



# DER WERT MEDIZINISCHER INNOVATIONEN

\ Report – alle Module

**LAWG.**  
Deutschland e.V.

20 YEARS  
OF IMPACT | **VINTURA**



# 20 Jahre Innovation in der Behandlung von Hämophilie

Leben ohne Angst vor Blutungen

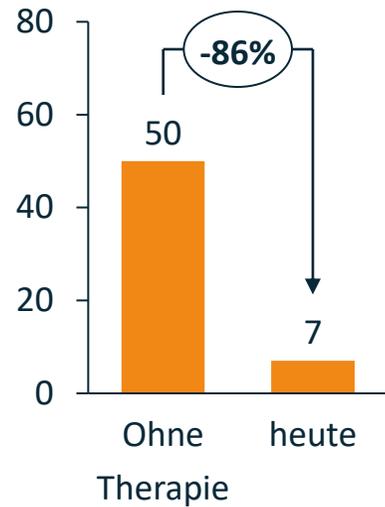
---

**LAWG.**  
Deutschland e.V.

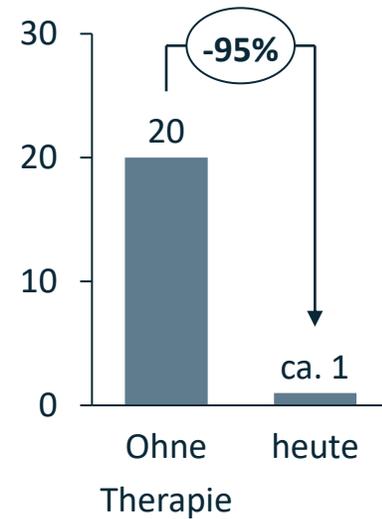
**VINTURA**

Hämophilie ist eine oft tödliche Erbkrankheit, die heute gut mit langwirksamen Blutgerinnungspräparaten therapiert und mit Gentherapien sogar geheilt werden kann

Verlorene Lebensjahre<sup>1-2</sup>



Spontane Blutungen pro Jahr<sup>3-6</sup>



14 langwirksame Therapien und 2 Gentherapien erlauben eine stabile Regulierung der Blutgerinnung, die die Risiken durch spontane oder verletzungsbedingte Blutungen stark reduziert.

### \ Hämophilie ist eine Erbkrankheit, bei der der Körper nicht genügend Blutgerinnungsfaktoren produziert.

- Betroffen sind fast ausschließlich Männer, die ihr Leben lang unter Blutungen leiden - entweder spontan oder durch Verletzungen ausgelöst.

### \ Menschen mit Hämophilie leiden oft psychisch stark unter ihrer Krankheit.

- Jungen mit Hämophilie müssen früh lernen, dass sie nicht aktiv mitspielen dürfen und werden so ausgegrenzt.

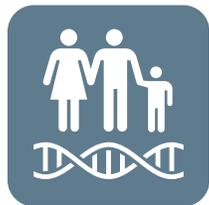
### \ Seit 2016 gibt es langwirksame Blutgerinnungspräparate – seit 2022 sogar Gentherapien.

- Langwirksame Medikamente ermöglichen eine stabilere Einstellung der Blutgerinnung, so dass die Patienten besser am Leben teilnehmen und sogar Hochleistungssport betreiben können.
- Mit Hilfe von Gentherapien entfällt bei den meisten Patient sogar die regelmäßige Behandlung.

### \ Patientenzugang zur Gentherapie und weiter verbesserte Gerinnungshemmer sind die nächsten Ziele.

- Bessere Blutgerinnungshemmer werden entwickelt mit dem Ziel einer stabilen Therapie, die nur noch selten Injektionen erfordert.
- Trotz der Erfolge der Gentherapie wird diese auf Grund von Problemen im Patientenzugang nur sehr selten durchgeführt – auch wie lange sie effektiv anhält, ist noch nicht abschließend geklärt

# Hämophilie ist eine genetisch bedingte Blutgerinnungsstörung, die fast ausschließlich Männer betrifft



## Erbkrankheit

Hämophilie ist eine genetisch bedingte Blutgerinnungsstörung, bei der die Patient/innen nicht genügend Gerinnungsfaktoren produzieren.<sup>1,2</sup>

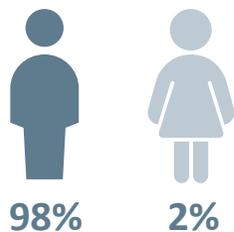


## Spontane und verlängerte Blutungen

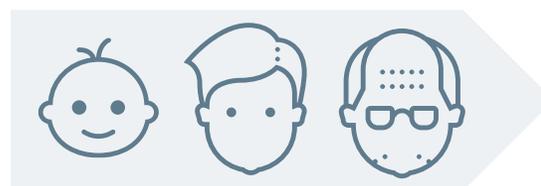
Hämophilie führt zu verlängerten Blutungen nach Verletzungen oder Operationen sowie zu spontanen Blutungen, insbesondere in Gelenken und Muskeln. Patienten sind in Ihrem Leben eingeschränkt und müssen sich selbst vor kleinen Verletzungen schützen.<sup>1,2</sup>



**Seltene Krankheit**  
1 von 4.000 männlichen Geburten<sup>3</sup>



**Geschlechterspezifisch**  
Hämophilie betrifft fast ausschließlich Jungen und Männer.<sup>4</sup>



**Lebenslange Krankheit**  
Die Patienten werden als Neugeborene diagnostiziert und leiden ihr Leben lang an Hämophilie.<sup>1</sup>

## Subtypen<sup>3</sup>



**Hämophilie A**  
Nicht genügend Gerinnungsfaktor VIII



**Hämophilie B**  
Nicht genügend Gerinnungsfaktor IX

# Blutungen bei Hämophilie-Patienten können je nach Lokalisation zu chronischen und akuten Problemen führen

## Blutungen ohne Fremdeinwirkung<sup>1</sup>



### HIRNBLUTUNGEN

*Lebensgefahr durch intrakranielle Blutungen*



### GELENKBLUTUNGEN

*Verkrüppelung und Schmerzen durch Ausbildung von Arthrose*



### MUSKELBLUTUNGEN

*Chronische Schmerzen und Bildung von „Pseudotumoren“*



#### Blutungen verursachen Schmerzen

„86% der Patienten geben an, dass ihre Schmerzen die Alltagsaktivitäten beeinträchtigen. Dabei beurteilten 7% die Schmerzen als extrem, 13% als ziemlich stark.“<sup>2</sup>

*- Bericht aus Haemevolution, CSL Behring*



## Verletzungsbedingte Blutungen<sup>1</sup>



### VERLETZUNGEN

*Akute Lebensgefahr durch Blutungen bei Verletzungen und Operationen*



#### Patienten haben Angst vor Blutungen

„Mehr als ein Drittel der Hämophilie-Patienten leiden an Ängsten und/oder Depressionen.“<sup>2</sup>

*- Bericht aus Haemevolution, CSL Behring*



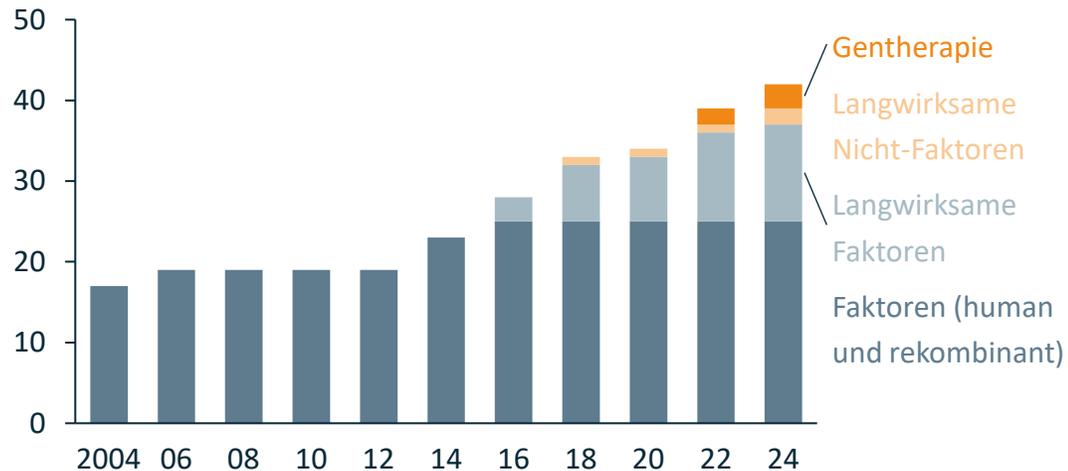
1. Witkop M. et al., American Journal of Hematology (2015) (☞ zggf. Dez. 2024)

2. Haemrevolution.de (☞ zggf. Dez. 2024)

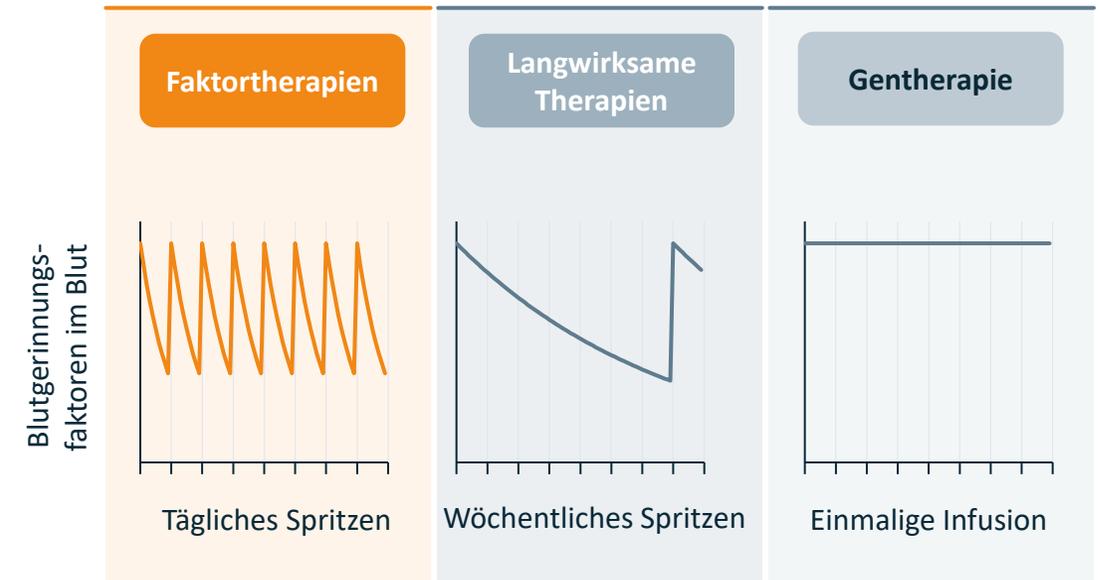
# Nach mehr als 20 Jahren intensiver Forschung können heutige Therapien eine Blutgerinnung stabiler kontrollieren und Patienten damit ein normaleres Leben ermöglichen

## Neue Gerinnungspräparate

Anzahl zugelassener Arzneimittel für Hämophilie  
(2004 bis 2024)



## Verbesserte Wirkdauer



### Gerinnungspräparate sind das Resultat enormer Investitionen

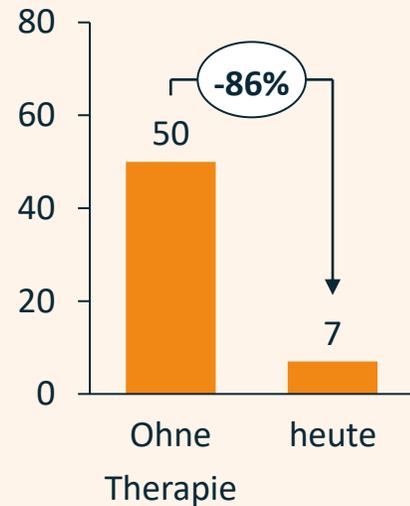
Weltweit haben Pharmaunternehmen seit 1990 über 340 klinische Studien mit 18.000 Patienten durchgeführt, um diese Hämophilie Therapien zu entwickeln.<sup>1</sup>

*Langwirksame Faktor- und Nichtfaktortherapien erlauben es die Blutgerinnung einfacher und stabiler zu regulieren.*

# Moderne Gerinnungspräparate haben die Mortalität und Morbidität deutlich gesenkt

## Mortalität

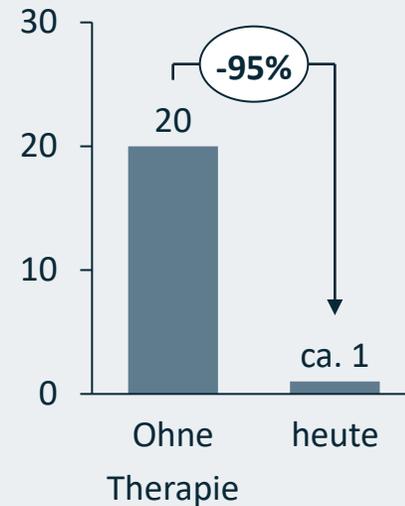
Verlorene Lebensjahre<sup>1,2</sup>



*Hämophilie-Patienten leben heute fast so lange wie ihre Mitmenschen*

## Morbidität

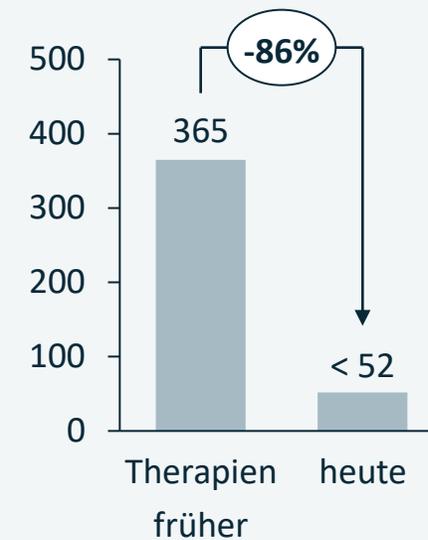
Spontane Blutungen pro Jahr<sup>3-6</sup>



*Hämophilie-Patienten haben heute deutlich seltener spontane Blutungen*

## Behandlungsfrequenz

Applikationen pro Jahr<sup>6</sup>



### **Applikationsfrei durch Gentherapien**

*Im Vergleich zu klassischen Therapien müssen die meisten Patienten nach einer Gentherapie sich nicht mehr spritzen – wie lange der Effekt anhält ist noch nicht abschließend geklärt*

1. Young Hematology American Society Hematology Education Program (2012), 2. Hassan et al., J Thromb Haemost. (2021), 3. Cuker et al., NEJM (2024), 4. Mahlangu et al, NEJM (2018), 5. Islam et al., Orphanet Journal of Rare Disease (2022), 6. Fortschritt durch langwirksame Gerinnungsfaktoren, nicht-Faktor Therapien und Gentherapien

# Durch moderne Gerinnungspräparate können Patienten heute voll am Leben teilnehmen und sogar professionell Sport ausüben

## Früher

workers,<sup>27</sup> but were limited to the countries of origin. During my childhood, occasional plasma transfusion, not necessarily aligned to bleeding episodes, was the only treatment in Malta. Otherwise, early compression bandaging of the afflicted joint and rest, followed by physiotherapy, were the mainstay of managing my and my brother's joint bleeds. My brother had a considerably less severe phenotype but suffered a fatal cerebral haemorrhage at the age of 8 years. After this tragic event, I was, more than ever, not allowed to be a "very active child".

Auszug aus einem Bericht von Hämophilieüberlebenden<sup>1</sup>

– **Albert Farrugia** ist Hämophilie Experte und hat selbst Hämophilie B. Nach dem Tod seines Bruders in den 1950ern durfte er nicht mehr ‚ein aktives Kind‘ sein.

## Heute



'So with that, the mother saw that I was just like everyone else. I just needed to make sure my medication came with me. It made her realise that if I was not being treated any differently in an elite-level sport that actually has quite a high risk of me bleeding, why should her kid be treated differently? That's the most powerful thing that I've done.'

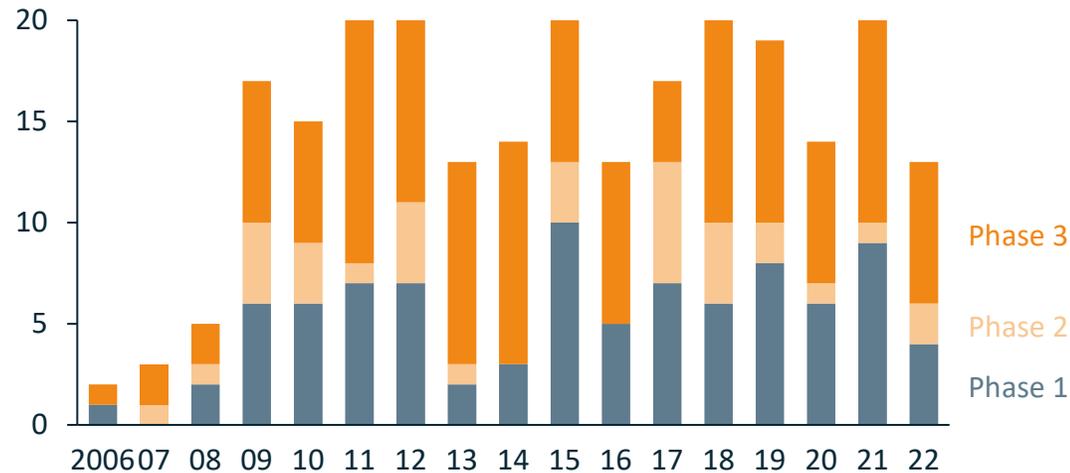
Auszug aus Alex Dowsett's Interview mit Cyclist (UK)

– **Alex Dowsett**, hat Hämophilie. Er ist professioneller Radfahrer und hält den Rekord für die längste gefahrene Distanz innerhalb von einer Stunde.

# Es werden weiterhin Gerinnungspräparate entwickelt – der Fokus liegt dabei auf Medikamenten, die die Lebensqualität von Patienten weiter verbessern

## Klinische Studienlandschaft

Start klinischer Studien im Bereich Hämophilie pro Jahr (2006 bis 2022)<sup>1</sup>



Bei den meisten in der Entwicklung befindlichen Therapien handelt es sich um lang wirksame Faktor- und Nicht-Faktor-Therapien. Auch weitere Gentherapien werden erforscht.

i

## Visionen der Wissenschaftler

### Bessere Gerinnungspräparate sind der nächste Schritt

„Die nächste Generation an Nicht-Faktor und Faktor-Therapien zielt darauf, die Gerinnungsfaktoren stabil zu halten. So können Patienten besser am Leben teilnehmen, z.B. beim Sport oder in der Arbeit.“<sup>2</sup>

- Forscher des Christian Medical College

### Heilung der Hämophilie für alle Patienten

„Unser Ziel ist es, dass Gentherapie ein routinemäßiger Bestandteil der Hämophilie-Behandlung wird und den Patienten ein Leben ohne die ständige Belastung durch ihre Krankheit ermöglicht.“<sup>3</sup>

- Forscher des Children's Hospital in Philadelphia



Diese Folien wurden von Vintura für  
den LAWG Deutschland e.V. erstellt



**Jan-Philipp Beck**  
*Partner*  
[jpbeck@vintura.com](mailto:jpbeck@vintura.com)  
+49 176 303 26729  
[in](#) [Jan-Philipp Beck](#)



**Dr. Ann-Sophie Kuschel**  
*Principal Consultant*  
[askuschel@vintura.com](mailto:askuschel@vintura.com)  
+49 173 715 8450  
[in](#) [Ann-Sophie-Kuschel](#)



**Dr. Silvia Rohr**  
*Principal Consultant*  
[srohr@vintura.com](mailto:srohr@vintura.com)  
+49 173 715 8480  
[in](#) [Silvia Rohr](#)



**Dr. Severin Schink**  
*Senior Consultant*  
[sschink@vintura.com](mailto:sschink@vintura.com)  
+49 173 715 8444  
[in](#) [Severin Schink](#)