

## **Bodensee Dreiländertreffen in Roggenburg (DE), 16. – 18. September 2016**

Nach 10 Jahren Funkstille fand südlich von Ulm wiederum ein Dreiländertreffen statt, organisiert von der DHG, bzw. von deren Vertreter Siegmund Wunderlich. Das Zentrum für Familie, Umwelt und Kultur Kloster Roggenburg bot den idealen Rahmen für einen solchen Anlass. Kompetente Referenten, eine schöne Umgebung, grosszügige und moderne Infrastruktur und gute Verpflegung waren die Eckpfeiler für ein erfolgreiches Meeting.

Im Laufe des Freitagnachmittags reisten die Teilnehmenden aus allen Richtungen an, und am Abend gab es ausreichend Zeit, sich gegenseitig kennen zu lernen.

### Workshops

Am Samstagvor- und Samstagnachmittag standen Workshops im Zentrum des Programms. Diese gliederten sich in einen Spritzkurs, geleitet von Dr. Karin Kurnik, München, einen Workshop über die Fortschritte in der Hämophilie, geleitet von Dr. Harald Krebs, München, sowie einen Workshop über psychologische Aspekte im Zusammenhang mit Hämophilie, geführt von Dipl.-Psychologe Robert Bachhuber, ebenfalls aus München.

Im Spritzkurs wurde eifrig geübt, von Jung und Alt, Mutter, Vater, Kind, Bruder, Schwester usw. Die hämophilen Jungs konnten zu den jungen erwachsenen Betroffenen aufschauen und von deren Erfahrung profitieren. Manch einem gelang es während dem Kurs, etwas über seinen Schatten zu springen beim Punktieren der Venen. Stolz und Erleichterung war da und dort festzustellen, und damit hatte der Kurs sein Ziel voll erreicht.

Im Workshop ‚Fortschritte in der Hämophilie‘ ging es vorerst darum, die Wünsche und Bedürfnisse der Teilnehmenden festzuhalten. Dr. Harald Krebs erwähnte zu Beginn, dass es wichtig sei, die Vergangenheit zu kennen, um damit die vielen Neuerungen, die anstehen, bewerten zu können.

Es schälten sich folgende Schwerpunkte heraus:

- Blutungen/Schmerz
- Sport
- Behandlungen
- Laborerkenntnisse
- Neue Präparate

### HIV und Hepatitis C (HC)

Es sei interessant, meinte der Referent, dass HIV heute kaum mehr ein Thema sei. Die HC sei aber aktuell, jedoch mit den neuen Medikamenten mit einer Erfolgsquote von fast 100 % relativ leicht zu eliminieren. Zum Glück hätten die Hämophilen in Deutschland vollen Zugang zu den neuen, aber sehr teuren Therapien gegen das HC-Virus.

### Blutungen und Schmerz

Beim Thema Blutungen und Schmerz meinte Dr. Krebs, dass es schwierig sei, zwischen Blutung und Entzündung zu unterscheiden. Beide hätte die gleichen Symptome (Anschwellen, Wärme, Schmerz, Bewegungseinschränkung). Ein Ultraschall gebe meist Klarheit. Er erwähnte auch noch die

Mikroblutungen, die z.B. beim Sport entstehen können und nicht wahrgenommen werden, jedoch auf die Dauer zu Schäden an den Gelenken führen können.

Er rät den Betroffenen, bei Schmerzen Faktor zu spritzen, und ev. auch ein Schmerzmittel zu nehmen. Das beste Schmerzmittel sei hingegen die Prophylaxe. Bei chronischen Entzündungen verändere sich oft das Schmerzempfinden. Da helfe nur Substitution in hohen Dosen. Bei einer Synovitis, einer chronischen Gelenkentzündung, brauche es medizinische Behandlung und ev. einen operativen Eingriff. Wichtig sei auch, die Möglichkeiten der Physiotherapie auszunutzen und diese konsequent anzuwenden. Voraussetzung sei, dass die Physiotherapeuten einen gut Job machen würden und auf den Patienten eingehen könnten.

## Sport

Ein Teilnehmer erwähnte, dass er wieder Freude am Sport gewinnen musste. Sport und Hämophilie passen gut zueinander, ist der Referent überzeugt. Entscheidend ist hier, dass jeder herausfindet, wo seine Grenzen im Sport sind. Oft genügte auch Übungen im alltäglichen Bereich, z.B. die Sturztechnik. Dr. Krebs erwähnte, dass er selber Ski fahre. Er habe einen Skischuh mit guter Schäumung. Prophylaxe vor dem Skifahren sei Pflicht. Auch Tauchen könnte als Sport eine Option sein. Es gebe einem ein Gefühl von Schwerelosigkeit. Die Gefahren dabei seien nicht hämophilie-spezifisch.

## Halbwertszeit (HWZ)

Die Zeit, in welcher der Körper 50 % des zugeführten Faktors abgebaut hat, nennt man Halbwertszeit. Bei Hämophilie A ist diese bei 6 – 8 Std., bei Hämophilie B bei ca. 12 Stunden, individuell je nach Patient. Je nach Messgerät könnten die Laborwerte voneinander abweichen. Meist seien es jedoch minime Unterschiede, die kein Problem darstellen.

## Neue therapeutische Optionen

Dr. Krebs versuchte, den Teilnehmer die Fülle an neuen Therapiemöglichkeiten darzustellen, mit deren Vor- und Nachteilen. Bereits auf dem Markt erhältlich sind einige HWZ-verlängerte Produkte. Bei Hämophilie A bzw. Faktor VIII ist die Verlängerung moderat, d.h. dass in der Regel eine zweimal wöchentliche Substitution ausreichen sollte. Bei Hämophilie B ist die HWZ deutlich verlängert, sodass eine Faktorverabreichung alle 1-2 Wochen genügen sollte. Langzeitdaten fehlen bei diesen Produkten, z.B. betreffend Hemmkörpern und Nebenwirkungen.

Ein ganz neuer Ansatz ist ein Produkt mit einem Antikörper, welcher Faktor IXa und F X aneinander bindet. Grosser Vorteil dieser Option ist die subkutane Verabreichung. Aber auch hier gibt es noch offene Punkte wie Nebenwirkungen und allergische Reaktionen. Das Produkt wird voraussichtlich in ein paar Jahren zur Verfügung stehen.

Zum Thema Gentherapie meinte Referent Dr. Krebs, dass damit die Idee verbunden sei, dass der Körper selber den Faktor produzieren solle. Mit einem Virus werde Genmaterial in den Körper eingepflanzt. Schon eine geringe Anhebung des Faktorspiegels habe eine grosse Wirkung. Auch bei diesem Ansatz gebe es Nachteile, z.B. die Antikörper-Bildung, dass es keine Gegenmittel gebe und damit verbunden eine geringere Patientenbindung resultiere. Es werde noch einige Jahre gehen, bis die Gentherapie offiziell als Behandlungsoption angeboten werden könne.

Generell ist Dr. Krebs der Ansicht, dass die neuen Präparate sicher sind, aber man wisse nie, ob neue Viren auftauchen könnten. Ein Wechsel des Produkts sei ein Risiko für Hemmkörperbildung. Neueste Studien hätten belegt, dass bei Kindern plasmatische Produkte eine geringere Tendenz zu Hemmkörperbildung hätten wie rekombinante.

#### Psychologische Aspekte im Zusammenhang mit Hämophilie

Robert Bachhuber, Dipl.-Psychologe, war erfreut an der bunt gemischten Truppe, die zusammen gekommen war in seinem Workshop. Ein lebendiger Austausch sei wertvoll, wo jeder seine Perspektive darlegen könne. Die Teilnehmenden hätten sich getraut, Ängste und Bedenken zu äussern. Und was es im Alltag bedeutet, diese chronische Krankheit zu haben. Ziel sei immer, ein möglichst normales Leben zu führen. Hierzu müssten aber auch Eltern und Geschwister Verantwortung übernehmen. Andererseits müssten die Eltern loslassen können, was bei einem hämophilen Kind schwieriger sei. Er wünscht, dass solche Veranstaltungen regelmässig stattfinden, denn sie seien hilfreich und bereichernd.

Am Samstagabend, nach dem Nachtessen, war gemütliches Zusammensein angesagt. Organisator Siegmund Wunderlich ermunterte die Anwesenden, doch aktiv zur Unterhaltung beizutragen. Die Schweizer Delegation zeigt sich initiativ, indem sie, unterstützt durch Jean-Pierre Jullier an der Gitarre, einige Lieder zum Besten gab. Die Zuhörer waren sichtlich angetan vom Dargebotenen und spendeten dankbar Applaus.

Am Sonntagvormittag präsentierten die Workshop-Leiter kurze Zusammenfassungen als Übersicht für alle Teilnehmenden. Dann ergriff Werner Kalnins, Präsident der DHG, das Wort und vermittelte in verständlicher Form, was an neuen Produkten vor Markteinführung steht. Zuerst machte er jedoch einen Blick zurück in die Anfänge der Hämophilie-Behandlung. Schliesslich gelangte er in seinem Referat zur Gentherapie, wo nun auch bei Patienten mit Hämophilie A Versuche durchgeführt werden. Dabei habe man bei den Probanden mit schwerer Hämophilie einen Restfaktor von bis zu 25 % erreichen können! Man wisse, dass schon bei einem Faktor-Spiegel von 3-5 % viele Blutungsereignisse verhindert werden können. Nach wie vor sei die Prophylaxe der ‚Goldstandard‘ in der Behandlung. Statistisch sei bewiesen, meinte W. Kalnins, dass damit die Lebensqualität nachweislich verbessert werden kann. Man wisse jedoch, dass die HWZ bei Kindern verkürzt sei, 5-10 Std. gegenüber 8-20 Std. bei Erwachsenen. In Deutschland sind derzeit 3 Produkte mit verlängerter Halbwertszeit auf dem Markt erhältlich. Die Pharma entwickle diverse Verfahren, um den Faktor länger im Körper zu erhalten.

#### Umfrage in den DACH-Ländern

Dr. Silvia von Mackensen, Uni Hamburg, präsentierte eine interessante Auswertung einer Patientenbefragung in Deutschland, Österreich und der Schweiz (DACH-Länder), die sie vor kurzem fertigstellen konnte. Dabei ging es um das Wissen und die Erwartungen zu den neuen, HWZ-verlängerten Produkten sowie um die Frage, wann die Betroffenen zu einem solchen Produkt wechseln würden. Mittels Fragebögen, die den Betroffenen zugesandt worden waren, wurden demografische und klinische Daten befragt, das Wissen über die HWZ und allgemein die Einstellung zu Faktorkonzentraten. Die Umfragen wurden in folgenden Zeitfenstern durchgeführt: DHG: Januar-März 2015, SHG: Januar-März 2016 und ÖHG: Juni-August 2016. Insgesamt wurden 2'644 Hämophile angeschrieben. Der Rücklauf war mit 1'007 Fragebögen bzw. 38,1 % erfreulich. Von diesen rund 1'000 Antwortenden sind 84,5 % von Hämophilie A betroffen, 73,7 % haben die schwere Form von

Hämophilie, 14,9 % hatten oder haben Hemmkörper, 57 % wenden eine Prophylaxe an, 60,2 % benutzen rekombinante Produkte.

#### Resultate der Patientenbefragung

Mit dem aktuellen Produkt sind 4 % unzufrieden, vor allem mit der kurzen HWZ und mit dem Handling des Produkts, 13 % mit dessen Lagerung. Erwartungen an die neuen HWZ-verlängerten Produkte: 55 % möchten weniger spritzen müssen, 32 % erwarten eine bessere Wirksamkeit, 15 % mehr Sicherheit. Bei den erwachsenen Patienten würden 63 % zu einem HWZ-verlängerten Produkt wechseln, 33 % sind unschlüssig. Bei den Eltern von hämophilen Jungs würden 47 % wechseln, ebenso viele sind unschlüssig.

#### Motive zum Wechseln des Produkts

Die zwei am häufigsten genannten Gründe sind:

- Längere HWZ (87,1 %)
- Gleiche Sicherheit wie aktuelles Produkt (62,8 %)

Es sind auch Bedenken zu den neuen Produkten vorhanden. Hier wurden vor allem Hemmkörper (71,4 %), unklare Sicherheit (60,9 %) und mögliche Nebenwirkungen erwähnt. Ein Grossteil der Befragten würde bei einer zweifach verlängerten HWZ wechseln. Informiert werden möchten die Patienten primär von den Behandlern oder über den Newsletter der Patienten-Organisation.

#### Unterschiede zwischen den DACH-Ländern

Dr. von Mackensen präsentierte in der Folge Zahlen, welche diverse Unterschiede in der aktuellen Behandlungsart und in der Haltung gegenüber den neuen Produkten darstellen. So wenden in Deutschland (D) und Österreich (A) nur noch rund 37 % der befragten Betroffenen eine Bedarfsbehandlung an, im Gegensatz zur Schweiz (CH) mit 58,3 %. Hingegen werden in der CH und in A bereits 66 % rekombinante Produkte verwendet, in D erst 57 %. Auch scheint es, dass die Eltern von Betroffenen in der CH am progressivsten sind, würden doch rund zwei Drittel zu einem neuen Produkt wechseln, in A nur 33 %. Der Kostenaspekt ist in der CH am wichtigsten.

Die Referentin erwähnte zum Schluss dass sie am Patientenanlass vom 6. November 2016 in der Schweiz über die Resultate aus der Schweizer Patienten referieren werde und die Erkenntnisse aus der DACH-Region in der renommierten Fachzeitschrift ‚Hemophila‘ publizieren werde.

Zum Abschluss dankte Siegmund Wunderlich allen Teilnehmenden für deren Erscheinen und deren aktivem Mitwirken. Alle Anwesenden traten sichtlich zufrieden den Heimweg an. Das 3. Bodensee-Dreiländertreffen wird uns allen in bester Erinnerung bleiben.

Jörg Krucker