

03. April 2018

---

## Hämophilie A mit Hemmkörpern: Neuer bispezifischer Antikörper ersetzt Faktor VIII

**Ein Problem bei der Substitution mit Faktor VIII-Präparaten besteht darin, dass sich etwa bei jedem dritten Patienten neutralisierende Antikörper bilden - Hemmkörper, die die Wirkung der Therapie aufheben. Die Lösung: Ein bispezifischer Antikörper namens Emicizumab.**

Dieser übernimmt die Funktion von Faktor VIII, indem er mit seinen beiden Armen die Faktoren IXa und X bindet und es so ermöglicht, dass die Gerinnungskaskade weiter abläuft. Weil er aber selbst keinerlei Ähnlichkeit mit dem Faktor VIII-Protein hat, wird er von den Hemmkörpern seinerseits nicht erkannt und kann seine Wirkung ungestört entfalten. So erklärte Prof. Dr. Johannes Oldenburg, Bonn, den Wirkmechanismus von Emicizumab (Hemlibra®), das ab sofort verfügbar und für die Routineprophylaxe von Blutungsereignissen bei Patienten mit Hämophilie A und Faktor VIII-Hemmkörpern indiziert ist. Gegen Emicizumab selbst wurde in keiner der zulassungsrelevanten Phase III-Studien eine Bildung von Inhibitoren beobachtet. Die Studien hatten bei erwachsenen Patienten mit Hämophilie A und Hemmkörpern eine Reduktion der jährlichen Blutungsrate um 87% und bei Kindern um 99% gezeigt. Vor Studienbeginn hatten die Teilnehmer ByPass-Medikamente erhalten. Die Therapie wurde gut vertragen; die meisten unerwünschten Ereignisse waren milde Reaktionen an der Injektionsstelle (1,2). Nach Einschätzung von Oldenburg ist die Prophylaxe damit vergleichbar effektiv wie eine reguläre Faktor VIII-Prophylaxe bei Patienten ohne Hemmkörper.

Das neue Medikament ermöglicht in der Erfahrung von Dr. Carmen Escuriola Ettingshausen, Mörfelden-Walldorf, eine deutliche Entlastung der Patienten und ihrer Angehörigen. Zwar lassen sich die Hemmkörper bei der Mehrheit der Patienten durch eine Immuntoleranztherapie überwinden, aber diese dauert meist Jahre und stellt eine erhebliche Belastung dar - und ein Erfolg ist nicht garantiert. Diese Patienten waren bislang auf ByPass-Medikamente angewiesen. In der Praxis bedeutete dies häufige Infusionen von großen Volumina mit langen Infusionszeiten, aber trotzdem nur einen suboptimalen Schutz vor Blutungen. Emicizumab wird einmal wöchentlich subkutan injiziert. „Durch die neue Therapie können alle Beteiligten ein Stück Freiheit und einen beträchtlichen Teil an Lebensqualität hinzugewinnen“, so Escuriola Ettingshausen.

Anne Benckendorff

Quelle: Pressekonferenz „Hemlibra® - Eine neue Option für die Therapie der Hämophilie A“ am 21. März 2018 in Frankfurt am Main; Veranstalter: Chugai und Roche

### Literatur:

(1) Oldenburg J et al. *New Engl J Med* 2017; 377: 809-818

(2) Young G., *OC 24.1, ISTH 2017*