

Grenzach-Wyhlen, 01. Februar 2023

Hämophilie A

Hemlibra®: Jetzt auch für Patienten mit mittelschwerer Hämophilie A

- **Patienten mit mittelschwerer Hämophilie A ohne Faktor-VIII-Hemmkörper (FVIII) und schwerem Blutungsphänotyp können nun auch von Hemlibra profitieren.**
- **Die Zulassungserweiterung basiert auf den Ergebnissen der HAVEN 6-Studie. Diese bestätigt eine wirksame Blutungskontrolle und ein günstiges Sicherheitsprofil.**

Nur 15 % der Menschen mit mittelschwerer Hämophilie A leben blutungsfrei, doch ein großer Teil hat Blutungen und daraus resultierend ein erhöhtes Risiko für Folgeerkrankungen.^{1,2,3} Für Patienten mit Hämophilie A ohne FVIII-Hemmkörper, die eine mittelschwere Erkrankung (FVIII \geq 1 % und \leq 5 %) haben und einen schweren Blutungsphänotyp aufweisen, hat die Europäische Kommission nun den Antikörper Hemlibra (Emicizumab) für die routinemäßige Prophylaxe zugelassen.⁴ Weltweit sind ca. 900.000 Menschen von Hämophilie A betroffen, von denen etwa 14 % eine mittelschwere Form der Erkrankung haben.^{5,6,7}

Die Zulassungserweiterung stützt sich auf die Ergebnisse der Studie HAVEN 6⁸ sowie Daten aus der klinischen Praxis.^{9,10} Bei 78 % der Patienten mit einer mittelschweren Hämophilie A traten keine behandlungsbedürftigen Blutungen mehr auf. Zudem wurden keine neuen Sicherheitssignale identifiziert.⁴ Hemlibra wurde in der Erhaltung mit entweder 1,5mg/kg einmal wöchentlich oder 3mg/kg alle 2 Wochen oder 6mg/kg alle 4 Wochen subkutan appliziert. Nach einem medianen Follow-Up von 30,4 [17,4-61,7] Wochen wurde eine jährliche Blutungsrate (ABR) von 0,9 (95% KI [0,43; 1,89]) für behandlungsbedürftige Blutungen sowie eine ABR von 0,3 (95% KI [0,10; 0,84]) für behandlungsbedürftige Gelenkblutungen erreicht.⁴ Die Ergebnisse der Studie bestätigen die wirksame Blutungskontrolle sowie das vorteilhafte Sicherheitsprofil von Hemlibra bei Patienten mit mittelschwerer Hämophilie A, bei denen eine Prophylaxe klinisch indiziert ist.

Bei Menschen mit mittelschwerer Hämophilie A werden Blutungen und andere Symptome nicht immer erkannt und Diagnosen häufig erst spät gestellt.¹ Viele erkrankte Menschen erhalten daher möglicherweise keine prophylaktische Behandlung, wodurch sich das Krankheitsbild verschlechtern kann. Etwa 85 % haben im Laufe ihres Lebens Blutungen, die langfristig zu

Gelenkproblemen führen können. Verglichen mit einer schweren Verlaufsform haben fast 40 % der Patienten mit mittelschwerer Hämophilie A ähnlich häufig Problemgelenke.^{1,3}

«Patienten mit einer mittelschweren Hämophilie A haben den Vorteil, dass sich Spontanblutungen praktisch komplett verhindern lassen durch eine solche Prophylaxe. Und ich sehe den Vorteil für diese Patientengruppe in einer regelhaften Prophylaxe», so Prof. Oldenburg, Bonn, über den Nutzen von Hemlibra bei einer mittelschweren Erkrankung. «Vielleicht kann sogar eine lebenslange Gelenkgesundheit erreicht werden.»

Hemlibra ist zur Behandlung von Hämophilie A mit Faktor-VIII-Hemmkörper in mehr als 110 Ländern weltweit und für Menschen ohne Faktor-VIII-Hemmkörper in mehr als 100 Ländern weltweit zugelassen. Es wurde in einem der größten klinischen Studienprogramme (HAVEN 1-7) bei Menschen mit Hämophilie A mit oder ohne Faktor-VIII-Hemmkörper untersucht.

Hemlibra steht nun auch Patienten mit mittelschwerer Hämophilie A und schwerem Blutungsphänotyp als effektive Prophylaxe mit minimaler Therapielast – die auf der subkutanen Injektion und den Applikationsintervallen bis zu 4 Wochen beruht – zur Verfügung.

Referenzen

- [1] Walsh C, et al. Haemophilia. 2021;27(S1):25-32.
- [2] Collins PW, et al. Haemophilia, 2021;27: 192-198.
- [3] Nissen F, et al. An Insight into clinical outcomes in mild, moderate, and severe hemophilia A (HA): A preliminary analysis of the CHES II study. Presented at: International Society on Thrombosis and Haemostasis (ISTH) Virtual Congress; 2020 July 12-14. Abstract OC 09.3.
- [4] Fachinformation Hemlibra®, aktueller Stand
- [5] Srivastava A, et al. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. Haemophilia. 2020; 26 (Suppl 6): 1- 158.
- [6] Iorio A, et al. Establishing the Prevalence and Prevalence at Birth of Hemophilia in Males. Ann Intern Med 2019 Oct 15;171(8):540-546.
- [7] World Federation of Hemophilia. Report on the annual global survey 2020. [Internet; cited 2023 January] Available from: <http://www1.wfh.org/publications/files/pdf-2045.pdf>.
- [8] Négrier C, et al. Emicizumab in people with moderate or mild haemophilia A (HAVEN 6): a multicentre, open-label, single-arm, phase 3 study; The Lancet Hematology; 2023 January. [https://doi.org/10.1016/S2352-3026\(22\)00377-5](https://doi.org/10.1016/S2352-3026(22)00377-5)
- [9] Khairnar R, et al. Real-world persistence with and adherence to Emicizumab Prophylaxis in People with Hemophilia A— Results from two secondary claims database analyses. Presented at: American Society of Hematology (ASH) Annual Meeting and Exposition; 2020 December 5-8; Virtual. Abstract #866 oral presentation.
- [10] Poon MC, et al. Analysis of Hemophilia a Outcomes and Treatment Patterns Using Real-World Data from the Canadian Hemophilia Bleeding Disorder Registry. Presented at: American Society of Hematology (ASH) Annual Meeting and Exposition; 2020 December 5-8; Virtual. Abstract #1793 poster presentation.

Über Hemlibra®

Hemlibra (Emicizumab) ist ein bispezifischer monoklonaler Antikörper, der speziell entwickelt wurde, um die Gerinnungsfaktoren IXa und X zu binden und dadurch die Aktivierung von Faktor X zu ermöglichen. Dieser Schritt erfolgt bei Menschen mit Hämophilie A unzureichend, ist aber von zentraler Bedeutung, damit die Blutgerinnung normal ablaufen kann. Das HAVEN-Studienprogramm ist eines der größten klinischen Zulassungsprogramme für die Hämophilie A, das die Wirksamkeit und Sicherheit von Hemlibra bei Menschen mit und ohne Faktor VIII-Hemmkörper sowie sein Potenzial zur Bewältigung aktueller klinischer Herausforderungen untersucht. Hemlibra ist in Europa für die Prophylaxe von Blutungsereignissen bei Patienten mit Hämophilie A mit Faktor-VIII-Hemmkörpern sowie ohne Faktor-VIII-Hemmkörper mit schwerer Erkrankung oder mittelschwerer Erkrankung mit schwerem Blutungsphänotyp zugelassen. Hemlibra kann bei allen Altersgruppen als subkutane Injektion in wöchentlichen, zweiwöchentlichen oder vierwöchentlichen Therapieintervallen angewendet werden. Hemlibra wird auf Basis von Grundlagenforschung von Chugai in einer Kooperation zwischen Roche und Chugai erforscht. An den klinischen Studien sind auch Hämophilie-Zentren in Deutschland beteiligt.

Chugai Pharma

Chugai Pharmaceutical ist eines der führenden japanischen Pharmaunternehmen mit Fokus auf biotechnologische Produkte und neue innovative Therapieprinzipien – 15,7 % des Umsatzes werden in Forschung und Entwicklung investiert. 2019 beschäftigte Chugai 7.394 Mitarbeiterinnen und Mitarbeiter in Japan sowie in seinen Niederlassungen in Europa (u.a. auch in Deutschland), in den USA und Asien. Ein wichtiger Schritt für Chugai Pharma war die globale strategische Allianz mit Roche im Jahr 2002 bei gleichzeitiger Wahrung der unternehmerischen Unabhängigkeit des Unternehmens in den Ländern, in denen bereits eigene Filialen bestanden. Weitere Informationen unter www.chugai-pharma.de.

Eindeutige Kennzeichnung von biologischen Arzneimitteln in der medizinischen Kommunikation

Für die Patientensicherheit ist es wichtig, biologische Arzneimittel durch ihren Handelsnamen klar zu kennzeichnen. Nur so kann gewährleistet werden, dass mögliche Nebenwirkungen eindeutig einem bestimmten Produkt zugeordnet und zurückverfolgt werden können. Analog europäischer behördlicher Vorgaben für die Dokumentation des Handelsnamens in der Patientenakte nennt Roche in Publikationen, Texten und Presseinformationen deshalb neben dem internationalen Freinamen auch den Handelsnamen.

Für Anfragen zum Unternehmen:

Faten Gaber
Head of Communications & Public Affairs
Roche Pharma AG
Emil-Barell-Straße 1
79639 Grenzach-Wyhlen
grenzach.communications@roche.com
Tel. 07624 14-4000

Für Anfragen zu Produkten:

Ferdinand Tessin
Teamlead Product Communications
Roche Pharma AG
Emil-Barell-Straße 1
79639 Grenzach-Wyhlen
ferdinand.tessin.ft1@roche.com
Tel. 07624 14-4050