of Medicine publizierten Studie. Bei den Probanden handelte es sich um zehn Männer, die an der schweren Form Hämophilie B erkrankt waren und folglich zu wenig oder gar keinen Blutgerinnungsfaktor IX (FIX) bilden konnten. Das Ergebnis: Neun der zehn Teilnehmer hatten im Zeitraum von einem

halben Jahr bis eineinhalb Jahren keine Blutungen mehr. Während zwei der Probanden nur noch sehr wenige Blutgerinnungsfaktoren benötigten, konnten acht der zehn komplett darauf verzichten.

## Bluterkrankheit prädestiniert für Gentherapie

Das Prinzip einer Gentherapie beruht darauf, das defekte Gen der Erkrankung zu korrigieren. So ist nur eine einzige Infusion notwendig, um dauerhaft hohe Faktorenspiegel zu erreichen. Für die Patienten bedeutet dies, dass keine spontanen Blutungen mehr auftreten und die Verabreichung der Faktoren-Ersatzpräparate nicht mehr erforderlich ist.

Dass die Gentherapie gerade für eine Erkrankung wie Hämophilie besonders infrage kommt, liege auf die Hand, so Professor Miesbach. So handele es sich, anders als beispielsweise bei Rheuma oder Diabetes, um eine monogenetische Erkrankung mit einem gut messbaren Faktorenspiegel. Die positiven Resultate seien dadurch schnell im Labor sichtbar. „Bei der Hämophilie ist jeweils nur ein einzelnes, gut charakterisiertes und vollständig entschlüsseltes Gen betroffen. So kann ein bereits geringer Anstieg der Gerinnungsfaktor-Aktivität zu einer erheblichen Verbesserung der Symptome führen. Zudem wird der fehlende Gerinnungsfaktor überwiegend in der Leber produziert, und eine lebergezielte Gentherapie hat ein hohes Erfolgspotenzial.“

## Genverschickung per Virenfähre

Die am meisten entwickelte Variante der Gentherapie ist die des Gentransfers. Dabei wird eine Kopie des betroffenen Gens dem Organismus zugeführt. Das Zielgewebe produziert ein entsprechendes Protein und schickt es in die Blutbahn. Auch die sogenannte Packungsgröße spielt eine Rolle, so Miesbach. Das funktionierende Gen, das der Leber zugeführt werden soll, ist klein genug, um in den Vektor zu passen. Bei solchen Vektoren handelt es sich um Adeno-assoziierte Viren (AAV), die als Fähre/Vehikel die Genkopien in die Zellen bringen.

Bei der oben beschriebenen Studie entwickelten die Teilnehmer bei dieser Prozedur bis zu 30 Prozent höhere FIX-Aktivitäten und teilweise noch höhere FVIII-Aktivitäten als zuvor. Heißt: kaum noch spontane Blutungen und eine intravenöse Gabe von FIX-Gerinnungsfak-

torenkonzentrat nur noch im Falle von schweren Blutungen bei Operationen oder Unfällen. Ein Schritt in Richtung Heilung? Durchaus, glaubt Professor Miesbach. Die Hoffnung sei groß, dass Betroffene sogar normale Gerinnungsfaktoren entwickeln könnten. Miesbach und sein Team behandelten die ersten Patienten 2015 und beobachteten eine Zunahme der Lebensqualität, größere Sportlichkeit und Gewichtsabnahme – und keine Blutungen.

## So viel Potenzial – und ein paar Stolpersteine

„Für Patienten ist die Therapie derzeit noch ausschließlich in Studien möglich, und das Interesse ist verständlicherweise groß“, sagt Professor Miesbach, der oft Anfragen zu der Behandlung erhält. Angesichts der schnellen Entwicklung fließen die Forschungsgelder, und auch was die Zulassung und allgemeine Verfügbarkeit betrifft, ist der Experte optimistisch. „Die Regulierungsbehörden sind positiv gestimmt, und es ist denkbar, dass die Gentherapie bereits in wenigen Jahren zugelassen wird.“ Der Zugang zu der Therapie könne auch Blutern in Entwicklungsländern helfen. „Zwei Drittel der Patienten weltweit können nicht versorgt werden. Das könnte sich mit einer flächendeckend eingesetzten Gentherapie komplett verändern.“

Obwohl sich AVV als hochverträglich bewährt haben, kann es vereinzelt zu Komplikationen kommen. Bei einigen wenigen Patienten mit präexistierenden Antikörpern erwies sich die Gentherapie als wirkungslos. Auch eine Reaktion wie eine lokale Leberentzündung war mitunter zu beobachten. „Die Forschung hat das natürlich im Blick, und es wird nach neuen Vektoren gesucht, die nicht mehr immunogen wirken. Wir versuchen, diese Probleme – so selten sie auch auftreten – besser zu verstehen und zu umgehen.“ Noch fehlen Langzeitdaten. So weiß man noch nicht, wie lange der positive Effekt der Behandlung anhält und ob irgendwann eine weitere notwendig ist. Aber die Zeichen stehen gut, dass sich die Gentherapie bald in die bewährten Behandlungsmethoden einreihen und sie vielleicht sogar eines Tages ersetzen könnte. Die großen Biotechunternehmen sehen diese Zeichen schon jetzt – und steigen mit Großinvestitionen in die Gentherapie ein. f

# Telemedizin: Effizient und nah am Patienten

VON MARIUS LEWEKE

Die Visite per Mausklick ist auf dem Vormarsch. Kein Wunder, denn die Digitalisierung in der Medizin schafft ganz neue Möglichkeiten, Patienten schnell und unkompliziert mit dem passenden Spezialisten zusammenzuschalten. Gerade für Hämophilie-Patienten bringt das viele Vorteile, sagt Professor Dr. Gernot Marx, Vorstandsvorsitzender der Deutschen Gesellschaft für Telemedizin (DGTelemed).

„Die Telemedizin schafft eine Situation fast wie im Untersuchungszimmer“, so Professor Marx, „die alles abdeckt bis auf die Haptik, also die Berührung des Patienten.“ Das erspart gerade Menschen mit chronischen und komplexen Erkrankungen viele Arztbesuche, ohne dass die Versorgung etwa beim Einstellen von Medikationen, darunter leidet. Die Behandlung via Telemedizin ist so effizient und zugleich nah am Patienten. Professor Marx nutzt die Telemedizin seit rund acht Jahren und ist von deren Möglichkeiten überzeugt – nicht nur beim Kontakt mit Erkrankten. „Konsultationen mit niedergelassenen Kollegen oder Spezialisten aus anderen Kliniken sind sehr viel einfacher“, so der Direktor der Klinik für

Operative Intensivmedizin an der Uniklinik der RWTH Aachen. Das schaffe gerade auch für die Behandlung von an Hämophilie Erkrankten ein leicht zugängliches breites Spektrum an Expertise – ohne oft strapaziöse Reisen. „Das ist für Patienten mit komplexem Krankheitsbild eine große Erleichterung.“ Es sei beispielsweise eine engere Überwachung von Therapiemaßnahmen möglich und der Patient hat schneller Zugang zum Arzt. Allerdings könne der virtuelle Praxisbesuch Präsenztreffen nicht komplett ersetzen.

## Hohe Akzeptanz bei Erkrankten und Ärzten

Im beruflichen Alltag erfährt Professor Marx viel Zustimmung für den Einsatz der Telemedizin. „Bei den Projek-

ten, an denen ich arbeite, ist die Akzeptanz auf beiden Seiten – Ärzte wie Patienten – überwältigend.“ Zum einen gebe es kaum noch Berührungsängste mit den Endgeräten. „Die meisten Menschen sind routiniert im Umgang mit Smartphone und Tablet.“ Zum anderen stehen genügend Ressourcen zur Verfügung, um hohe Standards bei der Datensicherheit zu gewährleisten. „Der Patient behält die Datenhoheit“, so Professor Marx. Unter der Voraussetzung von Datenschutz und Anonymisierung sei dann als nächster Schritt auch die Einbindung von Big Data und künstlicher Intelligenz bei der Forschung zu eher selten auftretenden Erkrankungen wie der Hämophilie möglich. fi



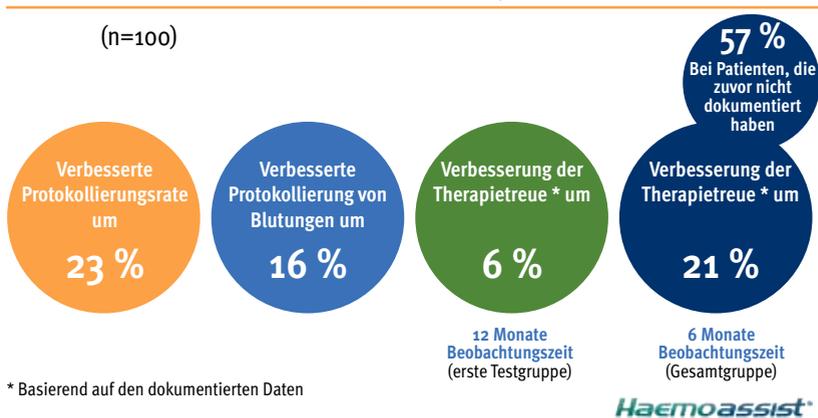
Prof. Dr. Gernot Marx, Vorstandsvorsitzender der Deutschen Gesellschaft für Telemedizin

## ADVERTORIAL

# Verbesserung der Therapietreue durch elektronische Dokumentationssysteme

## Erste Datenauswertung des Hämophiliezentrum in Bonn

(n=100)



Banchev et al. Impact of Telemedicine Tools on Record Keeping and Compliance in Haemophilia Care, Haemostaseologie, <https://doi.org/10.1055/s-0038-1676128>.



Was noch in der Generation unserer Großeltern in schweren Fällen ein frühes Todesurteil bedeuten konnte, hat heute zum Glück seinen Schrecken verloren: Hämophilie ist mittlerweile gut behandelbar. Betroffene können heute unter einer regelmäßigen Behandlung mit Gerinnungsfaktorkonzentraten ein nahezu normales Leben führen. Die Einführung der ärztlich kontrollierten Heimselbstbehandlung war ein Meilenstein in der Geschichte der Hämophilie-Behandlung.

Seither können Patienten nach ärztlicher Anleitung das Spritzen der Faktorkonzentrate selbst übernehmen. Voraussetzung ist jedoch die regelmäßige korrekte Dokumentation der Behandlung und auftretender Ereignisse. Dabei spielen Smartphone-Apps wie Haemoassist® eine zunehmend wichtige Rolle. Durch elektronische Dokumentationssysteme haben sich die Dokumentationsqualität in der Hämophilie-Behandlung wie auch die Therapietreue der Patienten verbessert. Der vielfältige

Nutzen für die Patienten und die Hämophilie-Forschung ist mit Händen zu greifen. Die Patienten profitieren davon, dass ihre behandelnden Ärzte jederzeit auf dem aktuellen Stand sind und bei Auffälligkeiten schnell intervenieren können. Dabei sind praxisorientierte Auswertungen behilflich, die auch das Gespräch mit dem Patienten über notwendige Therapieanpassungen unterstützen. Durch die einfache Bedienung ist diese Smartphone-App für Patienten aller Altersstufen geeignet. Gerade auch ältere oder bewegungseingeschränkte Patienten haben den besonderen Vorteil, das oft weit entfernte Hämophiliezentrum seltener besuchen zu müssen und ihre Selbstbehandlung dennoch in engem Austausch mit ihrem Arzt durchzuführen. Überdies können elektronische Dokumentationssysteme dabei helfen, die Masse der Real-World-Daten zu bewältigen, die das Deutsche Hämophilie-register zur weiteren Auswertung erhalten soll. Hierbei ist die hohe Datenqualität besonders wichtig. Durch ständige Weiterentwicklung, die auch in Zukunft fortgesetzt werden soll, hat sich Haemoassist® zu einem umfassenden Hämophilie-Therapiemanagement-Tool entwickelt.

Das Hämophiliezentrum Bonn untersuchte in einer Interimsanalyse, wie sich

die Nutzung von Haemoassist® auf die Therapietreue und Dokumentationsrate auswirkt [1]. Dazu wurden Daten von 100 Patienten des Zentrums ausgewertet, die die App seit 6–12 Monaten nutzten. 23 Prozent hatten zuvor keine Protokollierung durchgeführt, 67 Prozent in den letzten drei Jahren regelmäßig mittels Papiertagebuch. Die Protokollierung von Blutungen stieg um 16 Prozent. Die Therapietreue (Einhaltung des Prophylaxeregimes anhand der Dokumentation) stieg in der gesamten Kohorte mit der App um 21 Prozent. Eine deutliche Verbesserung ergab sich v. a. bei Patienten im Alter zwischen 13 und 40 Jahren. Die Protokollierungsrate wurde auf 90 Prozent gesteigert [1] (Abb.1). Die einfache Datenerhebung per App verbessert unmittelbar die Therapietreue des Patienten und unterstützt darüber hinaus die Forschung in der Beantwortung wichtiger Versorgungsfragen der Hämophilie-Patienten in Deutschland.

Weitere Informationen unter [www.haemoassist.com/leitfaden.pdf](http://www.haemoassist.com/leitfaden.pdf)



# Wenn Bluter zu Senioren werden

VON KAROLA KOSTEDE

Menschen, die an Hämophilie, an der angeborenen Blutgerinnungsstörung leiden, können heute nahezu normale Lebenserwartungen erreichen. Welche Schwierigkeiten ihre Patienten im Alter bekommen, weiß Frau Dr. Katharina Holstein genau. Sie ist Fachärztin für Innere Medizin und Hämatologie – Internistische Onkologie am Universitätsklinikum Hamburg-Eppendorf (UKE).

**Menschen, die an der Bluterkrankheit leiden, kommen heute an die normale Lebenserwartung heran. Doch dadurch treten auch vermehrt begleitende Alterserkrankungen auf. Welche sind besonders belastend?**

Das sind die Erkrankungen der Gelenke. Die Bluterkrankheit, die Hämophilie, ist eine angeborene Blutgerinnungsstörung, die dazu führt, dass es zu Blutungen vor allem in Gelenke und Muskulatur kommt. Patienten, die heute Senioren sind, haben in ihrer Kindheit und Jugend noch keine adäquate Behandlung erhalten. In der Regel leiden sie heute an einer schweren Gelenkschädigung, einer Arthrose und teilweise auch an versteiften Gelenken – das schränkt erheblich ein und ist schmerzvoll.

**Welche Erkrankungen kommen noch vor?**

Einige der älteren Patienten leiden an Infektionen wie Hepatitis-C oder HIV. Diese sind in der Regel durch kontaminierte Blutprodukte übertragen worden, die Ende der 70er- und Anfang der 80er-Jahre auf dem Markt waren. Senioren mit Hämophilie können natürlich auch die üblichen Alterserkrankungen bekommen. Es treten Herz-Kreislauf-Erkrankungen oder Krebserkrankungen auf. Patienten mit Hämophilie haben auch häufiger einen erhöhten Blutdruck.

**Gibt es heute neue Therapieansätze für Bluter, die an HIV und Hepatitis leiden?**

Ja. Neben den neuen HIV-Medikamenten haben sich auch die neuen Medikamente, die Hepatitis C behandeln, sehr positiv entwickelt. Diese haben viel weniger Nebenwirkungen als frühere Therapien und eine deutlich bessere Erfolgsrate. Für die Patienten ist es eine große Erleichterung, denn Hepatitis C kann zu Leberzirrhose oder Leberkrebs führen. Nicht klar ist, was zu tun ist, um Herz-Kreislauf-Erkrankungen im Alter vorzubeugen. Das Problem ist, dass man noch nicht so viel Erfahrung mit älteren Patienten hat. Durch das HIV-Drama sind viele Patienten auch gar nicht erst alt geworden.

**Welches ist Ihrer Meinung die größte Herausforderung?**



Frau Dr. Katharina Holstein begleitet am UKE in Hamburg Bluter in allen medizinischen Fragen.

Für die heute älteren Menschen mit Hämophilie ist sicherlich die Gelenkerkrankung das größte Problem. Bei denen, die in 20 oder 30 Jahren alt werden, mag die Situation schon wieder anders aussehen, weil sie mit einer besseren Behandlung groß geworden sind. Für die Ärzte sind es hingegen auch die Herz-Kreislauf-Erkrankungen, bei denen Patienten ohne Bluterkrankheit Gerinnungshemmer bekommen würden.

**Wie können Schmerzen in den Gelenken bei Patienten mit Hämophilie erfolgreich therapiert werden?**

Das ist nicht so einfach, weil die Möglichkeiten der Schmerzmittel-Therapie begrenzt sind. Die Mittel, die gut anti-entzündlich wirken, haben auf lange Sicht erhebliche Nebenwirkungen. Sie erhöhen das Risiko von Herz-Kreislauf-Erkrankungen und können auch zu Magenblutungen führen. Andere Medikamente, die in der Schmerztherapie sonst eingesetzt werden, wie Morphinpräparate, wirken nicht so gut bei entzündlichen Gelenkerkrankungen. Die individuelle Schmerzbehandlung ist daher sicherlich eine große Herausforderung, und es sollten alle Möglichkeiten der Physiotherapie und orthopädischen Behandlung ausgeschöpft werden. Eine enge interdisziplinäre Zusammenarbeit ist daher sehr wichtig.

**Im fortgeschrittenen Alter ist die Vermeidung von Blutungen von großer Bedeutung. Worauf sollten die Senioren daher im Alltag besonders achten?**

Sie sollten regelmäßig ein Zentrum für Hämophilie aufsuchen. Das ist im Alter besonders wichtig, weil Bluter hier eine umfassende Beratung und Behandlung bekommen. Alle Fragen beispielsweise zur Sturz-Prophylaxe und zur eingeschränkten Bewegung werden dort gut beantwortet. Patienten mit schwerer Hämophilie sollten zudem ihr Zentrum aufsuchen, um möglicherweise vorbeugende Gerinnungsfaktor-Präparate zu erhalten. Ältere Patienten haben lange nur nach Bedarf den Gerinnungsfaktor gespritzt, aber sie sollten das Präparat bei klinischer Blutungsneigung auch vorbeugend bekommen. So kann unter anderem die Gefahr von Gehirnblutungen nach einem Sturz auf den Kopf vermieden werden. Zudem gilt es, jede weitere Blutung zu verhindern, die sonst die erkrankten Gelenke weiter schädigt und weiter die Beweglichkeit reduziert. Das kann dazu führen, dass Patienten, die schon Erkrankungen der Gelenke haben, pflege- und hilfsbedürftig werden. Das soll aber natürlich möglichst lange vermieden werden.

**Wenn Bluter dennoch ins Pflegeheim müssen, was muss dort unbedingt gewährleistet sein?**

Der Patient sollte weiterhin regelmäßig sein Zentrum für Hämophilie besuchen und die Substitution mit Gerinnungsfaktorkonzentraten sollte durchgeführt werden. Die betreuenden Ärzte im Heim sind da gefragt. Vielleicht müssen auch die Angehörigen das Spritzen übernehmen.

**Zur Prophylaxe muss der Bluter das Medikament Faktor VIII oder IX in der Regel direkt in die Vene spritzen. Doch was passiert, wenn dieses Spritzen zum Problem wird?**

Das ist leider nicht gut gelöst, da der normale Pflegedienst nicht intravenös spritzen darf. Dann muss ein Intensiv-Pflegedienst herangezogen werden, der für Patienten mit Hämophilie in der Regel nicht verordnet werden kann. Wenn Patienten sich nicht mehr selbst spritzen können, werden Ehepartner und Kinder angeleitet oder es übernehmen die Hausärzte. Die neuen Entwicklungen von Faktorkonzentraten mit längerer Wirkdauer und neuen Medikamenten, die subkutan gespritzt werden – das heißt ins Gewebe und nicht in die Vene – vereinfachen aber mittlerweile die Behandlung.

**Was kann die heutige Medizin für die Senioren mit Hämophilie tun, was sie vor 20 Jahren noch nicht konnte?**

Die Medizin hat in den letzten fünf Jahren sehr viele neue Möglichkeiten aufgezeigt. Es sind Faktorenkonzentrate entwickelt worden, die länger wirksam sind, wodurch man weniger häufig spritzen muss. Das ist eine große Erleichterung. Auch die neuen Therapieansätze, die auf den Markt kommen, machen das Leben für die Patienten sehr viel leichter. Es wird eine bessere Basisversorgung geboten. Aber man weiß noch nicht, ob die neuen Medikamente nicht auch bei älteren Menschen mit einem höheren Thrombose-Risiko verbunden sind. Es hat sich in der Forschung viel getan, und es geht weiter. Davon profitieren auch die jetzt älteren Menschen. Durch die heutigen sicheren und gut wirksamen Faktorkonzentrate hat man viel gewonnen. Für viele Patienten, die noch nicht ganz so alt sind, wird vielleicht noch die Gentherapie eine realistische Option sein, die bald auf den Markt kommen wird. fi

# Jeden Tag eine Spritze Lachen

VON JOHANNA BADORREK

Der Hamburger Rentner Dieter Dengel blickt auf ein langes Leben mit Hämophilie zurück. Er hat verschiedene Therapien, Stürze und eine Nierenblutung erlebt. Hier erzählt er, wie es ist, mit Hämophilie alt zu werden.



Dieter Dengel hat sich mit der Hämophilie arrangiert.

Dieter Dengel wurde 1944 geboren, kurz vor Kriegsende. Als er zwei, drei Jahre alt war, wurde seine Hämophilie entdeckt. „Ich habe eine schwere Form“, berichtet der heute 74-Jährige,

„die Restaktivität von Faktor VIII liegt unter einem Prozent.“ Bis heute hat sich viel getan bei Behandlung und Wissensstand der vererbten Blutgerinnungsstörung. Dieter Dengel hat die gesamte Entwicklung miterlebt. „Früher gab es gar keine Behandlung, Anfang der 60er-Jahre kamen die ersten Blutplasmapräparate“, erzählt er. Seine erste Faktor-Substitution erlebte er, als er mit Nierenbluten ins Krankenhaus musste. „Das war ein einschneidendes Erlebnis“, erinnert er sich, zumal die Behandlung Nebenwirkungen hatte. „Kaum war ich wieder zu Hause, bekam ich überall juckende Quaddeln.“ Am Anfang blieb die Allergie, gleichzeitig sorgte die ambulante Faktorsubstitution aber für mehr Freiheit. Heute kann er darüber lachen. Dabei gehört er auch zu den Generationen, die dem Risiko ausgesetzt waren, sich über Blutplasma-

präparate mit einer Viruserkrankung anzustecken. „Die Hepatitis C hat mich erwischt“, sagt er knapp. Deshalb leidet er heute an Leberzirrhose.

## Von Rollstuhl bis Apfeleerte

Seine Frau ist gemeinsam mit ihm an der Erkrankung gereift. Beide haben viel gelernt und können heute anderen Betroffenen helfen. „Meine Frau hat immer an den Fortschritt der Wissenschaft geglaubt“, sagt er. Und sie hat Recht behalten. Die neuen Erkenntnisse und Therapien werden wohl vor allem seinem Enkel helfen, der auch Hämophilie hat. Bei Dieter Dengel haben Krankheit und Behandlungen Spuren hinterlassen. „Die größte Herausforderung sind Arthrose und steife Gelenke mit Schmerzen, aber insgesamt bin ich noch ziemlich gelenkig. Nur bei größeren Ausflügen sitze ich im Rollstuhl, zum

Beispiel wenn es mit der Familie zum Dom geht“, erzählt er. Seine größte Angst ist es, eines Tages nicht mehr selbst spritzen zu können und eine Gehirnblutung zu bekommen. Um sich zu schützen, verabreicht er sich den Faktor prophylaktisch. Weiter empfiehlt er Wasser- und Krankengymnastik, um die Muskeln aufzubauen. Behandlungszentren mit noch mehr Behandlungsoptionen sowie kürzere Wartezeiten auf einen Arzttermin würde er als eine große Verbesserung im Gesundheitswesen empfinden. Insgesamt ist er zufrieden mit seinem Leben. Er ist Teil einer großen Familie, arbeitet gern im Garten und erntet noch selbst Äpfel. „Ich habe die Bäume so geschnitten, dass sie nicht zu hoch gewachsen sind“, sagt er und verrät dann sein Geheimrezept für ein Leben mit Hämophilie: „Jeden Morgen als Erstes eine Spritze Lachen.“ **f**

## ADVERTORIAL

# Lebensqualität per Hausbesuch

Ein aktives und selbstbestimmtes Leben ist auch mit Hämophilie möglich. Dazu tragen neben einer optimalen medikamentösen Therapie Patienten-Unterstützungsprogramme wie myHaemCare bei. Die Idee: Fachkräfte helfen mit Hausbesuchen übergangsweise, die Erkrankung und eine Heimtherapie selbstständig zu managen.

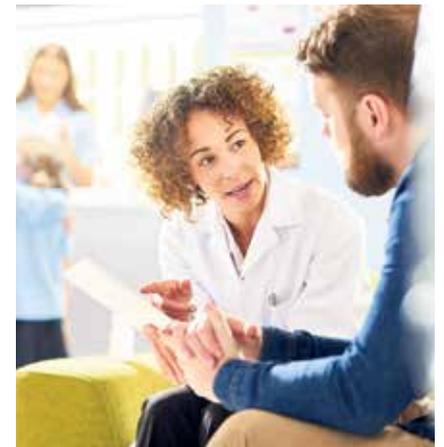
Wer mit der Blutgerinnungsstörung Hämophilie lebt, kann unbehandelt bereits durch einen kleinen Remppler gegen einen Tisch Schmerzen und bedrohliche Blutungen erfahren. Glücklicherweise ersetzen Faktorpräparate den fehlenden oder mit zu geringer Aktivität vorhandenen Gerinnungsfaktor. So können Menschen mit Hämophilie ein weitgehend unbeschwertes Leben führen. Nach der Erstdiagnose beginnt die Heimselbstbehandlung – das Faktorpräparat muss regelmäßig intravenös verabreicht werden. Eine erste Schulung durch Arzt und Hämophilie-Assistentin legt hierfür den Grundstock. Doch oft beginnen die eigentlichen Herausforderungen zu Hause, wenn Patienten, Eltern oder pflegende Angehörige mit Venenpunktion

und Faktorsubstitution alleine sind und Unsicherheiten bei der Durchführung und der Einschätzung von Schmerzen und Blutungen aufkommen. Hier springt das Patientenunterstützungsprogramm myHaemCare von Novo Nordisk ein. Ergänzend zum Arzt betreuen spezialisierte Fachkräfte Patienten und Angehörige zu Hause individuell weiter. Oberstes Ziel ist es, allen Betroffenen mehr Sicherheit im Umgang mit der Krankheit zu vermitteln und ihnen zu helfen, ihren Alltag selbstbestimmt, souverän und aktiv zu meistern.

## Vom Erstgespräch zur Autonomie

Das Programm greift insbesondere nach einer Erstindikation, einer Operation, bei schlechten Venenverhältnissen,

nach einer Neuverordnung des Gerinnungspräparates, bei Schwierigkeiten im Umgang mit dem Port und wenn vorübergehend Angehörige einspringen müssen, um eine Heimtherapie fortzusetzen. Die Teilnahme am Programm ist kostenlos, die Anmeldung erfolgt über den behandelnden Arzt. Gemeinsam mit ihm und der sogenannten myHaemCare-Fachkraft findet ein Erstgespräch statt, im Anschluss beginnt die Betreuung zu Hause. Sie wird fortgesetzt, bis wirklich alles geklärt ist und der Alltag gut funktioniert. Dabei orientiert sich die Unterstützung an den individuellen Bedürfnissen der Betroffenen. Ein wichtiges Element ist das Selbstmanagement der ärztlich verordneten Therapie, aber es geht auch viel um Motivation, den Um-



gang mit der Erkrankung und Medikation sowie um Gelenkgesundheit. Hinzu kommen Themen wie Ernährung, Sport, Umgang mit Stress und Herausforderungen im Alltag. Neben den Hausbesuchen stehen die Fachkräfte auch telefonisch und per E-Mail zur Verfügung. Der Gewinn für alle ist groß: Patienten und Angehörige erhalten zusätzliche Unterstützung und erarbeiten sich im Umgang mit ihrer Situation Souveränität und Selbstbestimmung. Und damit auch mehr Lebensqualität.

Informationen zum Programm gibt es unter [www.myhaemcare.de](http://www.myhaemcare.de), Informationen rund um das Leben mit Hämophilie unter [www.haemcare.de](http://www.haemcare.de).

# „Die Sorge ist immer da“

VON WIEBKE TOEBELMANN

Felix (11) hat Hämophilie. Seine Mutter Charlotte Staff berichtet, wie sie als Mutter mit der Diagnose umgegangen ist und wie die Krankheit die Familie im Alltag begleitet.



Charlotte Staff mit ihrem Sohn Felix. Er lebt mit Hämophilie.

## Frau Staff, wie haben Sie erfahren, dass Ihr Sohn Hämophilie hat? Wussten Sie nichts von der erblichen Vorbelastung?

Nein, ich hatte keine Ahnung, dass ich Konduktorin der Krankheit bin und ein kaputtes X-Chromosom in mir trage. Ich habe auch einen verminderten Faktorwert, bekomme leicht blaue Flecken. Aber dass ich Überträgerin bin, habe ich erst durch die Diagnose meines Sohnes erfahren. Als Felix ein halbes Jahr alt war, bin ich mit ihm zum Kinderarzt gegangen, weil er ständig dunkle, blaue Flecken hatte. Zunächst wurde im Ultraschall ausgeschlossen, dass innere Verletzungen vorhanden sind. Als die Hämatome weiterhin auftraten, wurden Bluttests gemacht. Und es hat sich schnell bestätigt, dass er Hämophilie B hat.

## Wie haben Sie sich gefühlt, als Sie die Diagnose erhalten haben?

Es hat mir erstmal den Boden unter den Füßen weggerissen. Nach ein wenig Internetrecherche habe ich sehr schnell gewusst, was diese Krankheit bedeutet und welche Konsequenzen sie hat. Mein Kind war so klein und hilflos, und ich selbst habe mich auch hilflos gefühlt.

## Wie ging es dann weiter?

Wir haben damals in Jena gewohnt, und in der dortigen Kinderklinik gibt es ein Hämophiliezentrum. So waren wir sofort in sehr guten Händen direkt vor der Haustür. Der Spezialist stellte dann Kontakt her zu einer anderen Mutter eines betroffenen Kindes. So hatte ich auch auf persönlicher Ebene gleich einen Ansprechpartner. Überhaupt war der Kontakt mit anderen Betroffenen enorm wichtig, besonders am Anfang. Es half mir, mit Felix' Erkrankung besser klarzukommen und sie einordnen zu können.

## Welche medizinischen Maßnahmen wurden dann ergriffen? Oder wurde zunächst gar nichts gemacht?

Es gibt unterschiedliche Meinungen darüber, was richtig ist. Es gibt etwa die Auffassung, man solle darauf warten, bis der betroffene Junge seine erste Gelenkeinblutung hat, bevor man die erste Prophylaxe spritzt. Das muss man so verstehen: Hinzufallen und sich das Knie aufzuschlagen ist nicht die zentrale Sorge, sondern das größere Problem sind die inneren Verletzungen, die bei Stürzen passieren können: Muskelblutungen und

im schlimmsten Fall eine Hirnblutung. Gerade, wenn ein Kind Laufen lernt und oft hinfällt, ist das natürlich mit Sorgen verbunden.

## Haben Sie bei Felix also auch mit der Medikation gewartet?

Nein, da er so schlimme Hämatome hatte, haben wir nicht gewartet. So bekam er einmal die Woche den prophylaktischen Faktor, damit der Körper quasi eine Regenerationsphase erhält.

## Mussten Sie denn bei Verletzungen immer ins Krankenhaus?

Klar. Als Felix zum Beispiel eine Platzwunde überm Auge hatte, mussten wir ins Krankenhaus mit ihm. Aber auch bei Nasenbluten sind wir in die Klinik gegangen, damit der Faktor substituiert werden konnte.

## Und wie war es beim Toben, Krabbeln, Laufenlernen?

Als Felix so richtig mobil wurde, musste er einen Helm tragen. Keinen Fahrradhelm natürlich, sondern einen weichen Helm, der auch von der Krankenkasse bezahlt wurde. Zu Hause klappte das recht gut, so dass wir den Helm auch immer mal absetzen konnten. Aber im Kindergarten musste er ihn aus Sicherheitsgründen fast ständig tragen. Kinder gehen ja zum Glück damit ganz anders um als Erwachsene und verstehen es nicht als Handicap. Eine Mutter erzählte mir, dass ihr Kind seinen Fahrradhelm nicht mehr absetzen wollte, da Felix schließlich auch immer einen Helm trage. Das fand ich total niedlich.

## Wie klappte das mit dem Fahrradfahren?

Wir haben es erst ein wenig hinausgezögert, und später trug Felix eben neben einem Helm auch noch Ellenbogen-, Handgelenk- und Knieschoner. Außerdem bekam er vor den ersten Versuchen immer den Faktor gespritzt. Er trug die Schoner recht lange, worüber sich vielleicht andere Eltern gewundert haben. Aber da stand ich drüber. Ich war auch die Mutter, die auf dem Spielplatz sicher am längsten noch neben dem Klettergerüst stand und aufpasste.

## Haben Sie Erzieher und Lehrer über die Krankheit Ihres Sohnes informiert?

Ja, das haben wir getan. Aber die Erfahrung mit einem Bluterkind muss jeder selbst machen. So haben sich die Erzieherinnen in seiner Krippe zum Beispiel abgesprochen, wer an dem Tag hinter dem lebhaften Felix herrennt und wer sich um die anderen Kinder kümmert. Er hatte eben eine richtige Sturm-und-Drang-Zeit, das war sicher eine Herausforderung, aber die haben das toll gemacht. Als Felix später in die Grundschule ging, haben wir die Lehrer mit Infomaterial versorgt. Und auch die Klassenkameraden haben sehr schnell Bescheid gewusst. Sogar darüber, wie sie handeln müssen, wenn Felix sich etwa auf dem Schulhof verletzt.

## Haben Sie sich als Mutter irgendwann an die Erkrankung gewöhnt?

Ich kannte es ja von Anfang an nicht anders. Ich habe seit Babyalter schon immer die Umgebung auf Gefahren gescannt. Wo kann sich Felix schneiden? Kann er sich einen Splitter ziehen? Solche Fragen stellt man sich permanent. Die Sorge ist immer da, das lässt sich nicht leugnen. Aber ich kommuniziere sehr viel mit Bekannten und Betreuungspersonen und habe viel Vertrauen aufgebaut. Auch durch Treffen mit anderen Betroffenen durch Patientenorganisationen habe ich viel mehr Sicherheit entwickelt.

## Felix ist heute elf Jahre alt. Wie oft muss er das Faktorerersatzpräparat gespritzt bekommen?

Bis vor kurzem zweimal die Woche. Nun haben wir ein Präparat mit einer längeren Halbwertszeit, das tatsächlich nur noch einmal wöchentlich gespritzt werden muss.

## Wie steht Felix zu seiner Hämophilie?

Er weiß, dass die Krankheit nun mal zu ihm gehört. Trotzdem gibt es Momente, in denen er damit hadert. Zum Beispiel darf er nicht Fußball im Verein spielen, obwohl er so ein sportlicher Junge ist. Schwimmen – was ja prinzipiell geht – hat er durch häufiges Nasenbluten an den Nagel gehängt. Und manchmal fragt er mich eben doch: „Warum ich, Mama?“

## Was antworten Sie dann?

Ich sage ihm: Weil du dadurch der tolle Mensch geworden bist, der du bist. fi

# Hämophilie-Zentren (CCC) in Deutschland

Diese Liste wurde mit größter Sorgfalt zusammengestellt, erhebt jedoch keinen Anspruch auf Vollständigkeit.

## PLZ-Bereich 0 bis 2

**UNIVERSITÄTSKLINIK UND POLIKLINIK FÜR KINDER UND JUGENDLICHE**  
Liebigstraße 20 a, 04103 Leipzig

**UNIVERSITÄTSKLINIKUM LEIPZIG AÖR**  
Johannisallee 32A, 04103 Leipzig

**UNIVERSITÄTSKLINIKUM HALLE**  
Ernst-Grube-Straße 40, 06120 Halle

**CHARITÉ, UNIVERSITÄTSMEDIZIN BERLIN CAMPUS MITTE**  
Luisenstraße 13, 10117 Berlin

**VIVANTES - KLINIKUM IM FRIEDRICHSHAIN**  
Landsberger Allee 49, 10249 Berlin

**CHARITÉ, UNIVERSITÄTSMEDIZIN BERLIN CAMPUS VIRCHOW-KLINIK**  
Augustenburger Platz 1, 13353 Berlin

**UNIVERSITÄTSKLINIKUM EPPENDORF**  
Martinistraße 52, 20246 Hamburg

**KLINIKUM MITTE gGMBH**  
St.-Jürgen-Straße 1, 28177 Bremen

## PLZ-Bereich 3 bis 4

**WERLHOF-INSTITUT**  
Schillerstraße 23, 30159 Hannover

**MEDIZINISCHE HOCHSCHULE HANNOVER**  
Carl-Neuberg-Straße 1, 30625 Hannover

**UNIVERSITÄTSKLINIKUM GIESSEN UND MARBURG GMBH**  
Am Steg 40, 35392 Gießen

**ZENTRUM FÜR KINDERHEILKUNDE AM KLINIKUM DER JUSTUS LIEBIG UNIVERSITÄT**  
Feulgenstraße 10-12, 35392 Gießen

**UNIVERSITÄTSKLINIK DÜSSELDORF**  
Moorenstraße 5, 40225 Düsseldorf

**DR. MED. SUSAN HALIMEH**  
FÄ für Kinder und Jugendmedizin,  
Transfusionsmedizin und Hämostaseologie  
Königstraße 13, 47051 Duisburg

**PRAXIS FÜR DIAGNOSTIK UND THERAPIE VON BLUTGERINNUNGSSTÖRUNGEN, HÄMOPHILIE-ZENTRUM**  
Loerstraße 19, 48143 Münster

## PLZ-Bereich 5 bis 8

**INSTITUT FÜR EXP. HÄMATOLOGIE UND TRANSFUSIONSMEDIZIN, UNIVERSITÄTSKLINIKUM BONN**  
Sigmund-Freud-Straße 25, 53127 Bonn

**UNIVERSITÄTSKLINIKEN MAINZ**  
Langenbeckstraße 1, 55101 Mainz

**KLINIKUM DER JOHANN WOLFGANG GOETHE-UNIVERSITÄT FRANKFURT AM MAIN**  
Theodor-Stern-Kai 7, Haus 31, 60590 Frankfurt

**UNIVERSITÄTSKLINIKUM DES SAARLANDES**  
Kirrbergstraße 100, 66421 Homburg/Saar

**SRH KURPFALZKRANKENHAUS HEIDELBERG GMBH**  
Bonhoefferstraße 5, 69123 Heidelberg

**UNIVERSITÄTSKLINIKUM FREIBURG**  
Mathildenstraße 1, 79106 Freiburg

**KLINIKUM DER UNIVERSITÄT MÜNCHEN (Erwachsene)**  
Ziemssenstraße 1, 80336 München

**KLINIKUM DER UNIVERSITÄT MÜNCHEN - INNENSTADT**  
Lindwurmstraße 4, 80337 München

## ADVERTORIAL

# octacare – Homecare seit 2016

Individuell, zuverlässig und einfach – so sollte sich die i.v.-Therapie für Patienten mit Hämophilie und Von-Willebrand-Syndrom (VWS) im Idealfall darstellen. Die Realität sieht manches Mal anders aus, doch es gibt Unterstützung.



Bei Menschen mit Hämophilie A, Hämophilie B oder dem Von-Willebrand-Syndrom sind spezielle körpereigene Blutgerinnungsfaktoren vermindert oder fehlen ganz. In anderen Fällen werden sie zwar in ausreichender Menge gebildet, sind aber in ihrer Funktion eingeschränkt. Die Standardtherapie ist die regelmäßige Substitution der entspre-

chenden Faktoren, um Blutungen vorzubeugen oder sie zu behandeln. Dazu können Faktorkonzentrate verordnet werden, die intravenös zu verabreichen sind. Möchte der Betroffene größtmögliche Autonomie bewahren, geschieht dies in einer Heimselbstbehandlung. Daraus ergeben sich individuell unterschiedliche Situationen für Betroffene und Angehörige.

### Individuelle Unterstützung in jedem Alter

So werden beispielsweise Eltern nach einer neu gestellten Diagnose damit konfrontiert, dass ihr Säugling oder Kleinkind regelmäßig von ihnen in eine Vene gespritzt werden muss. Ältere Kinder und Jugendliche hingegen möchten vielleicht die Versorgung in die eigenen Hände nehmen. Auch Krankheiten, Unfälle oder Beeinträchtigungen, die das Alter mit sich bringt, können dazu führen, dass die Therapie plötzlich von einem Angehörigen übernommen werden muss. Sie alle verbindet dabei eine Herausforderung: zu

lernen, den verordneten Blutgerinnungsfaktor intravenös richtig zu verabreichen. Der erste Schritt hierfür ist eine Schulung durch den behandelnden Arzt, dennoch kann es zu Hause zu Unsicherheiten kommen. Hier setzt das Programm Octacare an – mit Hilfe zur Selbsthilfe. Entwickelt wurde es von der Octapharma GmbH in Zusammenarbeit mit Healthcare at Home, einem zertifizierten Partner im Bereich der häuslichen Betreuung. Mittlerweile werden bereits seit über dreieinhalb Jahren Patienten jeden Alters mit Hämophilie A, Hämophilie B bzw. VWS geschult.

### Für ein gutes und sicheres Gefühl

Der Erfolg spricht für sich. Im Rahmen des deutschlandweiten Programms suchen examinierte Krankenschwestern und -pfleger Patienten und Angehörige zu Hause auf und schulen sie in Absprache mit dem Arzt weiter, bis die Heimselbstbehandlung mit dem Octapharma-Präparat reibungslos funktioniert. Zum Umgang

mit der Erkrankung gehören aber auch immer Aspekte, die über das reine Verabreichen des Faktorkonzentrates hinausgehen. So unterstützen die Pflegefachkräfte auch bei Formalitäten, wie dem Führen des Patientenkalenders zur Dokumentation der Therapie oder bei der Vorbereitung von Dokumenten für die Mitnahme der Medikamente auf Reisen. Die Anmeldung zum Octacare-Programm erfolgt über den behandelnden Arzt, der den Bedarf der Unterstützung feststellt und sich mit seinem Patienten bzw. den Eltern bespricht. Sind alle formalen Voraussetzungen erfüllt, kann es mit der Unterstützung in den eigenen vier Wänden losgehen. Dabei dürfen alle Unsicherheiten und Fragen auf den Tisch kommen, sodass die Heimselbstbehandlung am Ende der Schulung genau so läuft: individuell, zuverlässig und einfach.

Für weitergehende Informationen wenden Sie sich bitte an [octacare@octapharma.de](mailto:octacare@octapharma.de)

# Behandlungsqualität auf dem Spiel

VON JULIA BRANDT

Die Hämophilie-Zentren sind für die Therapie von Patienten mit Hämophilie zuständig und geben die Medikamente direkt an die Patienten ab – bislang. Denn ein geplantes Gesetz sieht vor, dass nicht nur die Fachexperten in den spezialisierten Zentren, sondern zukünftig auch Hausärzte die medikamentöse Versorgung von Hämophilie-Patienten übernehmen können. Welche Folgen das für die Patienten haben kann, erklärt Dr. Wolfgang Voerkel, stellvertretender Vorsitzender der Deutschen Hämophiliegesellschaft, im Interview.



Dr. Wolfgang Voerkel ist stellvertretender Vorsitzender der Deutschen Hämophiliegesellschaft.

## Patienten mit Hämophilie müssen regelmäßig Medikamente spritzen. Wie werden die Patienten im Rahmen der Therapie medikamentös richtig eingestellt?

Die Standardbehandlung bei Hämophilie ist heute meist eine Prophylaxetherapie: Die Patienten spritzen sich regelmäßig den fehlenden Gerinnungsfaktor. Dadurch verfügen sie für den Fall, dass sie sich verletzen, über ausreichend Gerinnungsschutz. Die Dosierung und die Spritzintervalle hängen zum einen davon ab, welcher Schweregrad der Hämophilie bei einem Patienten vorliegt, zum anderen von der Wirkdauer des Faktorpräparates. Außerdem fällt der Lebensstil der Betroffenen ins Gewicht: Bei Patienten, die sich beispielsweise viel sportlich betätigen, muss der Faktor-Spiegel zu jedem Zeitpunkt ausreichend hoch sein, da die Verletzungsgefahr erhöht ist.

Kurzum: Die Behandlung von Hämophilie ist immer sehr individuell auf den Patienten ausgerichtet – standardisieren lässt sie sich kaum.

## Welche Aufgaben übernehmen die Hämophilie-Zentren dabei?

Die Hämophilie-Zentren beschäftigen Ärzte, die auf die Behandlung von Hämophilie-Patienten spezialisiert sind, sogenannte Hämostaseologen. Sie stellen eine differenzierte Diagnose, erarbeiten den Therapieplan für die Patienten, kontrollieren regelmäßig die Wirkung der Medikamente, erfassen mögliche Nebenwirkungen oder Komplikationen und passen die Behandlung entsprechend an.

Dabei geben die Ärzte die Medikamente direkt an die Patienten ab. Menschen mit Hämophilie bekommen ihre Medikamente bisher also nicht über ein Rezept aus der Apotheke, sondern direkt von ihrem behandelnden Arzt im Hämophilie-Zentrum. Ein Sonderfall, der ausschließlich für Hämophilie-Medikamente gilt und als solcher im Arzneimittelgesetz geregelt ist.

Warum ist es wichtig, dass die Patienten in den Hämophilie-Zentren behandelt werden?

In den Hämophilie-Zentren sind das Fachwissen und die Erfahrung zur Behandlung von Hämophilie gebündelt. Die Behandlung in solchen spezialisierten Zentren ist insbesondere für Menschen mit einer seltenen Erkrankung wie der Hämophilie wichtig. Denn mit dem Erfahrungsschatz und Wissen über eine bestimmte Krankheit steigt auch die Qualität der Behandlung.

## Im Juli soll das Gesetz für mehr Sicherheit in der Arzneimittelversorgung (GSAV) in Kraft treten. Was ändert sich durch dieses Gesetz in Bezug auf die medikamentöse Versorgung von Menschen mit Hämophilie?

Mit dem Gesetz wird sich vor allem der Vertriebsweg der Hämophilie-Medikamente ändern: Dann dürfen nicht nur die Hämophilie-Zentren die Arzneimittel verschreiben, sondern auch die Hausärzte. Die Patienten bekommen ihre Medikamente dann nicht mehr von ihrem behandelnden Arzt im Zentrum, sondern auf Rezept in der Apotheke.

## Was bedeutet das in Bezug auf die Qualität der Behandlung von Hämophilie-Patienten?

Durch das geplante Gesetz müssen sich Menschen mit Hämophilie nicht mehr regelmäßig in den Hämophilie-Zentren vorstellen, sondern können die Medikamente wohnortnah über ihren Hausarzt bekommen. Das Problem ist jedoch, dass die allermeisten Hausärzte keine Erfahrung in der Behandlung von Hämophilie haben. Sie kennen die Präparate nicht

und wissen nicht, welches der zahlreichen Medikamente wie wirkt und für welche Patienten es geeignet ist. Eine spezifische Fort- und Weiterbildung über neue Präparate oder Behandlungsformen erreicht sie kaum. Bei einer seltenen Krankheit wie der Hämophilie, bei der die Therapie immer individuell eingestellt werden muss, ist ein spezielles Erfahrungswissen wichtig – und das haben nur die Hämophilie-Zentren.

Ein weiteres Problem: Hämophilie-Zentren sind dazu verpflichtet, alle relevanten Informationen von Patienten

» Mit dem Erfahrungsschatz und dem Wissen über eine bestimmte Krankheit steigt auch die Qualität der Behandlung.

sowie den Verbrauch von Gerinnungspräparaten zu erfassen und im Deutschen Hämophilie-Register zu dokumentieren. Mithilfe dieser Informationen soll die Therapie kontinuierlich verbessert werden können. Diese Dokumentation und die damit verbundene Qualitätssicherung kann nicht mehr vollständig geführt werden, wenn auch Hausärzte die Behandlung von Hämophilie-Patienten übernehmen. Denn für sie besteht keine Verpflichtung, das Hämophilie-Register zu pflegen.

Wenn zukünftig auch Hausärzte Rezepte für Hämophilie-Medikamente ausstellen können, suchen Patienten die Hämophilie-Zentren möglicherweise seltener auf. Was bedeutet das für die Zentren?

Durch die Regelungen, die in dem neuen Gesetz vorgesehen sind, werden die Hämophilie-Zentren geschwächt. Die Patienten werden sie seltener aufsuchen. Wenn die Patienten ausbleiben, arbeiten viele Zentren nicht mehr wirtschaftlich und werden schlimmstenfalls sogar geschlossen. Es wird kein Fachwissen mehr gesammelt und gebündelt.

Für Krankenhäuser und Ärzte anderer Fachgebiete stehen die Hämophilie-Zentren auch beratend zur Seite. Sie verlieren mit der Schließung eines Hämophilie-Zentrums einen Ansprechpartner, der etwa in einem Notfall lebensrettenden Rat weiß. All dies geht am Ende natürlich zu Lasten der Patienten.

## Die Motivation des neuen Gesetzes ist es, mehr Transparenz zu schaffen. Wie ließe sich die Situation anderweitig verbessern?

Die Deutsche Hämophiliegesellschaft unterstützt grundsätzlich die Idee, für mehr Transparenz in diesem Bereich zu sorgen. Aktuell ist es so, dass die einzelnen Hämophilie-Zentren die Preise der Medikamente mit den Herstellern verhandeln und pro Medikament, das an die Patienten abgegeben wird, einen Teil des Betrages von den Krankenkassen zur Finanzierung ihrer Tätigkeit erhalten. Die Krankenkassen halten dieses Modell – zu Recht – für intransparent.

Wir begrüßen es daher, dass zukünftig nicht die Hämophilie-Zentren, sondern die Krankenkassen mit den Pharmaunternehmen verhandeln und dadurch einheitliche und transparente Medikamentenpreise festlegen. Wichtig ist allerdings, dass dabei auch die Finanzierung der Hämophilie-Zentren vertraglich festgelegt wird – und die Versorgung von Menschen mit Hämophilie weiterhin in der Hand der Zentren liegt. fä

## Werbepartner



### Chugai Pharma Germany GmbH

Lyoner Str. 15 | 60528 Frankfurt am Main  
[www.chugaipharma.de](http://www.chugaipharma.de)  
[info@chugaipharma.de](mailto:info@chugaipharma.de)



### Novo Nordisk Pharma GmbH

Brucknerstraße 1 | 55127 Mainz  
[www.novonordisk.de](http://www.novonordisk.de)  
[kd-service@novonordisk.com](mailto:kd-service@novonordisk.com)



### Octapharma GmbH

Elisabeth-Selbert-Str. 11 | 40764 Langenfeld  
[www.octapharma.de](http://www.octapharma.de)  
[info.de@octapharma.com](mailto:info.de@octapharma.com)



### Pfizer Pharma GmbH

Linkstr. 10 | 10785 Berlin  
[www.pfizer.de](http://www.pfizer.de)  
[info@pfizer.de](mailto:info@pfizer.de)



### Roche Pharma AG

Emil-Barell-Str. 1 | 79639 Grenzach-Wyhlen  
[www.roche.de](http://www.roche.de)  
[grenzach.communicatins@roche.com](mailto:grenzach.communicatins@roche.com)



### Swedish Orphan Biovitrum GmbH

Fraunhoferstr. 9a | 82152 Martinsried  
[www.sobi-deutschland.de](http://www.sobi-deutschland.de)  
[mail.de@sobi.com](mailto:mail.de@sobi.com)



### Themenbote GmbH

Elisenstr. 5 | 12169 Berlin  
 M [info@themenbote.com](mailto:info@themenbote.com)  
 T +49 30 21 300 80-12 | F +49 30 21 300 80-15  
[www.themenbote.com](http://www.themenbote.com)

Der themenbote ist eine Publikation der Themenbote GmbH, die am 13. Juni 2019 als Beilage mit dem Thema „Hämophilie und Lebensqualität – das funktioniert“ im Handelsblatt erschienen ist.

HERAUSGEBER  
 Sascha Bogatzki | [s.bogatzki@themenbote.com](mailto:s.bogatzki@themenbote.com)

LEITUNG REDAKTION & LEKTORAT  
 Julia Borchert | [redaktion@themenbote.com](mailto:redaktion@themenbote.com)

LEITUNG DESIGN & GESTALTUNG  
 Susanne Scheduling | [layout@themenbote.com](mailto:layout@themenbote.com)

REDAKTION  
 Johanna Badorrek | Julia Brandt |  
 Karola Kostede | Marius Leweke |  
 Wiebke Toebelmann

LEITUNG VERKAUF  
 Marco Spahn | [m.spahn@themenbote.com](mailto:m.spahn@themenbote.com)

FOTOS  
 Shutterstock

DRUCK  
 DDV Druck GmbH

V.I.S.D.P. FÜR REDAKTIONELLE INHALTE  
 Sascha Bogatzki, Herausgeber

Die Themenbote GmbH und die Handelsblatt GmbH sind rechtlich getrennte und redaktionell unabhängige Unternehmen.

Inhalte von Werbebeiträgen, Advertorials und Anzeigen geben die Meinung der beteiligten Unternehmen wieder. Die Redaktion ist für die Richtigkeit der Beiträge nicht verantwortlich. Die rechtliche Haftung liegt bei den jeweiligen Unternehmen.



Unterstützen Sie die Arbeit der

**DEUTSCHEN HÄMOPHILIEGESELLSCHAFT ZUR  
BEKÄMPFUNG VON BLUTUNGSKRANKHEITEN E.V.**

durch eine Spende.

**Jede Spende kann steuerlich geltend gemacht werden.**

Konto:

Hamburger Sparkasse (BLZ 20050550) Nr.: 1098212267  
IBAN: DE29 2005 0550 1098 2122 67, BIC: HASPDEHHXXX

***Gewinnen Sie neue Mitglieder  
für unsere Gesellschaft!***