

HÄMOVISION

LEBEN MIT HÄMOPHILIE



Gentherapie bei Hämophilie B

Mit dem fehlenden Faktor-Gen
langfristig Blutungen verhindern

SPORT UND HÄMOPHILIE | **JUST MOVE IT:** Junge Menschen erfolgreich motivieren

HEMOCARE | **Wer versorgt Menschen mit Hämophilie zu Hause?**

REISEN | **Ein Erfahrungsbericht und eine Checkliste zum Heraustrennen**



VHA

VERBAND DER HÄMOPHILIE-APOTHEKEN E.V.

JEDER TROPFEN ZÄHLT

Das Wohl der Patienten
steht für uns im Mittelpunkt



KONTAKT

Verband der Hämophilie-Apotheken e.V.
Witzleben Apotheke 26 | Claudia Neuhaus e.K.
Kaiserdamm 26 | 14057 Berlin



E-Mail: info@haemophilie-apotheken.de
Web: www.haemophilie-apotheken.de

Eine Liste aller Verbandsapotheken
finden Sie auf unserer Homepage

EDITORIAL



Liebe Leserin, lieber Leser!

Eine dauerhafte Normalisierung der Faktoraktivität und, bedingt dadurch, ein kontinuierlicher Schutz vor Blutungen – für viele Menschen mit Blutgerinnungsstörungen ist das der größte Wunsch. Mit den jüngsten Entwicklungen im Bereich der Gentherapie bei Hämophilie ist dieses Ziel ein Stück weit näher gerückt. Während wir in der letzten Ausgabe der Hämovision einen Blick auf die Möglichkeiten bei Hämophilie A geworfen haben, geht es diesmal um ein Gentherapeutikum zur Behandlung der Hämophilie B, das zum Redaktionsschluss kurz vor der Zulassung stand. Hierfür konnten wir sowohl Prof. Wolfgang Miesbach gewinnen, der an Studien für beide Therapeutika beteiligt war, als auch Brian O'Mahony, der zu den ersten Studienteilnehmern überhaupt gehörte.

Mit dem wichtigen Thema Sport und Hämophilie beschäftigen wir uns ab Seite 20 und freuen uns mit den Organisatoren von JUST MOVE IT HÄMOPHILIE über den Erfolg dieses Projekts.

Und weil der Frühling vor der Tür steht und die Lust aufs Reisen steigt, ist auch dies Bestandteil der Märzausgabe. Für alle, die nicht ganz so unbekümmert reisen mögen, wie der 19-jährige Jeppe (S. 32), gibt es auf der letzten Seite eine Reisecheckliste zum Herausnehmen. Einen schönen und unternehmungstreuen Frühling wünscht Ihnen Ihre

Tanja Fuchs | Chefredakteurin Hämovision

INHALT

- 4 INFOS & NEUIGKEITEN**
Wissenswertes und Termine
- 6 TITELTHEMA**
Gentherapie bei Hämophilie B
Ein weiteres Gentherapeutikum: Was dürfen Patienten mit Hämophilie B erwarten?
Interview mit Brian O'Mahony,
der das neue Gentherapeutikum erhalten hat
- 20 VORGESTELLT**
IGH – Interessengemeinschaft Hämophiler e.V.:
Arbeit und Projekte der Interessenvertretung
- 22 JUST MOVE IT**
Ein erfolgreiches Sport-Projekt für junge Menschen
Dr. Dr. Christoh Königs und Dr. Stephan Schultze-Strasser im Gespräch
- 26 VORGESTELLT**
Die Deutsche Hämophiliegesellschaft – DHG:
Arbeit und Projekte der Interessenvertretung
- 28 HOMECARE**
Gesine Nugel über ambulante Versorgung in der Hämophilie
- 32 ERFAHRUNGSBERICHT**
Jeppe Grøndahl ist trotz Hämophilie mit leichtem Gepäck unterwegs
- 37 GUTE REISE**
Ihre persönliche Reise-Checkliste

WIR FREUEN UNS ÜBER IHRE POST

Sie wissen etwas über interessante Seminare oder Informationsveranstaltungen zum Thema Hämophilie oder haben einen guten Buchtipps? Oder möchten Sie uns einfach Feedback geben? Schreiben Sie uns:

Florian Schmitz Kommunikation | Redaktion HÄMOVISION

Wichmannstrasse 4 / Haus 12, 22607 Hamburg

Oder schicken Sie uns eine E-Mail: tanja.fuchs@fskom.de

IMPRESSUM

Verlag: Florian Schmitz Kommunikation GmbH
Wichmannstraße 4/Hs. 12, 22607 Hamburg | www.fskom.de

Herausgeber: Florian Schmitz (V.i.S.d.P.)

Redaktion: Tanja Fuchs, Verena Fischer, Kristina Michaelis

Wissenschaftliche Beraterin: Dr. Katharina Holstein

E-Mail Redaktion: tanja.fuchs@fskom.de

Layout + Grafikdesign: Peter Schumacher

Litho/Druck: Druck + Medienkontor

Copyright Titel „Hämovision“: Paula Schmitz

Infos und Neuigkeiten

Update:

Neues zur elektronischen Patientenbetreuung

Im Bereich der elektronischen Dienstleistungen für Patienten tut sich im Moment einiges. Womit im Jahr 2023 zu rechnen ist, das verrät die Apothekerin und Digital Health Managerin Lara Fürtges von der MediosApotheke Schwerpunkt Seltene Erkrankungen.

Bisher werden digitale Gesundheitsangebote wie die elektronische Patientenakte (ePA) oder das E-Rezept nur von sehr wenigen Patienten genutzt. Damit sich das ändert, hat die Ampel-Koalition beschlossen, dass die ePA als sogenanntes „Opt-out-Angebot“ kommen soll. „Das bedeutet, dass alle Versicherten (gilt erstmal nicht für Privatpatienten) automatisch eine ePA erhalten sollen, es sei denn, sie widersprechen aktiv“, erklärt Lara Fürtges. „Die Nutzung bleibt also weiterhin freiwillig.“ Bis es soweit ist, werden aktuell noch offene Fragen geprüft. So zum Beispiel: Führen Eltern bis zur Volljährigkeit ihrer Kinder deren ePa und, wenn ja, wie lässt sich das Patientengeheimnis Minderjähriger gewähren? „Das kann beispielsweise wichtig sein, wenn etwa junge Frauen nicht möchten, dass ihre Eltern erfahren, dass sie die Pille nehmen“, erklärt Fürtges. Unklar bleibt auch, wie die Möglichkeit zur Datenspende (Freigabe der eigenen anonymisierten Gesundheitsdaten zu Forschungszwecken) geregelt wird – soll hier auch ein aktiver Widerspruch Standard werden? „Bis diese Fragen geklärt sind, erhalten gesetzlich Versicherte die ePa weiterhin nur nach eigeninitiativer Anfrage“, so Fürtges. Übrigens: Die elektronische Patientenakte ist 2022 um die Führung

von Impf-, Mutterpass und Zahnbonusheft erweitert worden.

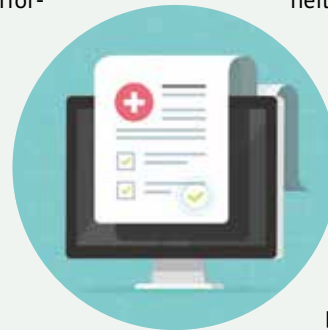
Zugang für Privatversicherte

Bisher werden digitale Angebote wie ePA und E-Rezept exklusiv von gesetzlichen Krankenkassen zur Verfügung gestellt. „Einige Privatversicherungen arbeiten jetzt daran, ihren Versicherten sogar eine digitale Identität anzubieten, die dann zum Beispiel auf dem Smartphone geführt werden kann“, berichtet Fürtges. Wenn es dazu kommt, wird für Arztbesuche zukünftig keine Chipkarte mehr, sondern nur noch das Smartphone erforderlich sein. „Ebenfalls wird über die digitale Identität auch eine Nutzung von ePa und E-Rezept für Privatversicherte und damit dann auch die digitale Abrechnung von E-Rezepten mit der privaten Krankenkasse möglich werden“, so die Apothekerin. Apropos E-Rezept: Mit diesem soll es ab etwa Ende März möglich sein, ausgedruckte E-Rezepte durch Abfotografieren in die App zu übertragen und diese elektronisch an die Apotheke zu übermitteln, ohne sich in der App umständlich anmelden zu müssen. „Im Laufe des Jahres kommen Funktionen hinzu, mit denen sich die Verfügbarkeit von Medikamenten bei Apotheken abfragen oder ausgedruckte E-Rezepte von Freunden oder Verwandten stellvertretend einscannen und reservieren lassen“, berichtet Fürt-

ges. Außerdem neu: E-Rezepte sollen ab dem Sommer auch mit der elektronischen Gesundheitskarte in der Apotheke einlösbar sein. „Es braucht dann keine Papierrezepte mehr.“

Was sich in 2023 sonst noch ändern wird

Ein Kabinetts-Beschluss sieht vor, dass Apotheken ab 2023 (ein genaues Datum ist noch nicht festgelegt) ein Authentifizierungsverfahren für ePA und E-Rezept anbieten sollen (genannt „Apo-Ident“). „Patienten können sich dann ihre Identität vor Ort bestätigen lassen für ihre digitalen Gesundheitsdienstleistungen und müssen dazu nicht mehr in die Niederlassung der Krankenversicherung oder zur Post“, bestätigt Fürtges. Im Falle einer Krankenschreibung gilt seit dem 1. Januar 2023 folgendes: „Patienten brauchen ihre Krankenschreibung nicht mehr bei der gesetzlichen Krankenkasse oder dem Arbeitgeber abzugeben. Stattdessen sollen Ärzte die Krankenschreibungen den Kassen digital zustellen, so dass Arbeitgeber diese dann bei der gesetzlichen Krankenkasse direkt anfragen können. Beim Arbeitgeber krankmelden muss man sich natürlich dennoch.“ Telefonische Krankenschreibungen werden hingegen ab Juni voraussichtlich nicht mehr möglich sein. Eine Krankenschreibung per Videosprechstunde bleibt unter gewissen Umständen aber weiterhin umsetzbar.



*Be(f)reit fürs Leben
mit Hämophilie A*




Du und Deine Gelenke – gemeinsam stark!

Für ein gesundes und aktives Leben brauchst du starke Gelenke. Mit der richtigen Therapie unterstützt Du Deine Gelenkgesundheit! Frag jetzt Dein Behandlungsteam nach innovativen Therapiemöglichkeiten!

Von Betroffenen für Betroffene
Auf **active-a.de** teilen Menschen mit Hämophilie A, Konduktorinnen sowie Angehörige ihre Erfahrungen und geben Tipps für den Alltag mit Hämophilie. Klick Dich rein und werde Teil der Community!



Scannen und unsere
Webseite entdecken
 **active-a.de**

Roche Pharma AG
Patient Partnership Hämophilie
Emil-Barell-Straße 1
79639 Grenzach-Wyhlen, Deutschland

www.roche.de

Chugai Pharma Germany GmbH

Amelia-Mary-Earhart-Straße 11 b
60549 Frankfurt am Main, Deutschland

www.chugaipharma.de

NEWS

Online-Angebot:

Sport- und Bewegungsstunde

Bewegung ist für uns alle wichtig – auch und gerade für Menschen mit Hämophilie. Neben dem Erhalt der Beweglichkeit und einer gestärkten Muskulatur, die die Gelenke entlastet, hebt regelmäßige Aktivität auch die Stimmung. Inzwischen gibt es auch für Menschen mit Hämophilie kaum noch Tabus, allerdings sollte natürlich berücksichtigt werden, dass die meisten Sportangebote in der Regel nicht auf die individuellen Bedürfnisse dieser Teilnehmer eingehen können. Um möglichst vielen Menschen mit Hämophilie regelmäßige Bewegungseinheiten zu ermöglichen, bietet das Interdisziplinäre Zentrum für Bewegungs- und Sportmedizin (IBS-MED e.V.) in Kooperation und mit Unterstützung der Interessengemeinschaft Hämophiler e.V. (IGH) seit Anfang 2023 ein Online-Training speziell für Menschen mit Blutungsneigung an. **Jeden Dienstagabend von 18 bis 19 Uhr** können Menschen mit Hämophilie kostenlos daran teilnehmen.

Nach einer formlosen Anmeldung via E-Mail erhalten Interessierte einen Link, über den sie sich bequem einwählen können. Die Workouts werden von speziell ausgebildeten Sporttherapeuten geleitet und sind an die Bedürfnisse von Menschen mit Hämophilie angepasst: Abwechslungsreiche Übungen aus den Bereichen Beweglichkeit, Kraft, Koordination, Gelenkmobilisation und Herz-Kreislauftraining, die je nach Belastbarkeit leicht auszuführen sind, am Ende der Stunde stehen auch Entspannungsübungen auf dem Programm, etwa in Form einer geführten Traumreise. Vorkenntnisse sind nicht erforderlich und außer einem digitalen Endgerät und außer einem digitalen Endgerät mit Kamera, einem Stuhl und festen

Schuhen braucht es nichts weiter, um teilnehmen zu können.

Zum Ablauf:

Immer Dienstags um 18 Uhr wählen sich die Teilnehmer ein und nach einer kurzen Begrüßung geht es mit Aufwärm- und Lockerungsübungen los, bevor Kraft, Ausdauer, Balance und Beweglichkeit trainiert werden. Die Gruppengröße variiert – die meisten sind allein vor den Bildschirmen, es gibt jedoch auch solche, die gemeinsam vor einem Bildschirm teilnehmen.

Info & Anmeldung:

Web: www.igh.info/aktiv

Telefon: 0202-8975510

E-Mail: info@ibs-med.de

Organisation, Durchführung und Konzeption durch das Team von IBS-MED e.V. Friedensstr. 106, 42349 Wuppertal

www.haemophilia-exercise.de



Änderungsantrag zum Transfusionsgesetz

DHG lehnt Herabsetzung der Sicherheit bei der Blutspende entschieden ab

Die Regierungsfractionen planen einen Änderungsantrag zum Transfusionsgesetz in Bezug auf die Blutspende und die zugehörige Richtlinienkompetenz (Richtlinie Hämotherapie) in den Bundestag einzubringen. Die DHG sieht darin eine Gefährdung des bewährten Sicherheitssystems. „Wir befürworten nachdrücklich die Beseitigung von Benachteiligungen aus Gründen der sexuellen Orientierung und der Geschlechtsidentität in der Gesellschaft. Abstriche bei der Sicherheit von Blut und Blutprodukten sind jedoch nicht hinnehmbar. (...)“ Den Änderungsantrag ebenso wie die Stellungnahme der DHG findet man hier:

<https://kurzelinks.de/efjx>

**FRÜHE 1970ER
JAHRE**
Erste FVIII und FIX-
Konzentrate
aus Plasma werden
verfügbar^{*1}

1997
Zulassung
des ersten
rekombinanten FIX-
Ersatzpräparates^{*2}

1999
Erste Gentherapie in
der Hämophilie^{*3}

SEIT 2017
Laufende klinische
Zulassungsstudien
zur Gentherapie bei
Hämophilie^{*4}



DIE WISSENSCHAFT DER GENTHERAPIE BEI HÄMOPHILIE HAT SICH SCHRITT FÜR SCHRITT WEITERENTWICKELT

Wir arbeiten daran, die Gentherapie für Sie und Ihre Patienten mit Hämophilie
Wirklichkeit werden zu lassen.


HaemEvolution



Erfahren Sie mehr über den wissenschaftlichen Fortschritt in der Gentherapie unter [HaemEvolution.de](https://www.haemevolution.de)

*Meilensteine der wissenschaftlichen Community, die nicht spezifisch für die Hämophilie-Forschungs- und Entwicklungsprogramme von CSL Behring sind.

¹ Morfini M. The history of clotting factor concentrates pharmacokinetics. J Clin Med. 2017;6:35.

² BeneFIX®-Fachinformation Stand 09/2020.

³ Kay MA et al. Evidence for gene transfer and expression of factor IX in haemophilia B patients treated with an AAV vector. Nat Genet. 2000;24(3):257–61.

⁴ <https://www.clinicaltrials.gov> (NCT03370913, NCT03392974, NCT03587116, NCT03876301, NCT03569891, NCT03587116). Letzter Zugriff April 2022.

CSL Behring

Eine weitere Perspektive gibt Hoffnung: **Gentherapie bei Hämophilie B**



Rund 6 Monate, nachdem das erste Gentherapeutikum zur Behandlung der Hämophilie A zugelassen wurde, wird nun ein weiteres Kapitel im Bereich neuartiger Therapien aufgeschlagen: Die **erste Gentherapie** für Menschen mit Hämophilie B steht kurz vor der Zulassung.

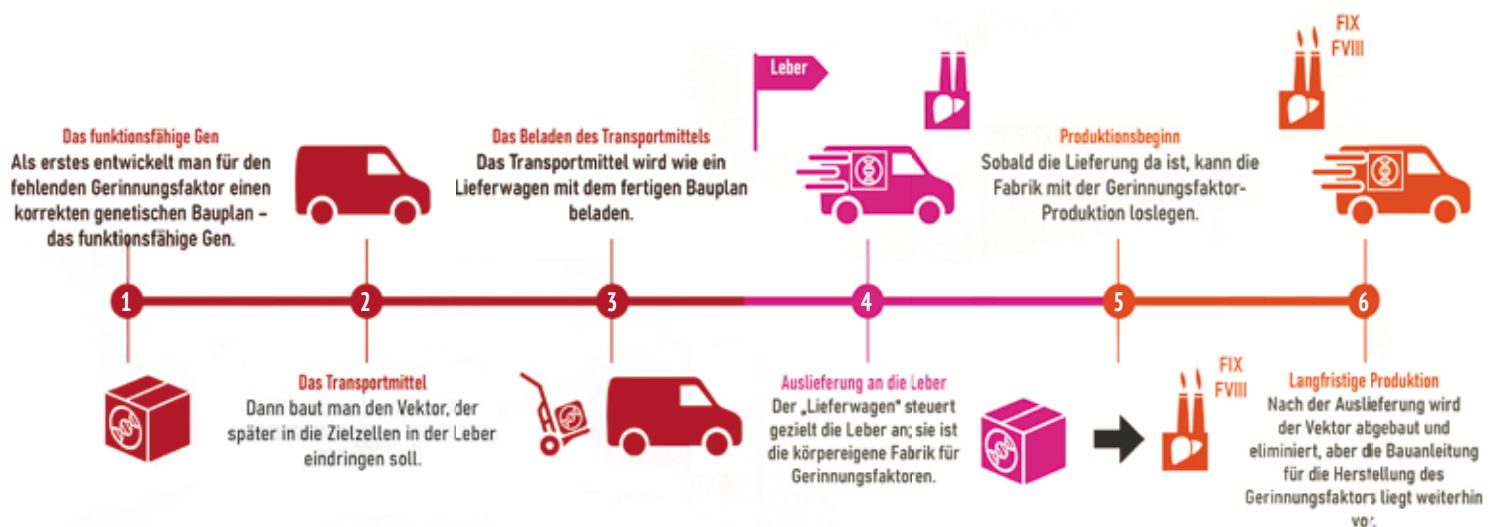
Text von **Tanja Fuchs**

Die Studiendaten sind vielversprechend, im Dezember 2022 hatte zunächst der CAT* und dann das CHMP* eine Empfehlung zur bedingten Zulassung für das Gentherapeutikum Hemgenix (Etranacogen dezaparvovec). Die Empfehlung bezieht sich auf die Behandlung von Erwachsenen mit schwerer und mittelschwerer Hämophilie B, die keine Faktor-IX-Inhibitoren haben. Die finale Entscheidung über die Zulassung trifft die Europäische Kommission (zum Redaktionsschluss noch nicht erfolgt).

Was darf man erwarten? Funktioniert die Gentherapie für Hämophilie B genauso wie jene für Hämophilie A?

Wo liegen die Unterschiede, und was könnte die Zukunft bringen. Über diese Fragen konnte die Hämovision mit Prof. Wolfgang Miesbach sprechen, der an klinischen Studien zu beiden Gentherapien beteiligt war.

Im Prinzip funktioniert die Gentherapie bei Hämophilie B ähnlich wie bei Hämophilie A, wobei die Bestandteile natürlich differieren würden, da das Gen, welches hier transportiert werde, ja das Faktor-IX-Gen bzw. eine hyperaktive Variante des Faktor IX sei, erklärt Wolfgang Miesbach.



GENTHERAPIE



Prof. Dr. med. Wolfgang Miesbach ist Facharzt für Innere Medizin mit der Zusatzbezeichnung Hämostaseologie in der Medizinischen Klinik/ Institut für Transfusionsmedizin am Universitätsklinikum Frankfurt.

Unterschiede zwischen den Gentherapien

Ein weiterer Unterschied besteht darin, dass die Erhöhung einer bestimmten Lebertransaminase unter Gentherapie bei Hämophilie A häufiger vorkommt als bei Hämophilie B. Dies ist Prof. Miesbach zufolge, nicht nur bei dem bereits zugelassenen Medikament, sondern auch in anderen Studien mit Hämophilie-A-Patienten der Fall.

Interessant und offenbar eine Besonderheit von HEMGENEX, ist die Gegebenheit, dass in zwei Studien auch Patienten mit Antikörpern gegen die Adeno-assoziierten Viren (AAV), eingeschlossen waren, die sehr gute Outcome-Parameter gezeigt haben. „Das bedeutet, dass niedrige und mittlere Antikörpertiter also nicht zwangsläufig ein Ausschlusskriterium sein müssen“, erläutert Prof. Miesbach.

Was die Wirkdauer betrifft, ist es, dem Hämostaseologen zufolge, derzeit noch zu früh, um Schlüsse zu ziehen. „Wir haben Daten aus 2 Jahren Nachbeobachtungszeit, in der Vorläuferstudie mit demselben Genkonstrukt, aber mit einem anderen Gen, sind mittlerweile 5-6 Jahre publiziert – wohlbemerkt als Kongressbeiträge und noch nicht als volles Manuskript. Darüber hinaus gibt es im Bereich der Hämophilie B Erfahrungen aus anderen Studien, die schon früher begonnen haben, und man geht davon aus, dass mindestens 8 Jahre und sogar darüber hinaus eine stabile Transgenexpressierung möglich ist.“

Für wen ist die Gentherapie geeignet?

Grundsätzlich ist die Gentherapie also nicht für alle Patienten gleichermaßen geeignet. So gilt eine vorbestehende Immunität gegen AAV als Ausschlusskriterium (bei Hämophilie A) und schränkt die Eignung für eine AAV-basierte Gentherapie bei Hämophilie B in jedem Fall ein. Neben diesen Faktoren, die sich mittels Antikörpertest relativ schnell klären lassen, gibt es weitere Kriterien, die in Bezug auf die Patientenselektion von Bedeutung sind. Das Lebensalter ist, Prof. Wolfgang Miesbach zufolge, kein relevantes Auswahlkriterium, auch spiele es – anders als zunächst vermutet – keine überragende Rolle, ob

HEMGENEX® (Etranacogen dezaparvovec) wird einmalig als intravenöse Infusion angewendet. Es besteht aus einem funktionsfähigen Gen für den Gerinnungsfaktor – in diesem Fall Faktor IX –, welcher an einen AAV-Vektoren als Transportvehikel gekoppelt ist. Dabei handelt es sich um rekombinant hergestellte, nicht-pathogene Viren, deren Genom durch das therapeutische Gen mit einem leberspezifischen Promotor ausgetauscht wird. Im Vergleich zu anderen viralen Vektoren haben AAV eine geringere Immunogenität und eine sehr geringe Integrationsrate in das Genom und ermöglichen zudem eine langanhaltende Expression des therapeutischen Gens.

(Quelle: Satellitensymposium „Gentherapie – ein weiterer Schritt in der Optimierung der Hämophilie-Behandlung?“. Im Rahmen des GTH-Kongresses, Veranstalter: CSL Behring, 2. März 2022)

es sich um Patienten mit aktivem Lebensstil, Blutungen trotz adäquater Prophylaxe oder Adhärenz-Problemen handele. „Eine der wichtigsten Voraussetzungen ist, dass die Patienten mit Unsicherheiten umgehen können“, so der Hämostaseologe aus Frankfurt. „Unsicherheiten sowohl in Bezug auf das Ansprechen der Therapie als auch auf die Art und Dauer der Wirksamkeit.“ Nicht zuletzt, so Wolfgang Miesbach, bleibe schließlich auch noch ein gewisses, wenn auch sehr geringes Maß an Unsicherheit in Bezug auf Langzeitfolgen.

Viel Aufklärung und Planung im Vorfeld

Eine Gentherapie macht man nicht mal eben so. Bevor die Gentherapie verabreicht werden kann, müssen einige Bedingungen erfüllt, Hürden beseitigt und Fragen geklärt sein:

Neben umfassender patientengerechter Aufklärung muss die Eignung des jeweiligen Patienten geprüft werden



Wo findet die Aufklärung statt, wo werden die ersten Tests durchgeführt, in denen die Eignung des Patienten geprüft wird? In welchem Zentrum erfolgt die Verabreichung der Gentherapie und wer übernimmt die anschließenden Follow-Up-Untersuchungen?

„Um eine wohnortnahe Versorgung inklusive aller erforderlichen Untersuchungen sicherzustellen, wurden bereits Konzepte erarbeitet“, sagt Wolfgang Miesbach. Nach Erfüllung bestimmter Kriterien könnten auch Zentren oder Praxen teilnehmen, die nicht an der Verabreichung der Gen-Therapie beteiligt sind. „Hierzu gilt es, eine reibungslose Kommunikation und Kooperation zwischen den Zentren/Praxen sicherzustellen und es gibt Vorschläge – nach dem Modell von sogenannten Hub- und Spoke-Zentren (siehe Seite 12) – zur Nutzung elektronischer Datenverarbeitung, damit jeder zeitgleich über den aktuellen Stand informiert wird und auch weiß, was wann zu tun ist und mit welchen besonderen Problemen zu rechnen ist, die sofortiges Handeln erfordern.“ Im Mittelpunkt stehe immer der Patient und seine Sicherheit und in diesem Zusammenhang gehe es natürlich auch darum, den Erfolg der Therapie nicht zu gefährden, so Prof. Miesbach. Die Möglichkeit, einem Patienten, der z.B. viel unterwegs ist, zur Sicherheit ein Rezept für Kortison-tabletten mitzugeben – für den Fall, dass die Einnahme erforderlich wird und wie von Brian O’Mahoney im Interview (siehe Seite 17) beschrieben –, wäre auch in Deutschland kein Problem.

Wie lange dauert es, bis der Faktor sich aufbaut

Etwa drei bis vier Wochen würde es in der Regel dauern, bis die ersten Erfolge sichtbar würden und sich eine Expression des Transgens zeige, weiß Prof. Miesbach. Nach dieser Zeit könne man schon relativ zuverlässig planen. „Das ist ja auch deshalb wichtig, um zu wissen, wie lange man die zuvor erfolgte prophylaktische Faktorsubstitution durchführen sollte und wann sie beendet werden kann“, sagt der Experte.

Und die Nebenwirkungen?

Wie jedes Medikament kann auch die neue Gentherapie Nebenwirkungen mit sich bringen, die Miesbach zufolge sehr vielfältig sein können. Hier sind zunächst infusionsbedingte Reaktionen zu nennen – also Nebenwirkungen, die unmittelbar während und nach der Infusion auftreten und sich in allergischen Reaktionen zeigen. Darüber hinaus gibt es solche, die eher unspezifisch und subjektiv sind, und die Wolfgang Miesbach zufolge in aller Regel sehr gut handelbar sind.

GLOSSAR*

CAT: Committee for Advanced Therapies – der für die Bewertung von Gen- und Zelltherapien zuständige Ausschuss für neuartige Therapien.

CHMP: Committee for Medicinal Products for Human Use

EMA: European Medicine Agency – Europäische Arzneimittel Agentur

Transaminasen sind verschiedene Proteine, die in Lebewesen bestimmte biochemische Vorgänge auslösen. Erhöhungen dieser deuten i.d.R. auf Veränderungen bzw. Krankheiten im Bereich der Leber hin.

Genexpression: kurz Expression oder Exprimierung (von lateinisch exprimere „ausdrücken“), bezeichnet im weiten Sinn, wie ein Gen (eine bestimmte genetische Information) zum Ausdruck kommt und in Erscheinung tritt.

Kapsid: Als Kapsid bezeichnet man bei Viren eine komplexe, regelmäßige Struktur aus Proteinen, die der Verpackung des Virusgenoms dient.

Pathogenität: Pathogenität ist die Fähigkeit von Krankheitserregern und bestimmten chemischen Substanzen, krankhafte Veränderungen im Organismus hervorzurufen.

Episome (Plasmide): Episome (Plasmide) sind kleine, in der Regel ringförmige, autonom replizierende, doppelsträngige DNA-Moleküle, die außerhalb des Chromosoms (extrachromosomal) vorliegen.

Promotor: Der Promotor ist ein essenzieller Bestandteil eines Gens. Damit wird eine Nukleotid-Sequenz auf der DNA bezeichnet, die die regulierte Expression eines Gens ermöglicht.

Rekombinant: Rekombinante Proteine sind biotechnologisch hergestellte Proteine, die mit Hilfe von gentechnisch veränderten Organismen oder mit transgenetisch transfizierten Zellkulturen erzeugt wurden.

Schließlich wären jene Nebenwirkungen zu nennen, die nach einigen Wochen auftreten – „hierzu gehören die beschriebenen Leberwerterhöhungen, die überwiegend asymptomatisch verlaufen und vorübergehend sind. Weil sie aber mit einem Abfall der Faktoraktivität assoziiert sind, können sie den gesamten Erfolg der Therapie gefährden.“ Zuallerletzt, so der Facharzt für Hämostaseologie, der an mehreren Studien beteiligt war, gebe es immer noch Unsicherheiten in Bezug auf Langzeitfolgen. „Auch wenn es momentan keine Anhaltspunkte gibt – weder aufgrund

GENTHERAPIE

der präklinischen noch der klinischen Studien – muss man sagen, dass uns schlicht die Daten fehlen, um dies zuverlässig ausschließen zu können.“ Die heute zum Einsatz kommenden modifizierten Vektoren würden bislang keinen Anlass zur Sorge geben und bisher konnte kein Zusammenhang zwischen malignen Erkrankungen und der Gentherapie nachgewiesen werden. Aber es handle sich nur über eine vergleichsweise geringe Anzahl von Patienten und einen beschränkten Zeitraum, über den berichtet werden könne. Umso wichtiger seien die Follow-Up-Untersuchungen und das globale Gen-Therapie-Register der WFH, in dem alle Daten weltweit dokumentiert würden.

Was bringt die Zukunft?

Die Gentherapie wird derzeit als „einmalige Chance“ für die Behandlung betrachtet. Wer einmal eine Dosis einer AAV-basierten Gentherapie erhalten hat, kann dies kein zweites Mal wiederholen, da der Körper durch die erste Gabe viele Antikörper gegen den Vektor bildet. „Selbst wenn die Gentherapie 10 Jahre und mehr für eine stabile Genexpression sorgt, stellt sich irgendwann natürlich die Frage, ob sich das wiederholen lässt“, sagt Prof. Miesbach und erläutert auch, wie das funktionieren könnte: „Zum einen wird an Verfahren gearbeitet, um die neutralisierenden Antikörper zu eliminieren. Ob das wirklich erfolgreich ist, steht jedoch noch in den Sternen. Zum anderen gibt es Forschung zu weniger immunogenen Kapsiden, die einerseits eine Immunreaktion nicht in dem Maße, wie wir sie jetzt sehen, provozieren und die andererseits evtl. auch bei Patienten zum Einsatz kommen könnten, die bereits eine Gentherapie erhalten haben. „Die Hoffnung, dass dies mit neueren, weniger immunogenen Kapsiden möglich wird, ist jedenfalls

berechtigt“, so Miesbach. Vielleicht auch mit ganz anderen Prinzipien, in denen ganz andere Kapside verwendet werden, erläutert der Wissenschaftler und nennt die Lentiviren als Beispiel, deren Entwicklung rasant fortgeschritten sei: „Das ist ja nochmal ein ganz anderer Ansatz, der nicht durch präexistierende Antikörper limitiert ist. Es gibt also durchaus mehrere Möglichkeiten, die man sich in Zukunft vorstellen kann.“

Auch mit Hemmkörper-Patienten, für die eine Gentherapie bislang nicht in Frage kommt, sind Wolfgang Miesbach zufolge Studien in Planung.

Wäre die Gentherapie in Zukunft auch für Kinder eine Option?

„Der Wegfall der Notwendigkeit, sich regelmäßig zu substituieren, der Schutz vor Blutungen bei allen körperlichen Aktivitäten – das wäre gerade für Kinder sehr wertvoll. Aber wir sind noch am Anfang der Entwicklung. Bislang wurden ausschließlich Studien mit erwachsenen Patienten durchgeführt, tatsächlich sind auch erste Studien mit Jugendlichen in Planung. Hier müssen wir jetzt abwarten, auch dahingehend, wie sich die Rekrutierung von Studienteilnehmern gestaltet.“ Es sei am Ende auch eine ethische Frage, so Miesbach, denn für die Eltern, die am Ende mitentscheiden und ihr Einverständnis geben müssen, sei das nicht leicht. Schließlich befänden sich die Jugendlichen in aller Regel noch in der Entwicklung. „Grundsätzlich bietet Hämophilie gute Voraussetzungen für eine erfolgreiche Gentherapie, da es sich um eine monogenetische Erkrankung handelt. Ziel ist eine dauerhafte Normalisierung der Faktoraktivität und somit ein kontinuierlicher Schutz vor Blutungen.“

Das Hub-and-Spoke-Modell zielt darauf ab, eine abgestufte Versorgung im Rahmen von Netzwerken, die sich teilweise überlappen können, zu fördern. Während in großen Zentren oder Kliniken, den „Hubs“, medizinisch komplexe und infrastrukturintensive Behandlungen angeboten werden, stellen die verschiedenen „Spokes“ die Grundversorgung sicher. Gelingt die Transformation der Strukturen, entsteht eine patientenzentrierte Versorgung, die dank guter Koordination auch in herausfordernden Zeiten die nötigen Ressourcen sicherstellt und gleichzeitig wirtschaftlich ist. Für die Umsetzung in der Praxis schlägt eine von der European Association for Hemophilia and Allied Disorders (EAHAD) und dem European Haemophilia Consortium (EHC) eingesetzte, internationale Expertengruppe vor, die bestehenden Hämophiliezentren in sogenannte Hub- und Spoke-Zentren zu unterteilen, die sich die Verantwortlichkeiten bei der Auswahl und Aufklärung der Patienten, der Durchführung der Gentherapie und den nachfolgenden Kontrolluntersuchungen aufteilen. Anhand eines Vorschlags der Arbeitsgruppe Gentherapie der Gesellschaft für Thrombose- und Hämostaseforschung (GTH) soll eine deutschlandweite, gemeinsame elektronische Dokumentation für behandelnde Ärzte, Patienten und Apotheken geschaffen werden. Zudem befindet sich ein globales Register für alle gentherapeutisch behandelten PWH im Aufbau.

(Quelle: Thieme – Praxis-Report „Gentherapie in der Hämophilie: Daten, Chancen, Herausforderungen“)

WE SEE AN ACTIVE LIFE IN EVERY LIFE

Unsere Medikamente
aus Plasma ermöglichen
Patienten, ihr Leben
zu leben.

INTERVIEW



mit Brian O'Mahony

»Es ist eine sehr **persönliche Entscheidung**, die jeder für sich selbst treffen muss.«



Brian O'Mahony ist Vorstandsvorsitzender der Irish Haemophilia Society und ehemaliger Präsident der World Federation of Hemophilia sowie des European Haemophilia Consortium, Vorstandsmitglied des Irish Blood Transfusion Service, Mitglied des Institute of Biomedical Sciences (UK) und nicht zuletzt außerordentlicher Assistenzprofessor für Gesundheitsmanagement am Trinity College in Dublin.

Er war der erste Studienteilnehmer der HOPE-B-Studie in Irland, der den Wirkstoff des Gentherapie-Arzneimittels Hemgenix verabreicht bekam.

Im Dezember 2022 erteilte der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Gentherapie HEMGENEX eine positive Zulassungsempfehlung (siehe auch Seite 9 ff./Artikel Prof. Miesbach). Wenige Tage später hatte die Hämovision die Gelegenheit, mit Brian O'Mahoney zu sprechen. Das nachfolgende Interview haben wir gemeinsam mit Tobias Becker von der IGH geführt, der auch den Kontakt zu Brian O'Mahony hergestellt hat.

Was hat Sie dazu bewogen, an der Studie teilzunehmen?

Da gab es eine Reihe von Dingen. Ich folge seit vielen Jahren der Wissenschaft und habe mich mit verschiedenen Studien zu Gentherapien und den Ergebnissen dieser beschäftigt. In den letzten acht Jahren habe ich mich aktiv dafür eingesetzt, dass Gentherapie-Studien auch in Irland durchgeführt werden. Es war zunächst nicht einfach, die Unternehmen nach Irland zu holen, aber nachdem sie einmal hier waren, stellten sie fest, dass wir über ein sehr gutes nationales Regis-

ter verfügen, sehr gut organisiert sind und in der Lage sein würden, ausreichend große Gruppen von Menschen ziemlich schnell zusammenzubringen. In den Gesprächen mit Unternehmen über klinische Studien haben wir stets folgenden Ansatz verfolgt: Statt die Unternehmen nur mit den potenziellen Forschern in Kliniken zusammenzubringen, luden wir auch Gruppen von interessierten Patienten zu den Treffen ein. Dadurch ist nicht nur eine gute Gesprächsatmosphäre entstanden, es ist vor allem eine runde und umfassende Diskussion in Gang gekommen.

Aber zurück zur Frage: Nach vielen Jahren der Auseinandersetzung mit dem Thema habe ich mich schließlich selbst davon überzeugt, dass es sich für mich lohnen würde, mich für die Gentherapie zu entscheiden. Ich war von der Wissenschaft überzeugt und hielt das Nutzen-Risiko-Verhältnis für akzeptabel. Obgleich ich eine relativ niedrige jährliche Blutungsrate hatte, dachte ich: Wenn ich auf einen Faktorspiegel zwischen 20 und 60 Prozent käme, dann wäre das doch ein sehr gutes Ergebnis.

GENTHERAPIE

Ich hoffte auf eine Verringerung der chronischen Schmerzen in meinen geschädigten Gelenken und ich wollte gerne eine Dauer von mehr als 10 Jahren sehen, in denen ich möglicherweise auch mein Aktivitätslevel steigern könnte. Und ja, ich wollte auch eine Führungsrolle übernehmen – wissen Sie, wir hatten viele Jahre über die Gentherapie gesprochen und niemand hatte tatsächlich einen Sprung gewagt, also tat ich es und war der Erste im Land, der an einem Gentherapieversuch teilnahm.

Einen Sprung ins Ungewisse, da Sie ja nicht wirklich wissen konnten, ob und wie lange die Wirkung anhalten würde....

Ja, wobei man ja auch sehen muss, dass die Gentherapie die vorherigen Behandlungsoptionen nicht eliminiert. Wenn es also vom ersten Tag an nicht funktionieren sollte, dann kehrt man zu seiner zuvor erfolgten Behandlung zurück. Was die Wirkdauer betrifft, so ist das, denke ich, ein Schlüsselement bei der Gentherapie. Natürlich hat man seine eigenen Erwartungen und Wünsche, bezogen auf das Ergebnis. Aber man muss auch realistisch sein. Vor allem muss man mit seinen Erwartungen umzugehen wissen und sie ggf. anpassen. Ich ging mit der Hoffnung auf mindestens 10 Jahre Wirkdauer in die Studie hinein, besser noch ein Leben lang. Gleichzeitig akzeptierte ich voll und ganz, dass es unter Umständen auch nur ein Jahr sein würde. Diese Option muss man klar vor Augen haben. Bei mir war es zudem so, dass ich Teil einer klinischen Studie war: Als ich meine Infusion erhielt, gab es Hinweise auf Daten von gerade mal drei Probanden aus den früheren Phase-1 und 2-Studien! Wenn heute eine zugelassene Gentherapie verabreicht wird, so stützt sich diese immerhin auf Daten von 54 Personen.

Und wie ist es gelaufen? Wie war das Ergebnis bisher?

Aus meiner persönlichen Sicht hat es sehr gut funktioniert. Mein Faktorlevel

war schon sehr früh bei um die 50 Prozent und dabei ziemlich stabil. Ich habe definitiv einen Rückgang der chronischen Schmerzen in meinem Knie bemerkt – was teilweise auf die Gentherapie, teilweise aber auch auf meine Knie-OP im Jahr 2018 zurückzuführen sein könnte (in der ich ein künstliches Kniegelenk erhielt). Auch zeigt sich bei mir eine offensichtlich gute Wirksamkeit – was die Blutungen betrifft, kann ich wirklich zufrieden sein, denn seit der Infusion hatte ich nur eine Blutung und das war in einem bereits beschädigten Gelenk. Tatsächlich hatte ich im ersten Jahr einige Traumata, aber ich habe nicht geblutet. Es war alles in Ordnung.

Wie haben Ihre Familie und Freunde reagiert, haben sie sich Sorgen gemacht?

Nein. Ich habe diese Entscheidung nicht überstürzt getroffen. Ich habe im Vorfeld mit meiner Familie gesprochen, aber auch mit wichtigen Klinikern aus anderen Ländern diskutiert, die im Laufe der Jahre zu Freunden geworden sind. Ich habe mit allen möglichen Leuten das Für und Wider abgewogen. Mit Menschen, die das Ganze für eine gute Idee hielten, aber auch mit solchen, die sehr skeptisch

waren. Man kann sagen, ich hatte einen ausgewogenen Überblick über ganz unterschiedliche Meinungen und Ansichten.

Viele meiner Freunde haben Hämophilie, sie waren alle sehr interessiert und einige Eltern verrietten mir, dass sie sehr froh darüber waren, dass ich den Sprung wagte, denn so würden sie beobachten können, wie es mir ergeht, bevor sie möglicherweise eine Entscheidung für ihr Kind treffen würden.

Wie ist der Ablauf? Wie war der Tag, an dem Sie die Gen-Therapie erhalten haben?

Der Vorgang selbst ist nicht weiter kompliziert. Man kommt an, erhält eine intravenöse Infusion über etwa eine bis anderthalb Stunden und bleibt anschließend noch zwei bis drei Stunden zur Beobachtung im Zentrum. In einer klinischen Studie gibt es natürlich alle möglichen Sicherheitsvorkehrungen und Abfragen. So muss man etwa erneut zustimmen, dass man sich wirklich zu 100 Prozent sicher ist, die Gentherapie erhalten zu wollen. Ich war an besagtem Tag relativ entspannt, als ich mich aber umsah, stellte ich fest, dass eine ganze Reihe von Leuten anwesend waren.

»Natürlich hat man seine eigenen Erwartungen und Wünsche, bezogen auf das Ergebnis. Aber man muss auch **realistisch** sein.«

GENTHERAPIE

Der Krankenhausdirektor war vor Ort und der Direktor des Forschungszentrums, es waren PR-Leute da usw. Es war eben die erste Genterapie, die jemals in diesem Zentrum durchgeführt worden war. Da war schon etwas Aufregung angesagt.

Im Vergleich zum Erhalt der Therapie selbst ist dafür die Nachsorge umso aufwändiger...

Ja, das ist richtig, das erste Jahr nach Erhalt der Therapie ist geprägt von engmaschigem Monitoring und zahlreichen Screenings. Ehrlich gesagt wird man im ersten Jahr nach der Infusion das Zentrum wahrscheinlich so oft besuchen wie nie zuvor. In klinischen Studien erfolgen diese Besuche sogar noch regelmäßiger als bei einer zugelassenen Genterapie. In den ersten 3 Monaten muss man mindestens einmal pro Woche und in den nächsten 3 Monaten mindestens einmal im Monat zur Kontrolle.

Was wird alles kontrolliert?

Am wichtigsten ist die Überwachung des Faktorspiegels und die Kontrolle der Leberwerte. Das ist immens wichtig, denn es ist nicht ungewöhnlich, dass die Leber reagieren könnte und sich entzündet, wenn ein Virus in sie eindringt. Das ist nicht weiter schlimm, schlimm ist aber, wenn der leichte Anstieg entzündlicher Leberwerte übersehen und nicht sofort mit Kortison behandelt wird. Der Erfolg der Genterapie könnte verloren gehen, der ganze Prozess wäre umsonst gewesen.

Deshalb ist es wirklich wichtig, dass die Leberwerte im ersten Jahr sehr sorgfältig überwacht werden. Im Zusammenhang damit ist es auch von Bedeutung, dass in dieser Zeit kein Alkohol konsumiert wird.

Im ersten Jahr nach der Genterapie muss man sich auf zahlreiche Kontrolluntersuchungen, Blutabnahmen, Verpflichtungen und Verzicht einstellen. Wenn jemand eine zugelassene Genterapie durchführt, muss

er sich dessen bewusst sein. Man wird jede Woche zur Kontrolle kommen müssen – ob in ein weit entferntes Zentrum oder beim Hausarzt um die Ecke –, man wird bestimmte Dinge tun müssen und anderes nicht tun dürfen – wie etwa Kortison einnehmen, wenn die Leberwerte steigen oder auf Alkohol verzichten. All diese Dinge sollte jeder im Voraus wissen, niemand sollte später überrascht sein und sagen können: Wenn ich das gewusst hätte! Die engmaschige Kontrolle ist aber nicht nur gut für den Einzelnen, sie ist auch hilfreich für andere Menschen mit Hämophilie. Es werden wichtige Daten zusammengetragen, die den Prozess und die Ergebnisse dokumentieren und dazu beitragen, in den nächsten 5 Jahren bessere Entscheidungen für die Menschen treffen zu können.

Das stellt sich in Deutschland auch deshalb manchmal schwierig dar, weil die Leute zwei, drei oder mehr Stunden vom Zentrum entfernt leben.

Entfernungen spielen eine nicht zu unterschätzende Rolle. In Irland werden einige spezialisierte Kontrollen in sogenannten Hub-Zentren durchgeführt, weitere Kontrolluntersuchungen, wie z.B. die Blutabnahme können im lokalen Spoke-Zentrum erfolgen. Die Hub- und Spoke-Zentren kooperieren miteinander. Ich könnte mir vorstellen, dass es so oder ähnlich auch in Deutschland laufen könnte. Der Patient muss ein paar Mal zum Hämophilie-Zentrum oder in die Klinik, könnte die wöchentlichen Blutabnahmen aber auch in einer lokalen Einrichtung, einer Praxis vor Ort machen lassen.

Je nach Einrichtung müssen dafür Vorkehrungen getroffen werden, damit die Kontrolle von Faktorspiegeln oder bestimmte Tests durchgeführt werden können. Alternativ wäre es auch vorstellbar, dass eine Krankenschwester den Patienten zu Hause besucht, um Blut abzunehmen...

...was in Deutschland aufgrund der gesetzlichen Regelungen und der strikten

Trennung von ambulanter und stationärer Versorgung vorerst wohl nicht möglich sein wird...

Wichtig ist es, Menschen, die sich für eine Genterapie entscheiden, dabei zu unterstützen, die Therapie in ihr Leben zu integrieren. Das bedeutet, dass es dem Patienten ermöglicht werden sollte, die engmaschigen Kontrollen wahrnehmen zu können. Wer jobbedingt von morgens bis abends unterwegs ist, wird eine Blutabnahme in der Regel eher morgens vor der Arbeit durchführen und den Termin dafür nicht vormittags um 11 Uhr haben wollen.

Wer auf dem Land lebt und drei bis vier Stunden von seinem Hämophiliezentrum entfernt, würde es vermutlich vorziehen, den Leberfunktionstest bei seinem Hausarzt vor Ort durchführen zu lassen. In diesem Fall muss er sicher sein können, dass die Praxis vor Ort in der Lage ist, das Laborergebnis schnell zu generieren und im Falle eines Anstiegs der Leberwerte auch schnell handeln kann. Dafür müssen im Vorfeld klare Wege für Folgemaßnahmen geregelt sein. Die lokale Praxis muss mit dem Hämophilie-Zentrum kooperieren. Es nützt nichts, wenn ich Montag zur Blutabnahme gehe, Mittwochnachmittag die Info über erhöhte Leberwerte erhalte und erst am Donnerstag mit der Kortison-Einnahme beginne. Das ist unter Umständen zu spät. Es handelt sich um eine teure Therapie und es ist wenig sinnvoll, sie anzuwenden, um dann festzustellen, dass die Nachsorge nicht durchführbar ist. Die gesamte Anschluss-Überwachung muss im Voraus sichergestellt sein.

Wie passte das alles in Ihr Leben?

Normalerweise bin ich viel unterwegs und auf Reisen. Kurz nachdem ich mich zur Teilnahme an der klinischen Studie entschied, traten jedoch diverse Corona-Schutzmaßnahmen in Kraft. Ich habe viele meiner Reisepläne nicht umsetzen können und das hat mir im ersten Jahr nach Erhalt der

GENTHERAPIE

Wer beruflich viel unterwegs ist, so wie Brian O'Mahony, wünscht sich eine Nachsorge, die sich in den Alltag integrieren lässt.



Gentherapie den Nachsorge-Prozess auf jeden Fall erleichtert. Als dann meine erste Reise bevorstand, erhielt ich ein Rezept für Kortison-Tabletten, die ich mir für alle Fälle in der Apotheke besorgte. Hätte man mich also kurz nach einer Blutabnahme davon in Kenntnis gesetzt, dass meine Leberwerte kritisch sind, hätte ich umgehend mit der Einnahme beginnen können. Ohne im Ausland eine Apotheke aufsuchen zu müssen. Solche logistischen Details müssen geklärt werden. Wer 15 Minuten vom Hämo-philiezentrum entfernt lebt, benötigt vielleicht keine prophylaktischen Kortison-Tabletten, aber wenn der Wohnort drei Stunden entfernt liegt oder man viel reisen muss, dann ist es nicht nur gut, sondern ein Muss. Und Kortison ist nicht teuer.

Sind nach der Gen-Therapie Nebenwirkungen aufgetreten?

Im Rahmen einer klinischen Studie wird viel zusätzliches Blut abgenommen. Bei mir waren es jede Woche etwa 130 ml, und infolgedessen sanken meine Eisenwerte ab, sodass ich Eisentabletten einnehmen musste. Das war aber schon so ziemlich die einzige Nebenwirkung.

Und haben Sie nach der Faktorthherapie noch Faktorpräparate benötigt?

Ich habe einmal ein Faktorpräparat für eine Blutung injiziert. Und ich habe meinen Faktorspiegel im Rahmen einiger kleinerer medizinischer Eingriffe auf 100 Prozent gebracht.

Wie lange hat es gedauert, bis Sie sicher sein konnten, dass die Gentherapie anschluss? Man fühlt sich ja nicht anders danach, oder?

Nun, ich fühlte mich nicht anders ... und es kann ein paar Wochen dauern, bis sich der Faktor aufbaut. Das erste Mal, dass mich die Erkenntnis aber wirklich traf, war ein Jahr danach. Ich war mit meiner Frau und meinen Kindern in die Dubliner Berge gefahren, wo wir einen längeren Spaziergang unternahmen, rutschte auf einer niedrigen Steinmauer ab und fiel auf die Felsen. Es war nicht wirklich hoch, aber ich bin hingefallen. Und: Nichts ist passiert, keine Blutung.

Hatten Sie ein Faktorpräparat dabei?

Nein. Und ohne Gen-Therapie wäre diese Situation zu 100 Prozent folgendermaßen weitergegangen: Wir wären

so schnell wie möglich zum Auto zurück gehastet, schnell nach Hause gefahren und ich hätte umgehend einen Notfall-Faktor injiziert. Aber ich brauchte nichts dergleichen zu tun.

Also würden Sie sich wieder für die Gentherapie entscheiden?

Ich denke, ich habe damals die richtige Entscheidung für mich getroffen und bereue sie nicht. Aber es ist eine sehr persönliche Entscheidung. Wenn wir z.B. mit unseren Mitgliedern über Gentherapie sprechen, würden wir niemals Vorschläge oder Empfehlungen aussprechen. Wir werden aber immer sicherstellen, dass jeder vollständig informiert ist, um eine individuelle Entscheidung für eine Behandlung treffen zu können. Die Aufklärung im Vorfeld ist essentiell. Sie sollte so erfolgen, dass jeder versteht, was es mit der Gen-Therapie auf sich hat. Auch dass es sich dabei um eine irreversible, einmalige Therapie handelt. Dass man sie nur ein einziges Mal durchführen kann und dass die Ergebnisse nicht unbedingt mit den Erwartungen übereinstimmen. Man sollte sich unbedingt über die Bandbreite der möglichen Ergebnisse bewusst sein. Wenn man ein Faktor-Regime anwendet und

GENTHERAPIE

nicht die gewünschten Ergebnisse erzielt, kann man Häufigkeit und Dosis verändern. Mit der Gentherapie ist das nicht möglich. Es ist eine Chance, aber niemand weiß vorher, wie das Ergebnis aussieht. Man erhält eine ungefähre Vorstellung von der Notwendigkeit, Kortison erhalten zu müssen – bei einer Faktor-VIII-Gentherapie liegt die Wahrscheinlichkeit dafür bei 80 Prozent, bei Faktor IX sind es etwa 20 Prozent. All diese Faktoren muss man kennen, abwägen und sich schließlich damit wohlfühlen – oder eben nicht. Ich selbst hatte auf einen Faktorlevel zwischen 20 und 60 gehofft. Ich war mir aber bewusst, dass das Ergebnis ebenso gut bei 2, 5 oder 80 oder sogar 150 liegen könnte. Mit dieser Unbekannten muss man umgehen können!

Wie kann man Menschen dabei unterstützen, für sich eine gute Therapie-Entscheidung zu treffen?

Es geht nicht nur um die Therapie, es geht um die persönlichen Lebensziele, um Aktivitätsziele und darum, was sie in naher Zukunft gerne tun möchten. Dann schaut man sich die dafür besten Behandlungsoptionen zu diesem Zeitpunkt an. Geht es um die Behand-

lung der Hämophilie, dann ist eine gemeinsame Entscheidungsfindung unerlässlich. Wenn jemand sagt: „Ich vertraue der Wissenschaft, ich mache einfach mit, der Arzt wird schon wissen, was er tut, ich selbst muss nichts darüber wissen, dann würde ich ganz klar widersprechen und sagen: Nein, das ist keine akzeptable Antwort! Man muss vielleicht nicht en detail wissen, wie Gentherapie funktioniert, aber man muss alle Dos and Dont's kennen und akzeptieren, die Nachsorge ernst nehmen und vor allem mit der Ungewissheit des Ergebnisses leben können.

Es gibt verschiedene Behandlungsoptionen. Wir werden in internationaler Zusammenarbeit mit den Zentren ein mehrstufiges Aufklärungs- bzw. Schulungsprogramm für Menschen mit Hämophilie etablieren. Hierbei muss bedacht werden, dass es in jedem Land Menschen mit unterschiedlichem Bildungshintergrund und unterschiedlichen medizinischen Vorkenntnissen gibt. Das erfordert unterschiedlich aufbereitete Informationen. Es ist wichtig, dass jeder die Info erhält, die er versteht. Auch die sogenannte Teach-Back-Methode sollte zum Einsatz kommen, in der der Patient die

»Das erste Mal, dass mich die Erkenntnis aber wirklich traf, war in den Dubliner Bergen, wo ich mit meiner Frau und meinen Kindern einen längeren Spaziergang unternahm. Ich rutschte auf einer niedrigen Steinmauer ab und fiel auf die Felsen. Und: Nichts ist passiert, keine Blutung.«



INFO

Irish Haemophilia Society

„In einem kleinen Land wie Irland sind viele dieser Prozesse wahrscheinlich einfacher, grundsätzlich aber ist die Hämophilie-Community weltweit gut vernetzt, es findet reger Austausch statt und es gibt kein Konkurrenzdenken. Wir teilen unsere Erfahrungen und Erkenntnisse untereinander.“



Rund 900 Menschen mit Hämophilie leben in Irland. Die Irish Haemophilia Society wurde 1968 von Angehörigen der Ärzteschaft, Menschen mit Hämophilie und ihren Familien gegründet.

<https://haemophilia.ie>

erhaltenen Informationen genau wiedergeben muss, um sicherzustellen, dass jeder alles genau verstanden hat. Von Bedeutung ist aus meiner Sicht aber auch, ob und inwieweit ein Hämophilie-Patient an einer bestimmten Therapieform interessiert ist. Besteht grundsätzlich Interesse an einer Gentherapie, sollte zunächst einmal geprüft werden, ob der Patient hierfür überhaupt in Frage kommt. Bei der Gentherapie für Menschen mit Hämophilie A fallen schon einmal gut 30 Prozent durch den Antikörper-Bluttest aus dem Raster. Eine weitere Gruppe ist aufgrund von bereits bestehenden Leberschäden nicht geeignet. Diese Menschen müssen sich vorab nicht mit Details beschäftigen, um dann festzustellen, dass sie ohnehin nicht in Frage kommen. Dies lässt sich relativ früh im Prozess feststellen.

Haben Sie vielen Dank für das Gespräch.

ALLES RUND UM DEINE HÄMOPHILIE

Individuelle Informationen für jeden Lebensabschnitt
zum Umgang mit der Erkrankung im Alltag



Werde Teil einer großen Community und lass dich
von anderen Hämophilie-Patient*innen inspirieren
www.myhaemophilie.org



AUS DEN VERBÄNDEN

VORGESTELLT

Die Interessengemeinschaft Hämophiler – IGH

Die Interessengemeinschaft Hämophiler e.V. ist ein bundesweit agierender, unabhängiger Verband mit kurzen Wegen, flacher Hierarchie und stets aktuellen News. Seit 30 Jahren setzt sich die IGH für die Interessen und Bedürfnisse von Menschen mit Hämophilie, „von-Willebrand-Syndrom“ und anderen angeborenen Gerinnungsstörungen aktiv ein. Modern und digital agierend, bietet der gemeinnützige Verein ein breit aufgestelltes Online-Angebot und freut sich über eine zunehmend wachsende Mitgliederzahl. Engagierte Menschen, die etwas bewegen wollen. Mit dem Ziel, die Lebenssituation Hämophiler zu erhalten und zu verbessern und auch von HIV/AIDS betroffene Familien und Hinterbliebene des „Bluterskandals“ der 80er Jahre zu betreuen und zu beraten.

Gesichter der IGH

Seit Mai 2022 hat die IGH einen neuen und deutlich verjüngten Vorstand und Verwaltungsrat (Aufsichtsrat). Einige davon möchten wir Ihnen hier vorstellen:

»Wir gehen mit der Zeit und sind unseren Mitgliedern nicht nur eine Stütze im Gerinnungsalltag, sondern greifen auch digitale Ideen & Projekte auf.«

Hier finden Sie uns: www.igh.info/inhalte/ueber-uns/ansprechpartner/

Die IGH – „Interessengemeinschaft Hämophiler e.V.“

- 1992 gegründet
- Vertretung der Interessen von Betroffenen & Angehörigen
- Bundesweit tätig
- Wir möchten Patienten zum Mitwirken aktivieren
- Mitgliedschaft und Mitarbeit in wichtigen Entscheidungsgremien (DHR, Stiftungsrat HIV, AK-Blut, Patientenvertreter im G-BA)
- Ehrenamtlich tätige Fachkräfte & hauptamtliche Mitarbeiter
- Unsere aktuellen Projekte und Verlinkungen: <https://linktr.ee/IGH.info>

Kontakt:

Remmingsheimer Str. 3
72108 Rottenburg/Neckar
www.igh.info | mail@igh.info
[www.linktr.ee/IGH.info](https://linktr.ee/IGH.info)



Tobias Becker

Vorsitzender der IGH, *Digitales, Hämophilie & Sport, Internationale Beziehungen*

Lukas Leihberg

stellv. IGH-Vorsitzender, *Hämophilie & Sport, Innovationen, junge Erwachsene & Jugendliche, Internationales*

Christian Schepperle

Geschäftsführer / Schriftführer im Vorstand, *Bundesgeschäftsstelle, Seniors*

Benjamin Seliger

Arzt, Beisitzer im Vorstand, *medizinische Fragen, Mid-Ager*

Stephanie Brandt

Beisitzerin im Vorstand, *Fußball-Schiedsrichtergruppe Berlin, Konduktorinnen*

Lisa Maurer

Beisitzerin im Vorstand, *Konduktorinnen, vWS, medizinische Fragen*

Sylvia Pfensig

Verwaltungsrat, *wissenschaftliche Unterstützung, Kleinkinder & Hämophilie*

Dr. med. Thomas Becker

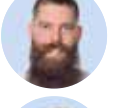
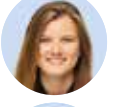
Arzt, Beisitzer im Verwaltungsrat, *medizinische Fragen, Arbeitsmedizin*

Benjamin Wolf

Verwaltungsrat, *Austausch und Infos, Mid-Ager*

Tanja Zaiser

Verwaltungsrat, *Selbsthilfegruppe „Hämophilie Südwest/Baden-Württemberg“, Tipps & Tricks bei Gerinnungsstörungen*



Engagement & Termine der IGH

Von und für Menschen mit Hämophilie

Um Menschen mit Hämophilie und deren Familien zusammenzubringen, organisiert die IGH regelmäßig **Veranstaltungen, Treffen und Ferienerlebnisse**. So z.B. die 2-wöchige **Erlebnisfreizeit am Werbellinsee** für Kinder und Jugendliche, das **Familien-Begegnungswochenende** auf dem Jugendhof Finkenbergl in **Blankenheim**, das **Treffen der älteren/erwachsenen Hämophilen (50+)**, **Spritzkurse** oder die **Selbsthilfe-Begegnungen für Familien** 2x jährlich in **Sachsen-Anhalt** und die **Berliner Schiedsrichtergruppe**. Im Vordergrund stehen Erfahrungsaustausch und Vernetzung untereinander.

Veranstaltungen 2023

11.03.2023: IGH Mitgliederversammlung

22.07.2023 - 05.08.2023: Werbellinsee 2023 Kinder- und Jugenderlebnis als Integrationsfreizeit – diesmal von Samstag bis Samstag, zwei volle Wochen!

Achtung: Anmeldeschluss ist der 20.5.23!

15.09.2023 - 17.09.2023: Familienwochenende in Blankenheim/Eifel

<https://kurzelinks.de/IGH-Termine>

Bundesweite flächendeckende Bewegungs- und Therapiemöglichkeit für Hämophilie- und vWS/vWD-Betroffene & Co.

Die IGH bietet ihren Mitgliedern die Möglichkeit, an den Bewegungs- und Therapiestunden der Deutschen Rheuma-Liga teilzunehmen. Die Kosten der Mitgliedschaft für das Jahr 2023 übernimmt die IGH. Das Angebot und weitere Rheumaliga-Infos dazu können auf der IGH-Seite abgerufen werden: www.igh.info/aktiv



Neuaufgabe des HAEM-O-MAT – Finde deine Sportart

In Zusammenarbeit mit IBS-Med. Wuppertal ist nun auch die erweiterte Neuaufgabe des Onlinetools abrufbar. Diese internetbasierte Entscheidungshilfe, mit der man in jedem Alter innerhalb von 5 Minuten zur geeigneten Sportart findet, wurde mit dem Team um Prof. Hilberg neu aufgestellt und erweitert. Einfach mal reinschauen: www.haem-o-mat.de

Ampel für Medikamente

Welche Medikamente darf ich oder mein Kind mit Hämophilie/vWS einnehmen? Welche beeinflussen die Blutgerinnung und können Nebenwirkungen verursachen? Für einen raschen Überblick haben wir eine einfach zu lesende Liste im Verkehrs-Ampelsystem erstellt. Im Zweifel: Immer die Ärzte im Hämophiliezentrum fragen. www.igh.info/medikamentenliste

Außerdem auf der Website der IGH:

Videos zu Neuentwicklungen und alle Web-Seminare mit der IGH sind auf unserem YouTube-Kanal verfügbar und informieren umfassend über die bestehenden und zu erwartenden Therapien: www.youtube.com/user/ighev

Datenbank zu Hämophilie-Zentren

Hier werden neben den unter der GTH zertifizierten Gerinnungszentren auch weitere Behandlungsmöglichkeiten und Praxen aufgeführt, um im Notfall Anlaufstellen finden zu können: www.ogy.de/zentrum

Praktisch und hilfreich:

Rettings- / Notfalldose | www.igh.info/notfall

Diese SOS Patientendose* kann im Notfall Leben retten. Sie sollte sichtbar an einer ausreichend gekennzeichneten Stelle platziert werden, damit sie schnell von Ersthelfern, Rettungskräften, Lehrern und Angehörigen gefunden wird. Hilfreich sind zusätzliche Aufkleber, z.B. am Kühlschrank, auf Türen, Tischen. In die Dose gehört auch eine Kopie des



Notfallausweises und des aktuellen Medikamentenplanes. Wir empfehlen einen Ausdruck mit unserem **Notfall-Ausweis-Generator**, den alle Menschen mit Hämophilie oder vWS, immer bei sich tragen sollten. www.igh.info/notfall

Praktische Mappe zum Sammeln von Informationen

Die Mappe enthält eine Vielzahl an Infos und wird allen neuen und bestehenden Mitgliedern zugeschickt. So sind alle wichtigen Facts immer gut gebündelt.

NEU: Kleiner Aufkleber mit großer Wirkung



JUST MOVE IT HÄMOPHILIE

Ein erfolgreiches Projekt geht in die zweite Runde

Sport ist gesund, die Message ist nicht neu und die Zeiten, in denen man Menschen mit Hämophilie von körperlicher Aktivität abriet, sind (glücklicherweise) vorbei. Neben dem positiven Einfluss auf Herz und Kreislauf, Stoffwechsel und Organe, sind insbesondere die **Effekte auf die Muskeln und Knochen** hervorzuheben. Sport wirkt dem Abbau der Muskulatur entgegen und nicht zuletzt hebt ein regelmäßiges Training die Laune – also: JUST MOVE IT!

Text von **Tanja Fuchs**

JUST MOVE IT HÄMOPHILIE lautete auch der Name des Projekts, das von Christoph Königs und Stephan Schultze-Strasser an der Klinik für Kinder- und Jugendmedizin des Universitätsklinikums Frankfurt mit Unterstützung des Joint-Health Programms von Bayer ins Leben gerufen wurde. Und zwar gemeinsam mit einem jungen Team aus angehenden Physiotherapeuten und Studierenden, die selbst von Blutgerinnungsstörungen betroffen waren – also „peer-driven“.

Gesucht wurden Teilnehmer im Alter von 16 bis 25 Jahren, die Lust hatten, an zwei Sport-Wochenenden teilzunehmen, neue Sportarten auszuprobieren und sich dabei wissenschaftlich begleiten zu lassen. Und die gab es! „Wir waren positiv überrascht über die zahlreichen Anmeldungen“, sagt Christoph Königs, „am Ende hatten wir eine bunt gemischte Gruppe, von jungen Leuten, solche, die bereits sportlich aktiv waren und solche, in deren Alltag Sport bisher keine Rolle spielte. Es gab einen Teilnehmer mit von Willebrand-Syndrom, alle anderen hatten Hämophilie und führten eine aktivitätsadaptierte Prophylaxe durch.“

Wunschsportarten der Jugendlichen

Man habe ganz bewusst nichts vorgegeben, sondern gefragt „Was wollt ihr machen, was wünscht Ihr Euch?“ Die Teilnehmer sollten bei der Anmeldung ihre Wünsche angeben und zustimmen, dass mit dem behandelnden Hämophilie-Zentrum Kontakt aufgenommen werden durfte – bei den Minderjährigen wurde natürlich die Zustimmung der Eltern benötigt. „Wir wollten vor allem sicher Sport treiben, hierzu brauchten wir Kenntnis darüber, ob und in welchen Gelenken möglicherweise Schäden vorliegen und ob aus Sicht des behandelnden Zentrums die geplanten Aktivitäten in Ordnung waren.“

Rund 28 Teilnehmer waren am ersten Wochenende am Start, das Ende Juni beim Landessportbund Hessen stattfand. Zum Kennenlernen und als Teambuilding-Maßnahmen gab es verschiedene Angebote, wie Drachenbootfahren, ein Tischtennisturnier, kontaktlose Ballspiele und eine Radtour. „Letztere kam eigentlich auf Wunsch der Teilnehmer zustande“,

JUST MOVE IT

PD Dr. Dr. Christoph Königs, Facharzt für
Kinder- und Jugendmedizin, Schwerpunkt
Onkologie, Hämatologie und Hämostaseologie,
Klinik für Kinder- und Jugendmedizin am
Universitätsklinikum Frankfurt



Dr. Stephan Schultze-Strasser, leitender
Studienkoordinator, Klinik für
Kinder- und Jugendmedizin am
Universitätsklinikum Frankfurt



erzählt Christoph Königs. „Am selben Wochenende war der Startschuss für den Frankfurter Ironman, und weil ein großes Interesse bestand, die Triathleten beim Sprung in den Langener Waldsee anzufeuern, fanden wir uns am frühen Sonntagmorgen auf dem Fahrradsattel wieder, um pünktlich um 6 Uhr am See zu sein. Das war nicht nur für viele Jugendliche, sondern auch für uns ziemlich früh“, räumen Königs und Schultze-Strasser ein, „aber zum Ausgleich gab es auch ein bisschen „Motor-Sport“ – das hatten wir einigen Jugendlichen bereits im Vorfeld versprochen: Also waren wir auch e-Kart fahren, was für alle ein Riesenspaß war.“

Auch ein bisschen Wettbewerb

Gewünscht hatten sich die Jugendlichen und jungen Erwachsenen unter anderem Stand-Up-Paddling und Badminton, Klettern, Kraftsport und Radfahren. „Die meisten Wünsche konnten wir erfüllen“, sagt Schultze-Strasser, „am Ende haben wir uns auf jene Sportarten geeinigt, die häufig gewünscht wurden und von möglichst allen ausgeübt werden konnten.“ Und dann wurden Teams gebildet. Dabei habe man darauf geachtet, dass die Gruppen möglichst gut gemischt waren, damit sportliche und weniger sportliche Teilnehmer sich in allen Teams die Waage hielten. Denn schließlich war das Ganze ja auch ein Wettbewerb: Damit die Teilnehmer sich auch in der Zeit zwischen den beiden Wochenenden in ihrem Team vernetzen und alle Aktivitäten getrackt werden konnten, gab es eine Fitbit-Smartwatch ums Handgelenk. „Jeder konnte sehen, was und wieviel die anderen in der Gruppe machen und war dann meist motiviert, auch selbst dazu beizutragen, das Level möglichst hoch zu



JUST MOVE IT



Mithilfe einer Smartwatch konnten die Teilnehmer ihre eigene Aktivität, aber auch die der anderen tracken, sich vernetzen und gegenseitig motivieren.

halten“, berichtet Christoph Königs. Gleichzeitig ließ sich die Smartwatch mit einigen Dokumentations-Tools für die Hämophilie-Therapie verbinden, auch das hätten die Teilnehmer genutzt.

Fünf Monate lagen zwischen dem ersten Wochenende im Juni und dem zweiten im November 2022. In dieser Zeit sollten alle in der von ihnen gewählten Sportart weiter aktiv sein, um über den Fitbit-Tracker möglichst viele Punkte zu sammeln. „Alle waren recht aktiv und haben in ihren Teams ihre Aktivitäten reported. Schließlich gab es ein Ranking und am Ende natürlich einen Gewinner und eine Preisverleihung.“

Das Konzept ist aufgegangen

Das Ziel, die Teilnehmer von JUST MOVE IT zum sicheren Sporttreiben zu animieren und die Motivation möglichst nachhaltig aufrecht zu erhalten, wurde erreicht. „Es ging uns darum, junge Menschen für den Sport zu begeistern – und zwar nicht nur für ein Wochenende und nicht nur für die Dauer des Projekts, sondern langfristig. Dahingehend, dass sie auch in ihrem Alltag zu Hause aktiv werden und sich entsprechend bewegen. Mit Freude und – das ist ganz wichtig – mit den Kenntnissen, die wir während der Wochenenden zu vermitteln versucht haben: Kenntnisse zu gesundem Sport, gesunder Ernährung und dem Verständnis für die Hämophilie-Therapie.“ Besonders hilfreich war hier das junge Orga-Team: Menschen, die im selben Alter oder wenig älter als die Teilnehmer waren, und die entweder selbst eine Blutgerinnungsstörung oder durch z.B. Geschwister oder Ferienfreizeiten Berührungspunkte mit dem Thema hatten. Allen gemeinsam war, dass sie im Sportbereich tätig waren und z.B. Sport studierten, in der Ausbildung zum Physiotherapeuten waren, selbst Leistungssportbetrieben usw. Auf Augenhöhe mit den Teilnehmern stellte dieses Team, das Programm zusammen, während Christoph

Königs und Stephan Schultze-Strasser, dafür zuständig waren, noch einmal zu prüfen, ob medizinisch alles in Ordnung war. Mithilfe des Peer-Teams wurden die Teilnehmer zu ihrer jeweils ausgewählten Sportart beraten, darüber hinaus gab es Fortbildungseinheiten zum Thema Sport allgemein, zur Ernährung und zur Hämophilie-Therapie.

Es sei wichtig, so Königs, dass man verstehe, wie Sport zur Gesundheit beitrage und auch vor Verletzungen schützen könne, und auch was eine gesunde Ernährung ausmache. Leider, so der Facharzt für Kinder- und Jugendmedizin und Hämostaseologie, gebe es unter den Kindern und Jugendlichen mit einer Hämophilie vergleichsweise viele mit Übergewicht.

Wichtig war den Initiatoren des Projekts, auch bei den jungen Teilnehmern mehr Verständnis für die Hämophilie-Therapie zu schaffen. „Wenn ich verstehe, was die Therapie bringt, wie lange der Faktor im Körper wirkt und warum die Prophylaxe wichtig ist, dann gelingt es auch besser, adhärent zu bleiben.“

Die JUST MOVE IT-Teilnehmer vor dem Waldstadion in Frankfurt am Main



Ein Fazit und ein Ausblick

„Wir hatten mehr Anmeldungen als erwartet, alle waren aktiv, alle sind dageblieben und alle wollen unbedingt weiter machen. Mehr noch: Die Teilnehmer wünschen sich eine Fortsetzung in 2023. Das motiviert uns sehr, dafür sind wir dankbar“, sagt Christoph Königs, und ergänzt: „Wir danken allen Beteiligten für Ihren Input, Ihre Bereitschaft und Ihr Engagement bei JUST MOVE IT.“ Solche Projekte könnten dazu beitragen, die eher dünne Datenlage zum Thema „Sport mit Hämophilie“ etwas zu verbessern, fügt der leitende Studienkoordinator Dr. Schultze-Strasser hinzu. Eine wissenschaftliche Auswertung und Fortsetzung des Projekts ist geplant, an der Finanzierung und Umsetzung dieser wird derzeit noch gearbeitet.

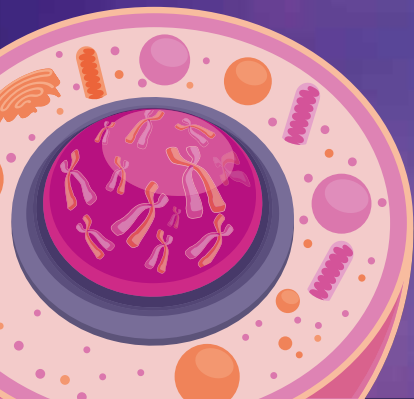
Anders lernen. Anders beteiligt werden. HaemDifferently.

HaemDifferently möchte einen offenen und transparenten Austausch über das Thema Gentherapieforschung mit Ihnen führen.

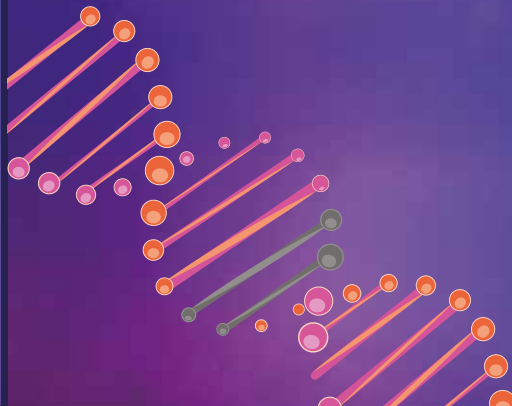
Sprechen Sie uns an oder informieren Sie sich auf:
www.haemdifferently.eu



**WAS IST
EIN GEN?**



**WODURCH WERDEN
GENETISCHE
ERKRANKUNGEN
VERURSACHT?**



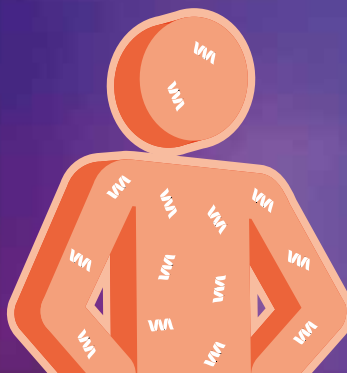
**WAS IST
GENTHERAPIE?**



**WIE
FUNKTIONIERT
GENTHERAPIE?**



**WAS SIND DIE
ZIELE DER
GENTHERAPIE-
FORSCHUNG?**



**WAS SIND DIE
RISIKEN DER
GENTHERAPIE?**



AUS DEN VERBÄNDEN

VORGESTELLT

Die Deutsche Hämophiliegesellschaft – DHG

Die DHG ist die größte bundesweite Interessenvertretung für Menschen mit Hämophilie, von-Willebrand-Syndrom und anderen Blutungskrankheiten.

Information

Die DHG bietet alle wichtigen Informationen rund um die Erkrankung. Mitglieder erhalten regelmäßig unseren Newsletter sowie die zweimal jährlich erscheinenden Hämophilie-Blätter, in denen neben aktuellen Themen aus Forschung, Therapie und Sozialrecht über die Arbeit der DHG berichtet und auf Veranstaltungen hingewiesen wird. Besuchen Sie unsere Homepage unter: www.dhg.de

Beratung

Bei Fragen und Problemen können Sie sich jederzeit an uns wenden. Unsere Regionalvertreter bei Ihnen vor Ort, unser Vorstand, unser Ärztlicher Beirat und die Mitarbeiter in der Geschäftsstelle stehen Ihnen gerne mit Rat und Tat zur Seite.

Gemeinschaft

Wir organisieren in unseren Regionen und auch überregional regelmäßig Veranstaltungen für unsere Mitglieder und die, die es noch werden wollen. Dadurch fördern wir eine starke Gemeinschaft, den Erfahrungsaustausch und die Vernetzung untereinander. Ob Kinderfreizeiten, Aktivitäten für Jugendliche und junge Erwachsene, Spritzkurse, Familienwochenenden, 50+-Veranstaltungen, Konduktorinnen-Treffen oder Seminare für Willebrand-Patienten – für jeden ist etwas dabei. Als Mitglied des European Haemophilia Consortiums (EHC) und der

World Federation of Hemophilia (WFH) ist die DHG auch international bestens vernetzt.



Freizeiten für Kinder und Jugendliche, Familienwochenenden, 50+-Veranstaltungen und vieles mehr: Die DHG bietet ein breites Programm für alle Altersgruppen.

Wir brauchen auch Sie

Nur wenn eine große Zahl von Betroffenen hinter uns steht, können wir die Interessen der Blutungskranken gegenüber Politik, Krankenkassen und Pharmaindustrie glaubwürdig und effektiv vertreten.

Werden Sie Mitglied der DHG!

Auch suchen wir jederzeit neue Mitstreiter, die sich aktiv in die Arbeit der DHG einbringen möchten. Sei es in der Jugendvertretung, in der Regionalarbeit oder im Vorstand – wir freuen uns auf Sie!

DHG

Terminkalender der DHG:

Unsere Veranstaltungen sind offen für jeden. Wir freuen uns immer über neue Gesichter!

01.03.2023: Online-Seminar: Schule & Kindergarten mit Gerinnungsstörungen

09.03.2023: Online-Seminar: Gerinnungserkrankung – was nun?

15.03.2023: Online-Reihe: Antikörper-Behandlung

18.04.2023: Online-Reihe: Der Blick in die Zukunft? Gentherapie

02.06.-04.06.2023: Wochenende für Konduktorinnen und Frauen mit Blutungserkrankungen, Wiesbaden

03.06.2023: Regional- und Fortbildungsveranstaltung Hamburg / Schleswig-Holstein, Hamburg

17.06.2023: Regionaltagung Rheinland-Pfalz / Saarland, Kaiserslautern

23.06.-25.06.2023: Mitteldeutsches Treffen, Schönebeck

24.06.-25.06.2023: Wochenende für Väter und Söhne, Tübingen

14.07.-16.07.2023: Wochenende für Familien, Althütte

29.07.-06.08.2023: Kinderfreizeit, Vöhl am Edersee

25.08.-27.08.2023: Paddelwochenende Spreewald, Burg (Spreewald)

05.10.2023: Online-Seminar: Gerinnungserkrankung – was nun?

20.10.-22.10.2023: Eltern-Kind-Wochenende Thüringen, Heubach

20.10.-22.10.2023: Spritzkurs-Wochenende, Mainz

01.12.-03.12.2023: Familien-Wochenende, Eckernförde

Nähere Infos zu den einzelnen Veranstaltungen finden Sie im Terminkalender unter www.dhg.de/terminkalender oder kontaktieren Sie einfach unsere Geschäftsstelle.

DHG-Bundesgeschäftsstelle

Neumann-Reichardt-Straße 34, 22041 Hamburg
Telefon (0 40) 6 72 29 70 | Telefax (0 40) 6 72 49 44
E-Mail: dhg@dhg.de | www.dhg.de



DEUTSCHE HÄMOPHILIEGESELLSCHAFT
zur Bekämpfung von Blutungskrankheiten e.V.

AUS DEN VERBÄNDEN

ONLINE-SEMINAR · ONLINE-SEMINAR · ONLINE-SEMINAR · ONLINE-SEMINAR

GERINNINGSERKRANKUNG – WAS NUN?



ZUNÄCHST EINMAL: SIE SIND NICHT ALLEIN!

Die Diagnose einer chronischen Gerinnungserkrankung beim Kind stellt das Leben von Familien auf den Kopf. Die Krankheit gehört nun dazu, darf aber nicht alles überschatten. Wie gelingt das am besten?

WERDEN SIE EXPERTE!

Medikamente geben, den Krankheitsverlauf beobachten und noch viel mehr: Eltern tragen die Hauptlast der Versorgung und sollten es aktiv angehen, selbst zu Experten zu werden.

Das hilft dabei, Ärzten auf Augenhöhe zu begegnen, die richtigen Fragen zu stellen, Therapien gut zu verstehen und umzusetzen oder gar selbst Vorschläge zu machen. Es macht Ihr Leben unabhängiger und bindet Sie zur Behandlung nicht ständig an Arztpraxen.

Zudem wird man sicherer im Umgang mit der Krankheit, wodurch es wiederum leichter fällt, sie anderen zu erklären und Ängste zu nehmen.

STARTEN SIE GUT INFORMIERT!



INHALT

Das Online-Seminar gibt einen Überblick über die Krankheit und die Behandlungsmöglichkeiten. Es erläutert, was vor, während und nach dem Einstieg in die prophylaktische Behandlung zu beachten ist.

Die medizinische Sicht wird dabei ergänzt um Tipps und Beispiele aus mütterlicher Perspektive wie ein Leben mit – aber nicht geprägt von – der Gerinnungserkrankung gelingt.

REFERENTEN

Ruth-Susanne Hansen DHG-Vertrauensmitglied der Region RLP/SL, Mutter eines 5-jährigen Hämophilen

Dr. med. Sebastian Hütler Facharzt für Kinderheilkunde und Jugendmedizin, Schwerpunkt Pädiatrische Hämatologie und Onkologie, Hämostaseologie; Oberarzt St. Elisabethen-Klinikum Ravensburg

TERMINE

9. März 2023, 20.00 Uhr
5. Oktober 2023, 20.00 Uhr

ONLINE-SEMINAR · ONLINE-SEMINAR · ONLINE-SEMINAR · ONLINE-SEMINAR ·

WAS NOCH?

Oft ist es auch eine wertvolle Hilfe, sich mit anderen betroffenen Eltern auszutauschen. Wir bieten regelmäßig Veranstaltungen für Familien an. Schauen Sie einfach mal in unseren Terminkalender unter www.dhg.de/dabeisein-und-mitmachen/veranstaltungen.html.

Bitte scheuen Sie sich nicht, uns direkt zu kontaktieren. Die Mitarbeiter unserer Geschäftsstelle oder die Regionalvertreter in Ihrer Region stehen Ihnen gerne mit Rat und Tat zur Seite oder vermitteln auf Wunsch den Kontakt zu anderen Familien in Ihrer Nähe.

WAS BRAUCHEN SIE?

Sie benötigen eine stabile Internetverbindung, einen PC, Laptop oder Tablet mit Lautsprecher.

WER KANN SICH ANMELDEN?

Anmelden kann sich jeder, der mit der Diagnose einer Gerinnungserkrankung konfrontiert wurde.

WO KÖNNEN SIE SICH ANMELDEN UND WEITERE INFORMATIONEN ERHALTEN?

susanne.zech@dhg.de

DHG-Bundesgeschäftsstelle
Neumann-Reichardt-Straße 34 • 22041 Hamburg
Telefon 040 – 6 72 29 70 • Fax 040 – 6 72 49 44
dhg@dhg.de • www.dhg.de

Kompetenz und Einfühlungsvermögen in der ambulanten Versorgung von Menschen mit Hämophilie

Wer ein Kind mit einer Blutgerinnungsstörung hat oder selbst Schwierigkeiten, seine Prophylaxe-Therapie mit Faktorpräparaten durchzuführen, ist auf Unterstützung angewiesen. Ein Blick hinter die Kulissen der Homecare-Versorgung.

Text von **Tanja Fuchs**

In der letzten Hämovision haben wir einen Gastbeitrag von Prof. Michael Ewers und Julia Ballmann vom Institut für Gesundheits- und Pflegewissenschaft an der Charité-Universitätsmedizin Berlin veröffentlicht. In ihrer Einleitung schreiben die Wissenschaftler:

„Pflegefachpersonen sind oft die ersten Ansprechpartner in den Hämophilie-Zentren und haben einen Einblick in den Alltag der von der Krankheit Betroffenen. Sie können sie daher aktiv unterstützen und sie bei ihrem Leben mit der Erkrankung kontinuierlich begleiten. Dafür benötigen sie eine gute Ausbildung, fundierte Kenntnisse über die Erkrankung, deren Diagnose und Therapie sowie mit der Erkrankung einhergehende Probleme und nicht zuletzt tragfähige edukative Konzepte und Strategien.“

Ebendiese tragfähigen Konzepte und Strategien aber fehlen – so das Ergebnis einer Literaturstudie, in der der edukative Bedarf von Menschen mit Hämophilie und ihren Angehörigen sowie auch von Pflegefachpersonen ermittelt wurde. Wissenschaftliche Informationen hierzu seien in Deutschland nicht vorhanden, es mangle an Standards und evaluierten Programmen, so das Fazit von Ewers und Ballmann.



„Das wünschen wir uns alle“

Gesine Nugel ist examinierte Krankenschwester und kann auf langjährige Erfahrung in den klinischen Fachbereichen Intensiv- und Notfallmedizin, Kardiologie und Hämostaseologie zurückblicken, ebenso wie auf Erfahrungen als Studynurse in der klinischen Forschung. Sie weiß, wie man intravenöse Injektionen auch bei Kleinkindern durchführt, ist erfahren im Umgang mit Kathetern und Portsystemen und betreut und begleitet seit vielen Jahren Hämophilie-Patienten und deren Angehörige.

„Das was Prof. Ewers und Frau Ballmann in ihrem Review zum Ausdruck bringen, also den Wunsch nach einheitlichen Standards und die Einführung pflegepädagogisch begründeter Konzepte und wissenschaftlich überprüfter Programme, wünschen wir uns alle“, sagt sie. Auch könne sie die Kritik an einem System nachvollziehen, in dem die Heimbetreuung von Patienten an den Hersteller des jeweiligen Medikaments gekoppelt ist und durch diesen finanziert werde. „Aber wenn wir dies so nicht mehr wollen, dann müssen andere Lösungen her, dann muss die ganze Versorgung, so wie sie jetzt aufgebaut ist, neu aufgestellt werden“, sagt die examinierte Krankenschwester und erläutert, wie sich der Weg dorthin überhaupt entwickelt hat: 2011, nachdem sie viele Jahre im klinischen Alltag tätig gewesen war, hatte Gesine Nugel zu einem Homecare-Unternehmen gewechselt.

„Wir waren im Bereich Onkologie unterwegs und in der Versorgung von Patienten mit parenteraler und Schmerztherapie“, sagt sie und beschreibt, wie sie der Hämophilie eher zufällig begegnet sei und wie es dazu kam, dass MTS Meditel – das Homecare-Unternehmen, in dem Frau Nugel heute den Bereich Hämophilie leitet – die Blutgerinnungsstörung mit in ihr Portfolio übernahm: „Es gab ein Neugeborenes mit einer schweren Hemmkörper-Hämophilie und die Ärzte in der Klinik stießen an den Rand ihrer Kapazitäten. Sie wollten den Eltern ermöglichen, mit ihrem Baby nach Hause zu fahren, aber das Baby wurde über einen zentralvenösen Katheter, einen sogenannten Port versorgt, der nur von Spezialisten punktiert werden konnte. Die Eltern waren mit der Hämophilie noch nie zuvor in ihrem Leben konfrontiert worden und mit der Situation völlig überfordert. Als die Ärzte bei uns anfragten, ob wir uns das mal ansehen könnten, hat mein Kollege die Versorgung und Begleitung zunächst übernommen“, erzählt Frau Nugel.

Aber die Heimbetreuung in der Hämophilie-Therapie ist komplex. Es gehe nicht nur darum, das Kind regelmäßig zu versorgen, es gehe auch darum, die Eltern, die mitunter traumatisiert seien, anzuleiten, damit sie die



Versorgung nach und nach selbst übernehmen könnten. Dafür brauche es eine temporäre Begleitung und ein Team, sagt Gesine Nugel. Die Kosten hierfür werden nicht von den Kassen übernommen.

„Es war also begrenzt, was mein Kollege vom Homecare-Unternehmen tun konnte, dauerte aber nicht lange, bis der Hersteller des Faktorpräparates auf uns zukam. Man sei vom Hämophilie-Zentrum über die Problematik informiert worden und wolle gerne zu einer Lösung beitragen. Schließlich haben wir gemeinsam ein Konzept erarbeitet und später auch RKI-gestützte Leitlinien erstellt“, berichtet Gesine Nugel. 2013 habe man das Homecare-Unternehmen MTS Meditel mit ins Boot geholt – ein Homecare-Unternehmen, das seit jeher im Bereich der „seltenen Erkrankungen“ spezialisiert sei und die erforderlichen Kompetenzen mitbringe. „Wir haben alles rechtlich prüfen lassen und sind gestartet.“ Es gebe fest angestellte Pflegefachpersonen und freie Mitarbeiter in verschiedenen Regionen. „Wir machen Schulungen und Workshops, die von Meditel und vom Hersteller geprüft werden, und wir laden Psychologen ein, was essentiell für die Versorgung von Kleinstkindern und die Betreuung der Familien ist.“ Der Bedarf war groß und inzwischen gibt es mehrere Homecare-Unternehmen, die im Bereich Hämophilie für unterschiedliche Hersteller tätig sind.

Der Patient im Mittelpunkt

„Unser Fokus“, sagt Gesine Nugel, „liegt auf der Patientenversorgung. Wie können wir optimal dort unterstützen, wie können wir die Menschen optimal aus der Klinik in die Häuslichkeit entlassen, was finden wir dort vor und wie gehen wir damit am besten um? Neben diesen Fragen ist die Kommunikation mit dem Hämophiliezentrum essentiell und natürlich die Einhaltung dessen, was wir umsetzen können und dürfen. Dazu gehört auch, zu wissen, wo die Grenzen der eigenen Kompetenz liegen

HEMECARE

»Es gab Zeiten, in denen ich monatlich zwischen 8 und 10.000 km gefahren bin. Man muss sich organisieren können in einem rollenden Büro.«

und wo Dinge an den behandelnden Arzt im Zentrum abgegeben werden müssen. Für all das gibt es ganz klare Richtlinien.“

Netzwerke bilden

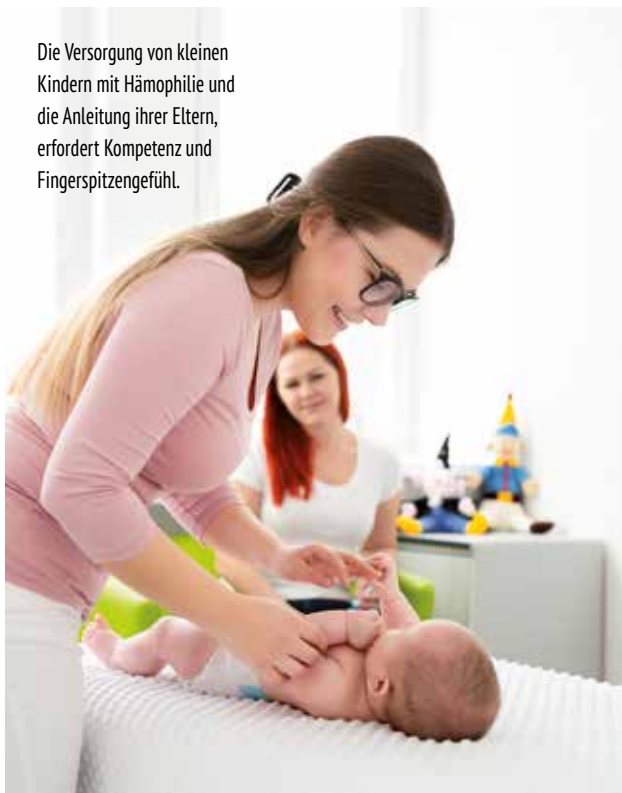
Was im Einzelnen möglich ist, ist unterschiedlich, wichtig sei, dass von Anfang an Netzwerke gebildet werden, die auch im Notfall greifen. „Wir haben (im besten Fall mehrere) Notfall-Rufnummern, wir wissen, wer der Kinderarzt ist, wir kennen die Kita oder Schule, die das Kind besucht. Mit letzteren werde auch Kontakt aufgenommen, um Erzieher und Lehrer vor Ort zu schulen.“

Bei den meisten Patienten handelt es sich um Babys, Kleinkinder und deren Eltern. Es gibt aber auch Fälle, in denen ältere Menschen vorübergehend Unterstützung brauchen. So zum Beispiel, wenn verletzungsbedingt die Selbstinjektion nicht mehr gelingt, wenn der Lebenspartner, der dies immer übernommen hat, nicht mehr da ist oder wenn ein Aufenthalt in einer Reha-Einrichtung oder einem Pflegeheim erforderlich ist.

Nur gemeinsam mit dem Hämophilie-Zentrum

Den Startschuss für jeglichen Einsatz gibt in der Regel das Hämophilie-Zentrum/Krankenhaus. Hier werden die Therapie und das genaue Schema festgelegt. Es gebe immer Vorgespräche mit den Ärzten, bevor sich die Home-care-Fachkraft dem Patienten bzw. den Eltern vorstellt. Jede und jeder aus dem Team von Gesine Nugel, der Patienten zu Hause besucht und dort sowohl die Durchführung einer Therapie als auch die Begleitung und Anleitung der Eltern übernimmt, hat eine Ausbildung zur Krankenpflegefachkraft absolviert und viel Erfahrung. „Wenn sich jemand bei uns bewirbt, werden alle Zertifikate und Dokumente überprüft, es gibt ein Erstgespräch, dann eine Hospitation und anschließend folgt noch eine Phase, in der der potenzielle neue Mitarbeiter erst einmal an unserer Seite bleibt. Tatsächlich, so Gesine Nugel, gebe es viele Bewerbungen, aber nur wenige geeignete Bewerber. Eine intravenöse Behandlung in der Pädiatrie ist kompliziert. „Da braucht es Menschen, die das auch

Die Versorgung von kleinen Kindern mit Hämophilie und die Anleitung ihrer Eltern, erfordert Kompetenz und Fingerspitzengefühl.



können. Auch Empathie und Verantwortungsbewusstsein sind gefragt. Es ist ja nicht nur das Spritzen. Man begegnet sehr unterschiedlichen Familien, man muss Distanz wahren und gleichzeitig Vertrauen schaffen können, Ressourcen erkennen und wissen, wann es erforderlich ist, sich mit dem Hämophilie-Zentrum in Verbindung zu setzen. Und man muss das auch wollen“, sagt Nugel: „Es gab Zeiten, in denen ich monatlich zwischen 8 und 10.000 km gefahren bin. Man muss sich organisieren können in einem rollenden Büro.“

Mehr Menschen in die Pflege

„Wir brauchen Kompetenz und wir brauchen Stabilität in der Pflege“, sagt Gesine Nugel. „Sowohl im ambulanten als auch im stationären Bereich.“ Der Studiengang Pflege sei wichtig, parallel dazu müssten auch Pflegekräfte ohne Studium in diesem Bereich arbeiten können. „Leider wird über die Medien ein mitunter subjektives Bild transportiert: Wenn du in diesem Beruf arbeitest wirst du krank – so der Tenor. Das ist fatal. Es fehlen die positiven Darstellungen. Man muss die Menschen doch gewinnen für diese Tätigkeit, die von vielen übrigens mit sehr viel Hingabe ausgeübt wird. Was es dringend braucht, sind andere Rahmenbedingungen, in denen sich alle Pflegekräfte gesund bewegen können.“

LEIDENSCHAFT FÜR PATIENTEN MIT HÄMOPHILIE

Seit über 100 Jahren arbeitet Grifols daran, die Gesundheit und das Wohlergehen von Menschen weltweit zu verbessern.

Unser Antrieb ist die Leidenschaft, Patienten durch die Entwicklung neuer Plasmatherapien und neuer Methoden zur Plasmagewinnung und -herstellung zu behandeln.

Weitere Informationen über Grifols auf www.grifols.com



GRIFOLS

REISEBERICHT:

Unbeschwert reisen mit leichtem Gepäck

Mit dem Rad bei schlechtem Wetter von Kiel nach Polen, spontan vier Wochen nach Hawaii oder, wie demnächst geplant, durch Indonesien, bis kein Geld mehr da ist...

Jeppe Grøndahl ist keine Reise zu weit oder zu beschwerlich. Die Hämophilie scheint für den 19-jährigen eher Nebensache...



Text von **Tanja Fuchs**

Als sein Kumpel ihn anruft und fragt: „Hey hast Du nicht Lust nach Hawaii zu kommen und einen Roadtrip mit mir zu machen“, zögert Jeppe nicht lange. Spontan sagt er zu und sitzt zwei Wochen später im Flieger.

Jeppe Gröndahl ist 19 Jahre alt und hat Hämophilie A. Jeden zweiten Tag spritzt er sich ein Faktor-VIII-Präparat. Vor knapp zwei Jahren hat er Abitur gemacht und weiß noch nicht so genau, in welche berufliche Richtung es ihn längerfristig zieht. Kurzfristig zieht es ihn jedenfalls in die Welt hinaus und er möchte soviel reisen wie möglich.

Die letzten beiden Sommer hat Jeppe bei seiner Oma Mosi an der Ostsee verbracht und in einer Surfschule in Kiel gearbeitet. Davon ist noch ein bisschen Geld auf dem Konto. Das muss reichen für Hawaii.

»Manchmal muss man improvisieren«

Im letzten Jahr hatte derselbe Kumpel, der jetzt auf Hawaii ist, ihn in Kiel besucht, von wo aus die beiden auf Radtour gingen: 9 Tage lang, an der Ostseeküste entlang von Kiel nach Polen.

„Weil Jonathan seine Satteltaschen zu Hause vergessen hatte, mussten wir improvisieren, ein bisschen stopfen und hier und da etwas mit dem Spanngurt festklemmen.“

In einer Satteltasche und zwei kleinen Vorderradtaschen bleibt nicht viel Platz für eine Kühlbox mit verpackten Medikamenten. „Um Platz zu sparen habe ich die Durchstechflaschen aus der Verpackung genommen, immer drei davon in eine verschließbare Plastiktüte gepackt und diese jeweils in einer Thermosflasche mit crushed ice verstaut. Fertig.“ Das Wetter war durchwachsen, trotzdem schafften sie es bis nach Polen, trotzdem wurde gezeltet und trotz-

dem hatten sie Spaß. Und etwas Spaß kann Jeppe gut gebrauchen.

Das Jahr 2022 hatte schließlich nicht so gut angefangen: Ein Umknicktrauma während eines Basketballspiels hatten neben einem Bänderriss einen Knorpel- und Knochenschaden zur Folge. „Im Februar 2022 wurde ich operiert, die OP war ziemlich aufwändig und definitiv viel heftiger als die Hawaiireise. Danach musste ich 3 Monate lang auf Krücken laufen“, erzählt er. „Das war echt belastend. Die Surfschule, die Radtour und der Trip nach Hawaii waren also auch ein bisschen Ausgleich.“

»Reiseplanung? Eher unspektakulär!«

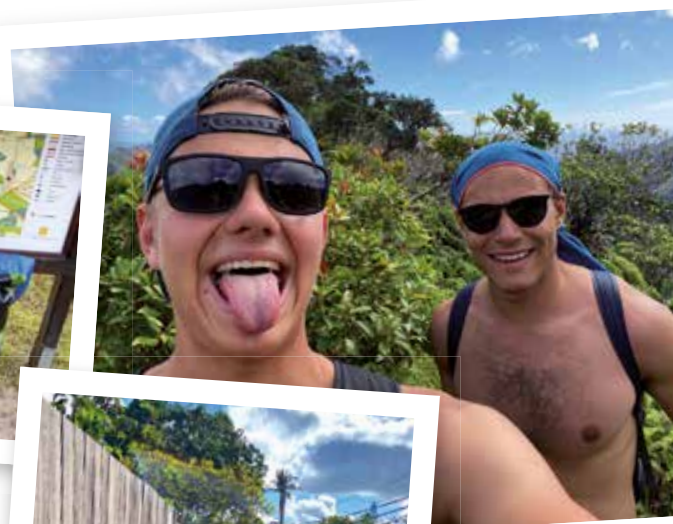
Dass Hawaii ziemlich weit weg von zu Hause ist, dass er Faktor mitnehmen muss und vielleicht auch ein bisschen mehr planen muss, als bei der Radtour an der Ostseeküste, schreckt

den Berliner nicht ab. „Eigentlich war das gar nicht so spektakulär“, wiegelt er ab. „Ich habe geguckt, wie lange ich unterwegs sein werde und ausgerechnet, wieviel Faktor ich brauche.“ Von seinem Hämophiliezentrum erhält er einen Brief, in dem steht, dass er Hämophilie hat und welches Präparat er spritzt, dazu ein abgestempeltes Dokument, das ihn dazu berechtigt, die benötigten Präparate und alles, was er für die Injektion benötigt, mit sich zu führen. „Das Zentrum hat das dann wie immer in der Witzleben-Apotheke durchgegeben, und die Apotheke hat's geliefert. Die haben mir dann noch Kühl-Akkus für die Reise geschenkt, die ich aber gar nicht alle mitnehmen konnte, weil schlicht der Platz im Rucksack fehlte.“

Am Ende hat Jeppe sein Backpack und eine Kühltasche mit nur zwei kleineren Kühlelementen und etwas mehr Faktor als benötigt dabei – „aber eigentlich nur, weil meine Mutter drauf bestanden hat, dass ich



Während das Gepäck auf der Radtour (oben) eher überschaubar war, hatten Jeppe und Jonathan auf Hawaii ganz schön zu schleppen. Rechts: Beim Trampen bleibt – wenn auch ungewollt – manchmal Zeit für Pausen...



UNTERWEGS



Surfen konnte Jeppe bereits vor seiner Hawaii-Reise, wenn auch die Bedingungen vor der Insel im Zentralpazifik etwas schwieriger waren als bisher...

etwas mehr mitnehme“, sagt er. Seine Mutter habe auch gleich nachgesehen, ob und wo es auf Hawaii ein Hämophiliezentrum gebe, so Jeppe. „Das hat sie früher auch bei Klassenreisen ins Ausland so gemacht. Für den Fall, dass ich mir mal den Faktor nicht mehr selbst verabreichen kann.“ Das Zentrum auf Hawaii befindet sich in Honolulu. Gut zu wissen immerhin.

„Jo, und dann hab' ich den Flug gebucht und bin los. Ganz einfach.“ Auf die Frage, ob er die Fluggesellschaft zuvor kontaktiert habe, wegen der Faktorpräparate und der Nadeln im Handgepäck, antwortet Jeppe, er habe nichts angemeldet und es habe auch niemanden interessiert. „Ich hatte 25 Schachteln mit Faktor in der Kühltasche und natürlich, was ich zum Spritzen brauche und habe beim Einchecken einfach gesagt: hier sind Medikamente drin, das war's.“

Surfen, surfen, surfen

Hawaii war super. Wir sind per Bus, per Anhalter und zwischendurch mit einem Mietwagen unterwegs gewesen haben überwiegend wild ge-

camp und hin und wieder auch auf einem Campingplatz. Nur eine Nacht waren wir im Hostel und viermal bei Leuten auf der Couch. Beim Couch-Surfing* konnte ich meine Kühlakku ins Gefrierfach legen, ansonsten bin ich morgens zum Supermarkt und hab die Kühltasche mit crushed ice gefüllt. Ob das bis zum Abend immer so die richtige Temperatur hatte, bezweifle ich ehrlich gesagt, aber es hat irgendwie hingehauen.“ Manchmal, erzählt Jeppe, hätte er die Kühltasche auch im Surfshop abgegeben und darum gebeten, den Inhalt kühl zu stellen bis zum Abend. Und surfen waren sie oft.

Surfen auf Hawaii ist kein Kinderspiel und ein paarmal trägt Jeppe Verletzungen davon. „Ein paar Schnittwunden waren dabei, einmal ist mir das Surfboard um die Ohren geflogen und die Finne hat mich unterhalb der Rippen erwischt. Das gab drei tiefe Kratzer und einen ordentlichen blauen Fleck. Also bin ich kurz raus aus dem Wasser, hab mir Faktor gespritzt und bin schnell wieder rein. War nicht ganz so geil, aber hey, du bist wahrscheinlich nur einmal in deinem Leben auf Hawaii, habe ich mir gesagt. So schlimm wird es nicht sein.“

Basketball und wieder Reisen

Nach der Hawaiireise machen sich Schmerzen bemerkbar, seine Hämostaseologin rät ihm, eine Weile etwas mehr Faktor zu spritzen, als sonst. Jetzt hofft er, dass er bald wieder Basketball spielen darf. „Ich hab' noch nicht 100 Prozent Vertrauen in den Fuß, aber ich hab halt zu viel Bock, als dass ich noch so lange warten will...“ Jeppe ist zuversichtlich und Basketball ist halt seine Leidenschaft. Ende März fliegt er nach San Francisco, um sein Lieblingsteam live zu sehen. „Das war schon immer ein Traum von mir.“ Zwei Spiele will er sich ansehen, danach geht es weiter nach San Diego, wo er einen Monat lang eine Sprachschule besuchen soll.

INFO

Couchsurfing ist ein internetbasiertes Gastfreundschaftsnetzwerk. Die Mitglieder nutzen die Website, um eine kostenlose Unterkunft auf Reisen zu finden, selbst eine Unterkunft oder auch anderes anzubieten, wie beispielsweise einem Reisenden die Stadt zu zeigen. Im Mai 2020 gab Couchsurfing bekannt, dass das Netzwerk infolge der COVID-19-Pandemie trotz Einsparungen gezwungen sei, künftig von Nutzern aus „entwickelten Ländern“ einen Mitgliedsbeitrag zu erheben, um weiterexistieren zu können. Da es leider – wenn auch in seltenen Fällen – auch zu Missbrauch der Plattform gekommen ist, ist es ratsam, sich die Bewertungen von Anbietern und Nutzern genau anzusehen und evtl. lieber zu zweit das Angebot zu nutzen.

www.couchsurfing.com

„Das wurde von Mama und Papa organisiert und freundlicherweise von Oma und Opa gesponsert: Und es bedeutet vormittags 3 Stunden Schule, danach darf ich surfen, das ist super.“ Im Anschluss sei er noch etwa drei Wochen bei einem Freund seines Vaters in Santa Barbara, der einen ebenfalls surfbegeisterten Sohn hat. Klingt nach Spaß.

Und dann?

„Joa, dann bin ich zwei Wochen in Berlin und plane den nächsten Trip: Wir wollen nach Indonesien. Jonathan ist wieder dabei und diesmal auch mein ältester Freund Max sowie eine Freundin, die wir auf Hawaii kennengelernt haben. Wie lange, ist noch nicht ganz klar... ich denke mal, so lange, wie das Geld reicht.“

Bleiben Sie **Bestimmer!**



Ihr Infoportal zur
individuellen Hämophilietherapie
www.haemophilie-therapie.de

Mit **www.haemophilie-therapie.de** wird Ihr Weg
zur individuellen Therapie noch einfacher:

- + Informationen von **Expert:innen**
- + Verzeichnis der **Hämophiliezentren**
in Deutschland
- + Downloads, Videos, **Antworten** auf
häufige Fragen



www.haemophilie-therapie.de



Jetzt auch auf Facebook:
www.facebook.com/haemophilietherapie

octapharma

smart medication

Digitale Anwendungen im Gesundheitswesen

Digitale Lösungen & Tools für die Hämophilie

smart medication Gene **NEU**
Intersektorale Versorgung in der Gentherapie

smart medication eDiary
Elektronisches Patiententagebuch

smart medication OneClick
1-Click Prophylaxedokumentation

smart medication PK
Individuelle Berechnung des Faktorlevels

smart medication EmiQoL
Monitoring Schmerz und Lebensqualität

smart medication ScanDoc
Chargendokumentation Apotheken

smart medication Study
Schnittstelle zu klinischen Studien

smart medication DHR
Meldung Deutsches Hämophilie Register

smart medication eConsent
Digitales Vertragsmanagement für Apotheken

smart medication eHealth Solutions GmbH
www.smart-medication.eu



smart medication

Beruhigt reisen mit Blutungsneigung

Der Frühling steht vor der Tür und Fernweh stellt sich ein? Dann wird es höchste Zeit, den nächsten Urlaub zu planen. Tipps für Menschen mit Hämophilie und eine Checkliste für die Reiseapotheke.

Text von **Verena Fischer**

Ein Urlaub eignet sich einfach perfekt, um den Alltag hinter sich zu lassen, auf neue Gedanken zu kommen und frische Energie zu tanken. Für die meisten Hämophilie-Patienten ist Reisen heutzutage zum Glück auch kein Problem mehr, wie der Reisebericht ab Seite 32 von Jeppe Gröndahl veranschaulicht. Doch nicht jeder ist beim Reisen so unbeschwert unterwegs und grundsätzlich ist es – gerade im Zusammenhang mit Hämophilie – sinnvoll, eine Reise gut zu planen und sich vor Reiseantritt ausgiebig zu informieren, um auf alle Eventualitäten vorbereitet zu sein und sich unterwegs nicht den Kopf zerbrechen zu müssen. Gut zu wissen: Viele Hämophilie-Zentren bieten gezielte Reiseberatungen an und informieren Interessierte umfangreich darüber, was in einzelnen Ländern zu beachten ist.

Medikamente unterwegs sicher aufbewahren

Gut gekühlt, sicher verpackt und optimal gelagert: Wer mit Medikamenten unterwegs ist, sollte bestimmte Dinge beachten, damit diese langfristig haltbar bleiben und nicht verlorengelangen. So eignen sich beispielsweise medizinische Kühltaschen am besten, um Faktorpräparate während der Reise auf Idealtemperatur (zwischen zwei und acht Grad Celsius) temperiert zu halten. Auf Flugreisen sind Faktorpräparate am besten im Handgepäck aufgehoben. Denn der Koffer kann bekanntermaßen auch mal verlorengelangen. Wer auf Nummer sicher gehen möchte, verstaut eine Reserve des Hämophilie-Medikaments zusätzlich im Koffer, für den Fall, dass mit dem Handgepäck etwas Unvorhergesehenes passiert. Auch bei Autoreisen sollte die Kühlung gut durchdacht sein. Denn Autoinnenräume können bei Sonnenschein schnell mal über 25 Grad warm werden. Kühlboxen, die sich über den Zigarettenanzünder an die Stromversorgung des Autos anschließen lassen, sind dann eine gute Lösung. Ein weiterer Vorteil: Mit einem Spezialadapter können die Boxen auch am Zielort über die Steckdose mit Strom versorgt werden.

REISE-CHECKLISTE



Beim Backpacking kann es zudem sinnvoll sein, Faktorpräparate aus hygienischen Gründen vakuumverpackt zu transportieren. Auch ein „Basislager“, beispielsweise in einem Hostel, kann eine gute Lösung sein, um Medikamente dauerhaft zu lagern und zwischendurch vor Ort Nachschub zu holen.

Mückenschutz in den Tropen

In tropischen Ländern besteht in bestimmten Gebieten ein Risiko für Infektionskrankheiten durch Mücken. Für Menschen mit Hämophilie ist ein umfangreicher Mückenschutz besonders zu empfehlen, um Denguefieber und Malaria vorzubeugen – zwei Erkrankungen, die mit einer verringerten Anzahl an Blutplättchen einhergehen, wodurch sich das Blutungsrisiko erhöht. Zum Schutz vor Stechmücken haben sich vor allem Sprays, Moskitonetze und bedeckende, stichfeste Kleidungsstücke bewährt. Übrigens: Mücken fühlen sich besonders zu dunklen Stoffen hingezogen, weswegen weiße Kleidungsstücke zusätzlichen Schutz bieten können. Gut zu

INFO

Erster Ansprechpartner für wichtige Fragen ist das behandelnde Hämophilie-Zentrum. Antworten auf viele Fragen erhält man auch in der Apotheke, über die man seine Faktorpräparate bezieht. Darüber hinaus sind auch die Patientenorganisationen immer eine gute Anlaufstelle: www.igh.info und www.dhg.de

Ein weltweites Verzeichnis nationaler Mitgliedsorganisationen der World Federation of Hemophilia (WFH) findet man hier:

<https://wfh.org/find-local-support/find-a-wfh-nmo/>

wissen: Für Malaria gibt es Medikamente, die Reisende als Prophylaxe einnehmen können. Ob eine Einnahme im Einzelfall sinnvoll ist, das lässt sich am besten im Arztgespräch klären.

Kostenübernahmen im Ausland

Was viele nicht wissen: Die Krankenkassenkarte von gesetzlich Versicherten ist gleichzeitig auch eine European Healthcare Insurance Card (EHIC) und es können darüber notwendige medizinische Leistungen in der gesamten EU abgerechnet werden. Um im Ausland krankenversichert zu sein, braucht es aber eine Auslandsrankenversicherung. Das Problem dabei ist, dass Hämophilie bei Auslandsrankenver-

sicherungen häufig ein Ausschlusskriterium ist, weshalb es sinnvoll ist, sich vor Abschluss der Versicherung genau zu informieren, ob Behandlungen im Zusammenhang mit Hämophilie auch wirklich übernommen werden.

Im 5. Sozialgesetzbuch gibt es im Paragraphen 18 Absatz 3 zudem eine Ausnahmenvorschrift, wonach während eines vorübergehenden Auslandsaufenthaltes Versicherungsschutz über die gesetzliche Krankenkasse besteht, wenn sich der gesetzlich Versicherte wegen einer chronischen Vorerkrankung nachweislich nicht privat absichern kann. Die Kosten dürfen dann aber nur in der Höhe, in der sie im Inland entstanden wären und für längstens sechs Wochen im Kalenderjahr übernommen werden.

Eine kleine **Checkliste** für den nächsten Urlaub sowie die wichtigsten Infos für die Hämophilie Reiseapotheke stehen in diesem Booklet – zum Mitnehmen und überall dabeihaben. Gute Reise!

Ups! Keine Checkliste hier?

Wenn jemand schneller war oder das Booklet einfach verloren gegangen ist, senden wir Ihnen gern einen Ersatz zu. Dafür bitte einfach eine Mail mit Ihrer Anschrift **an moin@fskom.de** mit dem Betreff „Reise-Checkliste Hämophilie“ schicken. Vielen Dank!

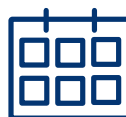


Novo Nordisk
HaemAcademy

Werde Physiotherapeut*in mit Hämophilie- Know-how

Regelmäßige physiotherapeutische Maßnahmen können bei Menschen mit Hämophilie die Gelenkgesundheit wesentlich verbessern. Mit unserer **kostenfreien Fortbildungsreihe** möchten wir Ihnen die hierzu erforderlichen speziellen Kenntnisse praxisnah vermitteln.

- 3-tägiges Intensivprogramm mit umfangreichen Patientenpräsentationen
- Durchgeführt von Spezialist*innen aus den Bereichen Hämophilie, Orthopädie und Physiotherapie
- Mit 15 Punkten anerkennungsfähig



Nächster Termin

21. – 23.04.2023 | Dresden

Das vollständige Programm und weitere Termine erfahren Sie auf haemacademy.de

LIBERATE
LIFE

ich sage, wo's langgeht.

Nicht meine Hämophilie.



Jetzt mehr erfahren unter
www.liberatelifelife.de

Moderne Therapieoptionen ermöglichen ...

- gesunde Gelenke
- eine verlässliche und flexible Blutungsprophylaxe
- ein Gefühl der Sicherheit
- Unabhängigkeit von der Erkrankung

 sobi