

Kreativ-Wettbewerb und innovative rekombinante Blutgerinnungsfaktoren

Wie sich Shire im Bereich der seltenen Erkrankungen engagiert

Hamburg (9. November 2018) – Jeder Zwanzigste in Deutschland ist von einer seltenen Erkrankung betroffen. (1) Hierzu gehören auch von-Willebrand-Syndrom (vWS) und Hämophilie, bei denen betroffene Patienten Gendefekte bei Blutgerinnungsfaktoren aufweisen. Die Therapie solcher Erkrankungen hat durch innovative Produkte des Unternehmens Shire große Fortschritte gemacht – etwa durch neue rekombinante Faktorpräparate und digitale Tools wie myPKFiT.

Im Rahmen eines Pressefrühstücks am 9. November 2018 am Rande des 49. Hamburger Hämophilie Symposions diskutieren Experten über aktuelle Innovationen und darüber, wie Betroffenen ein besseres Leben ermöglicht werden kann. Neben dem Einsatz aktueller Faktorpräparate geht es auch um digitale Möglichkeiten der Therapiesteuerung und patientenorientierte Services. Dazu zählt der Kreativ-Wettbewerb „Hämophilie – Ganz besonders Du“, den die Deutsche Hämophiliegesellschaft e.V. (DHG), die Interessen-gemeinschaft Hämophiler e.V. (IGH) und Shire Deutschland GmbH gemeinsam initiiert haben.

Seltene Erkrankungen heute

Im Schnitt vergehen 4,8 Jahre bis seltene Erkrankungen diagnostiziert werden, (2) obwohl in vielen Fällen wirksame Therapieoptionen zur Verfügung stehen. Diesem akuten Nachholbedarf versucht Shire gerecht zu werden. So auch aktuell mit der Initiative „Hämophilie – Ganz besonders Du“. Es gehe bei dem Kreativ-Wettbewerb darum, das Bewusstsein um die Hämophilie nachhaltig zu stärken und den Betroffenen und Angehörigen eine Stimme zu geben, betonten Dr. Stefanie Oestreicher, Vorstandsvorsitzende der beteiligten Patientenorganisation DHG und Christian Schepperle, Geschäftsführer der Patientenorganisation IGH, die gemeinsam mit Shire die Aktion initiiert haben. Der Wettbewerb, soll einen neuen Weg für das Verständnis der Hämophilie in der Gesellschaft ebnen, indem die Betroffenen selbst involviert werden. Mitmachen können dabei nicht nur die Patienten selbst, sondern auch deren Angehörige und Familie.

Heute ermöglichen digitale Tools und moderne Faktorpräparate Hämophilie-Patienten trotz Dauertherapie ein selbstbestimmtes und aktives Leben. Wichtig hierfür sind individuelle und gleichzeitig

verlässliche Therapieoptionen. „Mit den neuen therapeutischen Optionen kann der Patient seine Erkrankung individuell verstehen und somit sein Leben aktiver und selbstbestimmter gestalten“, so Dr. Georg Goldmann, Facharzt für Transfusionsmedizin und Hämostaseologie, Bonn.

Blutgerinnungsfaktoren-Defekt: Hämophilie und von-Willebrand-Syndrom

Bis heute sind sowohl Hämophilie A als auch vWS ursächlich nicht heilbar. Die genetisch bedingten Erkrankungen resultieren aus einem Mangel des Blutgerinnungsfaktors VIII (FVIII) bzw. des von-Willebrand-Faktors (vWF). (3, 4) Patienten mit Hämophilie A kann fehlender FVIII regelmäßig injiziert werden, um einen FVIII-Spiegel aufrecht zu erhalten und somit Blutungen vorzubeugen. (4) Mit ADYNOVI®▼ (Rurioctocog alfa pegol) steht den Betroffenen ein rekombinanter FVIII mit verlängerter Halbwertszeit zur Verfügung. (5) Verlängerte Halbwertszeit bedeutet auch weniger Injektionen. (5) Das Präparat kann in Kombination mit myPKFiT angewendet werden, ein innovatives digitales Tool. (6, 7) Das CE-zertifizierte Medizinprodukt besteht aus zwei Komponenten: einer webbasierten Software, mit der Ärzte verschiedene Therapieoptionen simulieren können, und einer Patienten-App. (6, 7) Mithilfe der App können Patienten ihren aktuell geschätzten Faktorspiegel jederzeit im Blick behalten und ihre körperlichen Aktivitäten danach ausrichten (Abb. 1). (7) „Das sorgt für mehr Transparenz und Sicherheit beim Patienten und auch beim behandelnden Arzt“, betont Goldmann.



Abbildung 1: Hämophilie-Patienten haben mit der myPKFiT-App ihren aktuell geschätzten Faktorspiegel jederzeit im Blick und können ihre körperlichen Aktivitäten danach ausrichten.

Als weiterer Meilenstein wurde nun dem rekombinanten vWF-Präparat VEYVONDI® (Vonicog alfa) die Zulassung durch die Europäische Kommission erteilt. (8) Das vWS ist eine seltene Erkrankung, von der in Europa weniger als 2 von 10.000 Einwohnern betroffen sind. (9) Im Gegensatz zur Hämophilie, die fast ausschließlich bei Männern auftritt, sind bei vWS beide Geschlechter gleichermaßen betroffen. (10) VEYVONDI® ist indiziert bei Erwachsenen (ab 18 Jahren) mit vWS, wenn eine Behandlung mit Desmopressin (DDAVP) alleine nicht wirksam oder nicht indiziert ist, für die (8)

- Behandlung von Blutungen und Blutungen bei Operationen
- Vorbeugung von Blutungen bei Operationen⁸

VEYVONDI® darf nicht zur Behandlung von Hämophilie A angewendet werden. (8)

Bislang verfügbare Behandlungen bei vWS sind DDAVP, Plasma-basierter vWF, Antifibrinolytika oder eine Hormontherapie bei Frauen mit Menorrhagie. (11, 12) „Bei Patienten mit schwerem vWS sind solche Behandlungen nicht immer ausreichend, sind kontraindiziert und bieten

nur eine vorübergehende Korrektur der Faktorspiegel“, erläutert Prof. Dr. med. Michael Spannagl, Klinikum der Universität München, Abteilung für Transfusionsmedizin, Zelltherapeutika und Haemostaseologie. Mit der Zulassung durch die EU-Kommission ist VEYVONDI® die einzige Behandlungsoption mit rekombinantem vWF8 und, so Spannagl, „ein bedeutender Fortschritt in der Behandlung der Betroffenen“.

Awareness im Fokus

Die Therapieoptionen bei Blutgerinnungsstörungen haben sich über die vergangenen Jahrzehnte stark verbessert, sodass Betroffene heute ein nahezu „normales“ Leben führen können. Mit der Zulassung von VEYVONDI® in der EU kann Shire in Deutschland in Zukunft auch Patienten mit der seltenen Blutgerinnungsstörung vWS unterstützen. Mit VEYVONDI® steht zum ersten Mal rekombinanter vWF zur Verfügung.

Wichtig sind bei der Therapie aber nicht nur moderne Faktorpräparate, sondern auch innovative Lösungen und Services, die eine individuelle und selbstbestimmte Therapie ermöglichen. So arbeitet Shire seit nunmehr über 70 Jahren daran, das Leben für Hämophilie-Patienten weiter zu verbessern. Dazu gehören auch verschiedene Patientenservices wie etwa das Sportprogramm Fit for Life, das Shire mittlerweile seit 15 Jahren begleitet. Der Kreativ-Wettbewerb „Hämophilie - Ganz besonders Du“ soll zudem das gesellschaftliche Bewusstsein für Hämophilie schärfen.

- Weitere Informationen, insbesondere zum Kreativ-Wettbewerb finden sich ausführlich auf www.haemophilie.org
- Hintergründe und patientengerechte Informationen zu myPKFiT können unter www.mypkfit.de abgerufen werden.

Über Shire

Shire ist das weltweit führende Biotechnologie-Unternehmen in der Versorgung von Patienten mit seltenen und komplexen Erkrankungen. Unser Ziel ist es, bahnbrechende Therapien für diese Erkrankungen in verschiedenen medizinischen Fachgebieten zu entwickeln – dazu zählen Hämatologie, Immunologie, Erbkrankheiten, Neuroscience sowie Innere Medizin und die Augenheilkunde. Unsere Expertise und unser globales Netzwerk ermöglichen es uns, Patienten in mehr als 100 Ländern zu unterstützen.

All unser Handeln orientiert sich an den Bedürfnissen der Patienten

mit seltenen und komplexen Erkrankungen. Diese Patienten durchlaufen häufig eine lange und belastende Odyssee bis zur exakten Diagnosestellung und zum Behandlungsbeginn. Deshalb engagieren wir uns für die frühzeitige Diagnostik und die Bereitstellung adäquater medizinischer Therapien. Das Ziel ist dabei von Anfang an eine intensive Unterstützung dieser Patienten und ihrer Bezugspersonen sowie die Verbesserung des jeweiligen Versorgungsstandards. So möchten wir Menschen mit seltenen und komplexen Erkrankungen auf ihrem Weg kompetent begleiten und zur Verbesserung ihrer Lebensqualität beitragen.

- Weitere Informationen finden Sie unter: www.shire.de

Quellen

1. Nationales Aktionsbündnis für Menschen mit Seltenen Erkrankungen (NAMSE). www.namse.de/seltene-erkrankungen.html. Letzter Zugriff: Oktober 2018.
2. Engel, P. A. et al. (2013). Physician and patient perceptions regarding physician training in rare diseases: the need for stronger educational initiatives for physicians. *Journal of Rare Disorders*: Vol. 1, Issue 2. www.journalofraredisorders.com/pub/IssuePDFs/Engel.pdf. Letzter Zugriff: Oktober 2018.
3. James, P. D. et al. (2011). von Willebrand disease. *Genet Med*. 13(5). 365–376.
4. Srivastava, A. et al. (2013). Guidelines for the management of hemophilia. *Haemophilia*. 19(1). e1–47.
5. Fachinformation ADYNOVI®, Stand: Februar 2018.
6. myPKFiT Bedienungsanleitung, VV-00960323, Shire, 2018.
7. myPKFiT Mobile App v 2.0 Bedienungsanleitung, VV-00960458, Shire, 2018.
8. Fachinformation VEYVONDI®. Stand: August 2018.
9. Public summary of opinion on orphan designation. EMA/COMP/578646/2010. Verfügbar unter: http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/Orphan_designation/2010/12/WC500099992.pdf. Letzter Zugriff: Oktober 2018.
10. Lillicrap, D. (2013). von Willebrand disease: advances in pathogenetic understanding, diagnosis, and therapy. *Blood*. 122. 3735–3740.
11. Mannucci, P. M. (2004). Treatment of von Willebrand's Disease. *N Engl J Med*. 351(7). 683–694.
12. Nichols, W. L. et al. (2008). von Willebrand disease (VWD): evidence-based diagnosis and management guidelines, the National Heart, Lung, and Blood Institute (NHLBI) Expert Panel report (USA). *Haemophilia*. 14. 171–232.

Quelle: Shire, 09.11.2018 (tB).