

# Case Report

2	Impressum	7	Fall 2
3	Editorial	9	Fall 3
4	Prophylaxe mit Nonacog beta pegol	11	Fazit
5	Fall 1	11	Literatur

## Wirksame Therapieoption bei Hämophilie B ermöglicht optimierten hämostatischen Schutz durch konstant hohe Faktor-IX-Spiegel

Die prophylaktische Behandlung mit rekombinanten Gerinnungsfaktoren ist die erfolgreiche Basis der modernen Hämophilie-Therapie. Die Blutungsprophylaxe mit Standardkonzentraten kann effektiv Blutungen vermindern. In den letzten Jahren veröffentlichte Langzeitbeobachtungen haben jedoch gezeigt, dass mit dem bisherigen Therapieansatz, dauerhaft Faktor-VIII-/Faktor-IX-Spiegel  $> 1\%$  im Blut zu erreichen, die Entwicklung einer hämophilen Arthropathie nicht verhindert werden kann [1, 2]. Trotz einer primären Prophylaxe entwickelten fast alle Patienten über einen Zeitraum von mehreren Jahrzehnten Gelenkschäden, oft in Verbindung mit der Entwicklung eines Zielgelenks.

Der Schlüssel zu einer erfolgreichen Langzeitbehandlung ist daher die Anwendung von Konzentraten, die dauerhaft einen hohen Faktor-VIII-/Faktor-IX-Spiegel ermöglichen und Gelenkblutungen weitestgehend verhindern. Seit einiger Zeit gibt es Hinweise aus der Fachliteratur, dass Talspiegel von 15–20% notwendig sein könnten, um Gelenkblutungen und die Entstehung von Langzeitschäden zu verhindern [3, 4].

Die lange Halbwertszeit von Refixia® (Nonacog beta pegol, N9-GP) ermöglicht eine Behandlung mit hohen Talspiegeln ohne häufige Injektionen. Durch die 1 × wöchentliche Gabe von N9-GP (40 IE / kg Körpergewicht) bei Jugendlichen und Erwachsenen mit Hämophilie B ab 12 Jahren wurden in klinischen Studien mittlere Talspiegel von 27% beobachtet. Blutungen, v. a. auch in die Gelenke, wurden nach längerer Anwendung nahezu verhindert. Die dauerhaft hohen Spiegel ermöglichen den Patienten zudem, ein aktives Leben mit verbesserter Lebensqualität ohne häufige Injektionen oder Laborkontrollen zu führen.

In 3 Kasuistiken aus dem Hämophilie-Zentrum Bonn wird die erfolgreiche Umstellung von Patienten mit Hämophilie B auf N9-GP vorgestellt, und die Veränderungen hinsichtlich Adhärenz, Injektionshäufigkeit, Blutungsrate und Lebensqualität für den einzelnen Patienten analysiert.