



# Das ABC der **Hämophilie**

Begriff	Abkürzung	Definition*
<b>Adhärenz</b>		Therapietreue bzw. Einhaltung der gemeinsam von Patienten und Behandlern gesetzten Therapieziele.
<b>Afibrinogenämie</b>		Das Fehlen oder der hochgradige Mangel an Fibrinogen (ein für die <i>Blutgerinnung</i> wichtiges <i>Plasma</i> -Eiweiss). Führt zu Gerinnungsstörungen mit erhöhter Blutungsneigung.
<b>Aktivierte partielle Thromboplastinzeit</b>	aPTT	Blut-Laborwert, der Auskunft über das körpereigene System der <i>Blutgerinnung</i> gibt. Misst die Aktivität und Funktion des sog. «endogenen (im Körperinneren entstehende) Gerinnungssystems»
<b>Allergische Reaktion</b>		Überschiessende Abwehrreaktion des Körpers auf üblicherweise harmlose, nicht ansteckende Fremdstoffe
<b>Aminosäuren</b>	AS	Bausteine der <i>Proteine</i> (Eiweisse). Sie kommen in jedem Lebewesen vor.
<b>Annualisierte Blutungs-raten</b> (engl. Annual Bleeding Rate)	ABR	Anzahl Blutungen während eines Jahres. Bei der <i>Hämophilie</i> ein Kriterium zur Beurteilung der Wirksamkeit einer Behandlung.
<b>Antigene</b>	Ag	Moleküle, die das <i>Immunsystem</i> «als fremd» erkennt und daraufhin <i>Antikörper</i> produziert. Antigene sind u.a. körperfremde <i>Proteine</i> (Bakterien, <i>Viren</i> ) und Kohlenhydrate (Polysaccharide).
<b>Antikörper</b>	AK	Abwehrstoffe, die von weissen <i>Blutkörperchen</i> gegen <i>Antigene</i> gebildet werden; sind Teil unseres <i>Immunsystems</i> .
<b>Arthropathie</b>		Gelenkerkrankung, Gelenkleiden
<b>Autosomen</b>		44 von total 46 <i>Chromosomen</i> (Träger der Erbinformation), die nicht zu den Geschlechts- <i>Chromosomen</i> gehören.
<b>Baby Hamster Nierenzellen</b> (engl. baby hamster kidney cells)	BHK	Tierische Zelllinie. Produziert <i>Proteine</i> und eignet sich aufgrund der Beschaffenheit gut zur Produktion von rekombinanten <i>Blutgerinnungsfaktoren</i> (z.B. <i>Faktor VIII</i> oder <i>Faktor IX</i> ).
<b>Bedarfstherapie</b> (engl. On-Demand)	OD	Verabreichung/Anwendung eines Medikaments (z.B. <i>Faktor VIII/Faktor IX</i> bei <i>Hämophilie</i> ) beim Auftreten von Symptomen/Spontanblutungen und vor medizinischen Eingriffen.

\* Kursiv gesetzte Begriffe werden im Glossar separat erklärt.

Begriff	Abkürzung	Definition
Beobachtungsstudie		Datenerhebung über den regulären Einsatz von bereits zugelassenen Medikamenten in Behandlungen. Bei Beobachtungsstudien werden keine zusätzlichen Untersuchungen durchgeführt.
Bethesda-Einheit	BE	Mass für einen gerinnungsaktiven <i>Hemmkörper</i> in einem standardisierten Test. Eine Bethesda-Einheit entspricht der Faktor-inhibierenden Menge, die 50% des Faktors nach zwei Stunden hemmt.
Blutgerinnung		Ein lebenswichtiger Prozess, der in mehreren aufeinanderfolgenden Schritten für einen raschen Wundverschluss sorgt.
Blutgerinnungsfaktor		Körpereigenes Eiweiss im Blut, das bei der <i>Blutgerinnung</i> eine wichtige Rolle spielt.
Blutgerinnungskaskade		Prozess, bei dem eine Abfolge (Kaskade) von Gerinnungsfaktoren im Blut aktiviert wird, die zur Bildung eines Blutgerinnsels führt und somit dauerhaft die Wunde verschliesst.
Blutgruppen		Zusammensetzung der Oberflächen der roten <i>Blutkörperchen</i> durch erbliche Merkmale ( <i>Antigene</i> ). Es gibt verschiedene Blutgruppensysteme. Das meist verbreitete ist das AB0-System. Anhand der <i>Antigene</i> A und B ergeben sich vier verschiedene Hauptblutgruppen: A, B, AB bzw. 0. Jeder Mensch hat eine von seinen Eltern geerbt.
Blutkörperchen		Zellen im Blut, die rund die Hälfte des Blutvolumens ausmachen. Man unterscheidet zwischen drei Arten: rote Blutkörperchen (Erythrozyten), weisse Blutkörperchen (Leukozyten) und <i>Blutplättchen</i> (Thrombozyten).
Blutplasma		Flüssiger Bestandteil des Blutes, in dem verschiedene Eiweisse und Salze gelöst sind, darunter auch die Gerinnungsfaktoren. Das fließende Blutplasma dient dem Transport der Blutzellen.
Blutplättchen (Thrombozyten)		Blutbestandteile, die eine wichtige Rolle bei der <i>Blutgerinnung</i> und somit der Blutstillung, spielen. Sie sorgen dafür, dass bei einer Verletzung die Wände der Blutgefässe innerhalb kürzester Zeit abgedichtet werden und die Blutung gestoppt wird.
Bluttransfusion		Übertragung von Blut oder Blutbestandteilen von einer Person (Spender) auf eine andere Person (Empfänger).

Begriff	Abkürzung	Definition
<b>Bolus/Bolusinjektion</b>		Dient dazu, in einem bestimmten, verhältnismässig kurzen Zeitraum, ein definiertes Flüssigkeitsvolumen oder eine definierte Menge eines Arzneistoffes zu verabreichen.
<b>Bundesamt für Gesundheit</b>	<b>BAG</b>	Das Bundesamt für Gesundheit ist ein Teil des Eidgenössischen Departements des Inneren und verantwortlich für die Gesundheit der Bevölkerung. Es entwickelt die schweizerische Gesundheitspolitik.
<b>Chinesische Hamster Eierstockzellen</b> (engl. Chinese Hamster Ovary Cells)	<b>CHO</b>	Tierische Zelllinie, die <i>Proteine</i> produziert und sich aufgrund ihrer besonderen Eigenschaften gut zur Produktion von rekombinanten <i>Blutgerinnungsfaktoren</i> (z.B. <i>Faktor VIII</i> oder <i>Faktor IX</i> ) eignet.
<b>Chromogener Test</b>		Zweistufiges Labortestprinzip. Kann zur Diagnose von <i>Hämophilie A</i> oder <i>B</i> und zur Überwachung der Therapie eingesetzt werden.
<b>Chromosomen</b>		Träger der Erbinformation in den Zellkernen. Menschen tragen in ihren Körperzellen (Ausnahme: Keimzellen) 23 Chromosomenpaare: 22 <i>Autosomen</i> und 1 Geschlechtschromosomenpaar (Gonosomen).
<b>Clearance</b>	<b>CL</b>	Ist ein Mass, wie effizient ein Arzneimittel aus dem Körper ausgeschieden wird.
<b>Desmopressin</b>	<b>DDAVP</b>	Ein Wirkstoff aus der Gruppe der Antidiuretika, der bei milden oder moderaten Formen der <i>Hämophilie</i> zur Blutungsstillung verabreicht wird. Bewirkt eine kurzfristige Freisetzung von körpereigenem <i>VWF</i> und <i>FVIII</i> aus dem Endothel (Innenseite der Blutgefässe).
<b>Desoxyribonukleinsäure</b>	<b>DNA</b>	Träger der genetischen Information, welche in den <i>Chromosomen</i> im Zellkern vorliegt.
<b>Dysfibrinogenämie</b>		Seltene und erbliche Gerinnungsstörung, bei der Betroffene zwar Fibrinogen bilden, dieses aber nicht funktionell wirksam ist.
<b>Einstufen-Test</b> (engl. One Stage Test)	<b>OS</b>	Einstufiges Labortestprinzip, das sich auf die Zeit stützt, die benötigt wird, bis sich ein Gerinnsel bildet. Dient zur Diagnose von <i>Hämophilie A</i> oder <i>B</i> und zur Überwachung der Therapie.

Begriff	Abkürzung	Definition
Erbkrankheit		Erkrankungen, die durch Veränderung des Erbguts hervorgerufen und vererbt werden. Sie können aber auch aufgrund von spontanen, neuen Veränderungen im Erbgut entstehen und an künftige Generationen weitergegeben werden.
Expositionstage	ET	Zahl der in einem Zeitintervall verabreichten Medikamentengaben (z.B. Gerinnungsfaktoren).
Fachinformation	FI	Gesetzlich vorgeschriebene Beschreibung eines Arzneimittels mit festgelegten Inhalten (u.a. Indikationen, Wirkung, Darreichungsform, erhaltliche Packungsgrößen). Wird von der Zulassungsbehörde <i>Swissmedic</i> geprüft und genehmigt. ( <a href="http://www.swissmedicinfo.ch">www.swissmedicinfo.ch</a> )
Faktor VIII	FVIII	Der Gerinnungsfaktor VIII ist ein wichtiger Bestandteil der <i>Blutgerinnung</i> . Ein Fehlen oder ein Mangel von $\geq 60\%$ dieses Faktors verursacht <i>Hämophilie A</i> .
Faktor IX	FIX	Der Gerinnungsfaktor IX ist ein wichtiger Bestandteil der <i>Blutgerinnung</i> . Ein Fehlen oder ein Mangel von $\geq 60\%$ dieses Faktors verursacht <i>Hämophilie B</i> .
Faktorspiegel		Rest-Aktivität der Gerinnungsfaktoren im Blut zum Zeitpunkt der Blutentnahme.
Fc-Fusionsprotein		Ein <i>Protein</i> , bestehend aus einem körpereigenen Eiweiss (Fc-Teil des Immunglobulin G) und einem Medikament (z.B. <i>FVIII</i> ). Die Fusion beider Bestandteile resultiert in einer deutlich längeren <i>Halbwertszeit</i> im Vergleich zum ursprünglichen Medikament.
Fibrin		Ein wasserunlösliches Eiweiss. Wird nach Aktivierung in der Gerinnungskaskade zum vernetzten «Klebstoff» der <i>Blutgerinnung</i> .
Gen		Die Erbinformation für die Entwicklung von Eigenschaften eines Individuums. Alle Gene gemeinsam bilden das Genom eines Lebewesens.
Genetik		Die Wissenschaft von den Grundlagen und den Gesetzmässigkeiten der Vererbung.
Gentherapie	GT	Das Einfügen von Erbinformationen in die Körperzellen eines Individuums, um Erbkrankheiten, Tumore oder andere Krankheiten zu behandeln.

Begriff	Abkürzung	Definition
Hämarthrose		Eine Gelenkerkrankung, die durch wiederholte und fortbestehende Einblutung in die Gelenke entsteht. Betroffen sind häufig Patienten, die unter einer <i>Hämophilie</i> leiden.
Hämatom		Entweder ein Blutaustritt aus verletzten Blutgefäßen im Körpergewebe oder eine Blutansammlung in einer Körperhöhle.
Hämaturie		Vorkommen von Blut im Urin.
Hämophilie		Eine Erbkrankheit, auch Bluterkrankheit genannt, bei der die <i>Blutgerinnung</i> (z.B. <i>FVIII</i> bei <i>Hämophilie A</i> ) gestört ist. Das Blut aus Wunden gerinnt nicht oder nur langsam. Häufig kommt es auch zu spontanen Blutungen, die ohne erkennbare Verletzung auftreten.
Hämophilie A		Eine Gerinnungsstörung, verursacht durch ein Fehlen oder einen Mangel von $\geq 60\%$ des <i>Faktors VIII</i> .
Hämophilie B		Eine Gerinnungsstörung, verursacht durch ein Fehlen oder einen Mangel von $\geq 60\%$ des <i>Faktors IX</i> .
Hämophilie Gelenkscore (engl. Hemophilia Joint Health Score)	HJHS	Das Ergebnis einer standardisierten Gelenkuntersuchung bei Patienten mit <i>Hämophilie</i> . Beurteilt werden v.a. die «hämophilietypische» Gelenke, wie Ellbogen-, Knie- und Sprunggelenke.
Halbwertszeit	HWZ	Die Zeitspanne, in der die Menge und damit auch die Aktivität eines Medikaments durch Abbau und Verstoffwechslung um die Hälfte gesunken ist.
Heimselfbehandlung		Ermöglicht <i>Hämophilie</i> -Patienten, sich nach ärztlicher Verordnung und Anleitung das Gerinnungsfaktor-Präparat selbst zu verabreichen. Voraussetzung: konsequente und korrekte Anwendung der Faktor-Konzentrate und deren Dokumentation.
Hemmkörper (engl. Inhibitor)	HK	Eiweiße ( <i>Antikörper</i> ), welche das körpereigene Abwehrsystem auf den zugeführten 'körperfremden' Faktor bildet und die damit dessen Aktivität mindern können.
Hepatitis A-Virus	HAV	Ein Erreger, der eine akute Leberentzündung hervorrufen kann. Das <i>Virus</i> wird über den Verdauungstrakt, z.B. verseuchte Lebensmittel, übertragen. Hepatitis A heilt meistens völlig aus. Eine Impfung ist möglich und für Gerinnungspatienten empfohlen.

Begriff	Abkürzung	Definition
Hepatitis B-Virus	HBV	Ein Erreger, der eine Infektionskrankheit der Leber verursachen kann, die häufig akut (85–90%), gelegentlich aber chronisch verläuft. Das <i>Virus</i> wird über das Blut oder durch ungeschützten Geschlechtsverkehr übertragen. Eine Impfung ist möglich und für Gerinnungs-patienten dringend empfohlen.
Hepatitis C-Virus	HCV	Ein Erreger, der zu einer Infektionskrankheit führen kann. Die Hepatitis C verläuft bis zu 80% chronisch, kann zu schweren Leberschädigungen führen und erhöht das Leberzellkrebsrisiko. Das <i>Virus</i> wird über das Blut oder durch ungeschützten Geschlechtsverkehr übertragen. Es gibt keine Impfung.
Humane embryonale Nierenzellen (engl. Human Embryonic Kidney Cells)	HEK	Eine Zelllinie aus menschlichen embryonalen Nierenzellen. Sie wird oft in der <i>Pharmakologie</i> und <i>Biotechnologie</i> eingesetzt.
Humanes Immundefizienz-Virus	HIV	Ein Erreger, der die erworbene Immunschwächekrankheit AIDS auslösen kann. Das <i>HI-Virus</i> befällt bestimmte Zellen des <i>Immunsystems</i> . Es wird v.a. durch ungeschützten Geschlechtsverkehr übertragen.
Immunglobuline	Ig	<i>Antikörper</i> bzw. körpereigene Eiweissstoffe, die vom Abwehrsystem gegen <i>Antigene</i> gebildet werden.
Immunglobulin G	IgG	Eine Unterklasse von <i>Antikörpern</i> , die etwa 75–80% der im Blut zirkulierenden <i>Antikörper</i> ausmacht.
Immunsystem		Körpereigenes Abwehrsystem, das in den Körper eingedrungene Mikroorganismen und fremde Substanzen entfernt. Zudem ist es in der Lage, fehlerhaft mutierte körpereigene Zellen zu zerstören.
Immuntoleranz-Induktion	ITI	Die Behandlung mit regelmässigen, hoch-dosierten und über einen längeren Zeitraum verabreichten Infusionen eines Gerinnungsfaktors, um die <i>Hemmkörper</i> bei <i>Hämophilie</i> -Patienten zu beseitigen.
Inkrementelle Recovery/Wiederfindungsrate	IR/WFR	Die IR zeigt auf, wie hoch der Anstieg der Gerinnungsaktivität im Plasma nach einer bestimmten Dosis ist.
Inhibitor		Synonym für <i>Hemmkörper</i> .

Begriff	Abkürzung	Definition
Internationale Einheit	I.E.	International festgelegte Masseinheit für die Wirkung (nicht für die Stoffmenge) einer medizinisch verwendeten Substanz.
Interventionelle Studie		Studien, bei denen gezielte Interventionen (z.B. Gespräche, Medikationen, Operationen u.v.m.) an den Teilnehmenden vorgenommen werden. Das Gegenteil zu nicht-interventionellen Studien (alias <i>Beobachtungsstudien</i> ), bei welchen keine gezielten Interventionen stattfinden.
Intravenös	IV	Verabreichung eines Medikaments direkt in die Vene.
Inzidenz		Anzahl der neu auftretenden Erkrankungen innerhalb einer Personengruppe von bestimmter Grösse während eines bestimmten Zeitraums.
Konduktorin		Eine Frau mit einer erblichen Krankheitsanlage, die auf Kinder übertragen werden kann. Der Begriff wird besonders bei Müttern verwendet, die Anlageträgerinnen für X-chromosomal vererbte Krankheiten sind. Hierbei erkranken fast ausschliesslich Söhne, welche die entsprechende Anlage von der Mutter erben (z.B. <i>Hämophilie A und B</i> ).
Kurzfachinformation	KFI	Eine komprimierte Zusammenfassung der wichtigsten Inhalte der <i>Fachinformation</i> .
Lebensqualität (engl. Quality of Life)	QoL	Der Begriff umschreibt die Lebensbedingungen von Menschen unter Berücksichtigung zahlreicher verschiedener Faktoren, z.B. gesundheitlich, sozial, materiell, familiär und beruflich.
Lyophilisation		Ein Verfahren zur schonenden Gefriertrocknung von Produkten, wie z.B. Medikamenten. Das Endprodukt bezeichnet man als Lyophilisat.
Mikroblutung/ Petechien		Bezeichnet den Austritt von geringen Blutmengen aus den kleinen Blutgefässen, u.a. in den Gelenken, der Haut oder im Gehirn.
Mutation		Eine spontan auftretende, dauerhafte Veränderung des Erbguts. Die Veränderung betrifft zunächst nur eine Zelle, wird aber an deren Tochterzellen weitergegeben.
Neonataler Fc-Rezeptor	FcRn	Verantwortlich für den Transport und die Rückgewinnung von Fc-Proteinen, wodurch sich deren <i>Halbwertszeit</i> verlängert.

Begriff	Abkürzung	Definition
<b>Neutralisierende Antikörper</b>	NA	<i>Antikörper</i> , die die biologische Aktivität eines Krankheitserregers oder eines körperfremden Stoffes aufheben. Die Bildung von neutralisierenden Antikörpern ( <i>Hemmkörper</i> , <i>Inhibitoren</i> ) z. B. gegen den substituierten <i>FVIII</i> ist eine bekannte Komplikation der Behandlung. <i>FVIII</i> wirkt dann nicht mehr.
<b>Nicht-Faktortherapie</b> (engl. Non-Factor Therapy)	NFT	Eine <i>Hämophilie</i> -Behandlung, bei der nicht der Gerinnungsfaktor selbst ersetzt wird, sondern nur die Funktion des Faktors. Mit dem Ziel: Blutstillung ohne Zuführung von Gerinnungsfaktoren. Diese Therapie funktioniert auch bei <i>Hemmkörperpatienten</i> .
<b>Nicht-neutralisierende Antikörper</b>	NNA	<i>Antikörper</i> , die sich an Krankheitserreger (z.B. <i>Viren</i> ) binden, dessen Wirkung aber nicht neutralisieren.
<b>Off-label</b>		Abweichungen von den behördlich genehmigten Vorgaben in der Arzneimittel- <i>Fachinformation</i> von zugelassenen und verwendungsfertigen Medikamenten.
<b>Pegylieung</b>	PEG	Ein chemisches Verfahren, bei dem kettenförmige PEG-Moleküle an einen Wirkstoff (z.B. rekombinanten <i>FVIII</i> oder rekombinanten <i>FIX</i> ) angehängt werden, um diesen langsamer abzubauen zu können. Dadurch entstehen Wirkstoffe mit verlängerter <i>Halbwertszeit</i> .
<b>Pharmakodynamik</b>	PD	Beschreibt die Arzneimittelwirkung im Körper. Also die biochemischen und physiologischen Effekte des Medikamentes auf den Körper.
<b>Pharmakokinetik</b>	PK	Beschreibt die Prozesse, denen ein Wirkstoff im Organismus unterliegt. Dazu gehören u.a. die Aufnahme, Verteilung, Verstoffwechslung und Ausscheidung eines Arzneimittels.
<b>Pharmakologie</b>		Wissenschaft von Art und Aufbau der Heilmittel, ihren Wirkungen und ihren Anwendungsgebieten.
<b>Plasma Produkte/ Plasmakonzentrate</b> (engl. Plasma Derived)	PD	Präparate, die aus menschlichem <i>Blutplasma</i> gewonnen werden und als Therapieoptionen für <i>Hämophilie A und B</i> geeignet sind.
<b>Port-A-Cath System</b>		Ein vollständig implantierbares Katheter-System, das einen permanenten Zugang zu den Venen erlaubt. Kurz «Port» genannt.
<b>Pränataldiagnostik</b>		Unter diesem Begriff werden Tests zusammengefasst, die gezielt nach Hinweisen auf Fehlbildungen oder Störungen beim ungeborenen Kind suchen und eine vorgeburtliche Diagnostik darstellen.

Begriff	Abkürzung	Definition
Prävalenz		Die Häufigkeit eines Vorkommnisses (z.B. Erkrankung) in einer bestimmten Bevölkerungsgruppe während eines bestimmten Zeitraums. Zum Vergleich: die Prävalenz gibt Aufschluss über bestehende Fälle, die <i>Inzidenz</i> wiederum über neu auftretende Fälle.
Prophylaxe	PPX	Standard-Therapieform bei schwerer <i>Hämophilie</i> , bei der regelmässig und somit vorbeugend behandelt wird.
Prospektiv		«Auf das Zukünftige gerichtet». Ein Beispiel ist die prospektive Studie. Im Vorfeld wird hier festgelegt, welche Fragestellung geprüft werden soll und die Daten erst danach zielgerichtet zu diesem Zweck erhoben.
Protein		Einfacher Eiweissstoff und lebensnotwendiger Bestandteil aller Zellen und Organismen.
Prothrombinzeit/ Quickwert	PT	Blut-Laborwert, der Auskunft über einen wesentlichen Anteil der körpereigenen <i>Blutgerinnung</i> gibt und die Aktivität und Funktion des exogenen Gerinnungssystems z.B. nach Verletzungen misst.
Real-World Erfahrung (engl. Real-World Experience)	RWE	Daten aus dem klinischen Alltag. Sie liefern ergänzende Informationen zu Patientengruppen, welche u.U. nicht für kontrollierte Studien in Frage kommen, und somit Einsichten über eine grössere Vielfalt und Unterschiedlichkeit von Patienten.
Hämophilie-Register		Kontinuierliche, systematische Informationssammlung von Hämophilen. Je mehr Daten vorliegen, desto aussagekräftiger sind Vorhersagen und Trends, um eine Behandlung anzupassen.
Rekombinante Präparate	rFaktor z.B. rFVIII, rFIX	Präparate, die mittels biotechnologischer Verfahren im Labor hergestellt werden und eine wichtige Therapieform bei <i>Hämophilie</i> darstellen.
Restaktivität		Gemessene, natürliche Faktor-Aktivität im Blut bei Menschen mit <i>Hämophilie</i> .
Retrospektiv		«Rückschauend». Ein Beispiel ist die retrospektive Studie, bei der die Datenerhebung bereits vor Studienbeginn stattgefunden hat.
Schweizerische Hämophilie-Gesellschaft	SHG	Eine Patientenorganisation für Menschen mit Blutgerinnungsstörungen, v.a. mit <i>Hämophilie</i> . <a href="http://www.shg.ch">www.shg.ch</a>

Begriff	Abkürzung	Definition
Schweizerisches Hämophilie Netzwerk	SHN	Ein unabhängiger Verband für medizinische und therapeutische Berufe im Fachgebiet <i>Hämophilie</i> und Blutungsneigungen. <a href="http://www.swiss-hemophilia-network.ch">www.swiss-hemophilia-network.ch</a>
Schwergrade der Hämophilie		<p><b>Schwere Hämophilie:</b> Restfaktoraktivität im Blut beträgt &lt;1% der normalen Faktoraktivität.</p> <p><b>Mittelschwere Hämophilie:</b> Faktoraktivität im Blut beträgt zwischen 1– &lt;5% der normalen Faktoraktivität.</p> <p><b>Milde Hämophilie:</b> Faktoraktivität im Blut beträgt zwischen 5–40% der normalen Faktoraktivität.</p> <p><b>Sub-Hämophilie:</b> Faktoraktivität im Blut beträgt zwischen 40–60% der normalen Faktoraktivität.</p>
Spezialitätenliste	SL	Liste aller Medikamente, die von der Krankenkassen-Grundversicherung obligatorisch vergütet werden und vom <i>Bundesamt für Gesundheit</i> erlassen wird. <a href="http://www.spezialitätenliste.ch">www.spezialitätenliste.ch</a>
Spitzenspiegel (engl. Recovery)		Höchster Faktorwert im Blut 15–30 Minuten nach einer Faktorgabe.
Spontanmutation		Spontan auftretende, dauerhafte Veränderung des Erbguts.
Subkutan (engl. Subcutaneous)	SC	Die Verabreichung eines Medikaments mittels Spritze in das Unterhautfettgewebe.
Substitution		Ersatz durch äussere Zufuhr von Substanzen, die dem Körper normalerweise durch eigene Organleistung zur Verfügung stehen, aber aufgrund von Funktionsschwäche oder -versagen des entsprechenden Organs nicht oder nicht in ausreichender Menge zur Verfügung stehen. Bei <i>Hämophile A</i> z.B. durch Gabe von Gerinnungsfaktor <i>FVIII</i> .
Swissmedic (Schweizerisches Heilmittelinstitut)		Die zentrale Schweizerische Überwachungs- und Zulassungsbehörde des Bundes für Heilmittel und Medikamente. <a href="http://www.swissmedic.ch">www.swissmedic.ch</a>
Synovitis		Die Entzündung der inneren Schicht der Gelenkkapsel.

Begriff	Abkürzung	Definition
Talspiegel		Tiefster <i>Faktorspiegel</i> zwischen zwei Verabreichungen. Wird üblicherweise vor der nächsten Gabe gemessen.
Thrombin (Faktor II)		Das wichtigste Enzym der plasmatischen <i>Blutgerinnung</i> . Es leitet den letzten Schritt der Gerinnungskaskade ein.
Thrombose		Bildung von Blutgerinnseln in Arterien und Venen mit teilweisem oder vollständigem Gefäßverschluss.
<b>Unerwünschte Ereignisse</b> (engl. Adverse Events)	UE/AE	Ereignisse, die in einem zeitlichen Zusammenhang mit einer Medikamentengabe auftreten.
<b>Unvorbehandelte Patienten</b> (engl. Previously Untreated Patient)	PUP	Patienten, die für eine bestimmte Erkrankung noch keine Behandlung erhalten haben.
Vektor		Ein (Krankheits-)Überträger im biol./med. Sinne. Wird spezifisch dafür verwendet, um Medikamente in Menschen zu schleusen. So wird z.B. häufig ein <i>Virus</i> bei Impfungen oder bei Gentherapien als Vektor eingesetzt.
<b>Verteilungsvolumen</b> (engl. Volume of Distribution)	Vd	Zeigt auf, wie stark sich ein Wirkstoff des Blutes im Raum ausserhalb des Blutes und im Gewebe verteilt.
Virus		Kleinstes, häufig krankheitserregendes Partikel, das zur Vermehrung auf lebendige Wirtszellen angewiesen ist.
Von-Willebrand-Faktor	VWF	<i>Blutgerinnungsfaktor</i> mit direkter Wirkung auf die zelluläre Blutstillung und Trägerprotein des <i>Blutgerinnungsfaktors VIII</i> . Spielt eine wichtige Rolle bei der <i>FVIII-Halbwegszeit</i> .
Von-Willebrand-Syndrom	VWS	Eine angeborene Störung der <i>Blutgerinnung</i> . Diese wird verursacht durch das Fehlen oder eine zu geringe/fehlerhafte Bildung des <i>Von-Willebrand-Faktors (VWF)</i> .
<b>Vorbehandelte Patienten</b> (engl. Previously Treated Patient)	PTP	Patienten, die vor Einstellung auf eine neue Behandlung bzw. ein neues Medikament bereits eine Behandlung für die gleiche Krankheit erhielten.
<b>World Federation of Hemophilia</b>	WFH	Eine internationale gemeinnützige Patientenorganisation, die sich für ein besseres Leben für Menschen mit <i>Hämophilie</i> und anderen genetisch bedingten Blutungsstörungen einsetzt. <a href="http://www.wfh.org">www.wfh.org</a>

Begriff	Abkürzung	Definition
X-Chromosom		<p>Eines der beiden Geschlechts-<i>Chromosomen</i>. Frauen besitzen zwei X-Chromosome (nur eines davon aktiv), Männer je ein X- und ein Y-Chromosom, wobei das X-Chromosom immer aktiv ist. Die Gene für die <i>Blutgerinnungsfaktoren VIII und IX</i> liegen immer auf dem X-Chromosom. Daher tritt bei Männern ein ererbtes, auf dem X-Chromosom codiertes «krankes» FVIII- oder FIX-Gen immer als Krankheit auf.</p>
XTEN	XTEN	<p>Ein biologisch inaktives, abbaubares, synthetisches Eiweiss. Schützt die <i>Faktor VIII</i>-Moleküle vor schnellem Abbau und erschwert die Ausscheidung über die Niere. Die Halbwertszeitverlängerung geschieht unabhängig von der Halbwertszeit des FVIII-Trägerproteins <i>Von-Willebrand-Faktor</i>.</p>
Y-Chromosom		<p>Eines der beiden Geschlechts-<i>Chromosomen</i>. Frauen besitzen zwei X-Chromosome, Männer jeweils ein X- und ein Y-Chromosom.</p>



**Sobi** bedankt sich bei  
**Herrn Dr. med. Freimut H. Schilling**  
(Kinderspital Luzern) für die  
**fachliche Unterstützung und Überprüfung**  
dieser Zusammenstellung.