

HÄMOVISION

LEBEN MIT HÄMOPHILIE

Gentherapie:

Neuer Ansatz zur
Behandlung der
Hämophilie



HÄMOPHILIE UND SCHMERZ TEIL 3 | [Tipps aus der Hausapotheke](#)

DIE ELEKTRONISCHE PATIENTENAKTE | [Wie funktioniert sie, warum ist sie sinnvoll?](#)

ERFAHRUNGSBERICHT | [Hämophilie mit Hemmkörpern, Schmerzen und Knie-OP](#)



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!

Genetisch bedingte Erkrankungen heilen zu können, ist eines der großen Ziele moderner Medizin. Doch das Thema ist komplex und um den Eingriff in das menschliche Erbgut sicher zu gestalten, gilt es vieles zu beachten. Inzwischen gibt es große Fortschritte in diesem Bereich und im August dieses Jahres wurde die erste Gentherapie für Hämophilie-Patienten zugelassen. Ein Meilenstein in der Therapie von Gerinnungsstörungen und ein großer Schritt Richtung Zukunft. Wie die Therapie funktioniert, welche Risiken damit verbunden sind und warum sie längst nicht für alle Hämophilie-A-Patienten in Frage kommt, darüber sprachen wir mit PD Dr. Robert Klamroth.

Ein weiterer Schritt in Richtung digitale Zukunft wird mit der elektronischen Patienten-Akte (ePA) erfolgen, die wir ab Seite 16 erklären.

Außerdem in dieser Ausgabe: Ein Gastbeitrag aus dem Institut für Gesundheits- und Pflegewissenschaft an der Charité zur Rolle der Pflegefachpersonen in der Hämophilie. Und an dieser Stelle habe ich eine große Bitte: Wenn Sie, liebe Leserinnen und Leser, Erfahrungen hierzu haben, die Sie mit uns und anderen Lesern teilen würden, freue ich mich über eine E-Mail (siehe rechts).

Ich wünsche Ihnen eine schöne Weihnachtszeit und einen zuversichtlichen Start in ein zufriedenes neues Jahr
Ihre

Tanja Fuchs | Chefredakteurin Hämovision

INHALT

- 4 INFOS & NEUIGKEITEN**
Wissenswertes und Termine für Menschen mit Hämophilie
- 6 TITELTHEMA**
Gentherapie bei Hämophilie
Was muss man wissen, was darf man erwarten, wie geht es weiter?
Interview mit PD Dr. Robert Klamroth
- 14 VORGESTELLT**
IGH – Interessengemeinschaft Hämophiler e.V.:
Arbeit und Projekte der Interessenvertretung
- 16 EPA – ELEKTRONISCHE PATIENTENAKTE**
Wie funktioniert sie, was sind die Vorteile?
Dirk Düvel und Torben Berning erklären die ePA
- 22 VORGESTELLT**
Die Deutsche Hämophiliegesellschaft – DHG:
Arbeit und Projekte der Interessenvertretung
- 24 TEIL 3 DER SERIE HÄMOPHILIE & SCHMERZ**
Tipps aus der Hausapotheke
Mit Wickeln, Auflagen und Salben den Schmerz lindern
- 28 ERFAHRUNGSBERICHT**
Wie Steffen Hartwig mit Hemmkörpern, Schmerzen und OP umgeht
- 30 CHARITÉ-REVIEW**
Die Rolle der Pflege in der Hämophilie

WIR FREUEN UNS ÜBER IHRE POST

Sie wissen etwas über interessante Seminare oder Informationsveranstaltungen zum Thema Hämophilie oder haben einen guten Buchtipp? 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

100.000 Pfund Entschädigung in Großbritannien

Höhere Entschädigungszahlung auch in Deutschland möglich?

In Großbritannien haben 4000 Betroffene sowie Partner bereits verstorbener Opfer des Blutskandals eine vorläufige Schadensersatzzahlung von 100.000 Pfund (119.000 Euro) erhalten. Die BBC-Newsmeldung vom 17. August 2022 hat auch hierzulande Stimmen laut werden lassen, die Entschädigungszahlungen in Deutschland anzuheben und auch die an Hepatitis C erkrankten Opfer kontaminierter Transfusionen zu unterstützen: „Wir nehmen dies zum Anlass, uns über eine mögliche Entschädigungszahlung in Deutschland weiter zu informieren und ggf. tätig zu werden“, schreibt die IGH auf ihrer Website, und hatte ebenso wie die DHG, Kontakt zu Bundesgesundheitsminister Karl Lauterbach aufgenommen.

Am 21. September 2022 hatten die Mitglieder des Verbands der Opfer des Blutskandals (VOB e.V.), gemeinsam mit Stephan Pilsinger (CDU/CSU) zu einem Parlamentarischen Frühstück

eingeladen. Mit dem Ziel, die Reform der „Stiftung Humanitäre Hilfe für durch Blutprodukte HIV-infizierte Personen“ anzustoßen.

Zu den Gästen gehörten Patientenbeauftragte, Abgeordnete der Bundesregierung sowie Experten aus Justiz und Medizin. Auch Vertreter der IGH hatten Gelegenheit, sich zu beteiligen. Michael Diederich, Vorsitzender des Verbands der Opfer des Blutskandals (VOB), verwies auf die prekäre Situation der 500 noch lebenden Geschädigten in Deutschland und appellierte an die Verantwortung des Staates. Der Verband fordert u.a., die Leistungen der „Stiftung Humanitäre Hilfe“ unter Berücksichtigung der Inflationsentwicklung ab 1995 anzupassen.

Ob das britische Vorgehen auch in Deutschland zu höheren Entschädigungszahlungen führt, lässt sich noch nicht absehen.



Das britische Gesundheitssystem ist mit dem deutschen nicht vergleichbar. Während es in Deutschland eine gesetzliche Krankenkasse gibt, deren Beiträge sich nach dem Einkommen richten, sowie parallel dazu ein privates System, wird der National Health Service (NHS) vom Staat finanziert. Möglicherweise nehmen Entscheidungen weniger Umwege als in Deutschland, doch was im Grundsatz der bei uns diskutierten Bürgerversicherung ähnelt, bedeutet vielfach Einbußen bei der Behandlungsqualität.

Ihre Meinung zählt!

Aufruf zur Teilnahme

Das Marktforschungsunternehmen AplusA führt eine Studie durch, in der Menschen mit Hämophilie befragt werden. Von einem pharmazeutischen Unternehmen als Sponsor initiiert und finanziert, zielt die Studie darauf ab, Wahrnehmungen und Erwartungen in Bezug auf die Behandlung zu verstehen. Sie soll helfen, die medikamentöse Therapie der Hämophilie noch besser an Bedürfnisse und Wünsche Betroffener anzupassen. Die Umfrage nimmt etwa 20 Minuten in Anspruch und sollte ohne Unterbrechung erfolgen. Hier geht's zur Teilnahme:

<https://ogy.de/Studie2022>

VHA-Tagung in Berlin

Gute Versorgung von Patienten im Mittelpunkt

Um allen Patienten nach dem Inkrafttreten des GSAV im September 2020 weiterhin eine qualitativ hochwertige und sichere Versorgung zu gewährleisten, wurde im Mai desselben Jahres der Verband der Hämophilie-Apotheken (VHA) gegründet. In diesem November 2022 konnten die Mitglieder erstmals in Präsenz in Berlin tagen. Mit dabei waren auch Hämostaseologen, Vertreter der Patientenorganisation IGH sowie der Pharmaindustrie – und der Hämovision. Es ging um Akuttherapie bei der Hemmkörperblutung, um die Notfallversorgung und die Rolle der Apotheken, sowie nicht zuletzt um die Bedürfnisse und Erwartungen von Patienten.

ACTIVE **A**



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



Gestalte Dein Leben mit Hämophilie A selbst!

Mit einer auf Dich abgestimmten Therapie holst Du das Beste aus Deinem Leben raus. Warte nicht länger und sprich jetzt mit Deinem: Hämophilie-Behandler:in über Deine Therapieoptionen.

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

Chugai Pharma Germany GmbH
Lyoner Straße 15
60528 Frankfurt, Deutschland

www.roche.de

www.chugaipharma.de

© 2022

GENTHERAPIE



Gentherapie bei Hämophilie: Keine Heilung, aber eine neue Perspektive

Die Vorstellung, auf die Substitution von Faktorpräparaten überwiegend oder auch ganz verzichten zu können, ist für viele Menschen mit Hämophilie ein wünschenswertes Ziel. Mit der **Zulassung der ersten Gentherapie** in diesem Bereich überhaupt ist dieses Ziel zumindest für einige in etwas greifbarere Nähe gerückt.

Text von **Tanja Fuchs**

Das Medienecho war gewaltig, als die Ergebnisse des Human Genom Project im Februar 2001 in den Fachzeitschriften Science und Nature veröffentlicht wurden. Dabei war die Gensequenzierung für sich nur ein erster Schritt hin zu einer grundlegenden Veränderung unserer Medizin. Denn mit dem Wissen um den Code des Lebens taten sich zahlreiche weitere Fragen auf, und bis das menschliche Genom wirklich umfassend verstanden ist, werden vermutlich noch sehr viele Jahre vergehen. Gleichwohl ist die Entzifferung ein enormer Erfolg für die Grundlagenforschung und hat maßgeblich zur Entwicklung zahlreicher neuer Therapien beigetragen. 21 Jahre nach der „Sensation“ gibt es die erste Gentherapie für Menschen mit Hämophilie A.

INFO

Das Humangenomprojekt

Mehr als zehn Jahre lang waren hunderte von Forschern im Humangenomprojekt damit beschäftigt, das menschliche Genom zu entziffern. Insgesamt 2,7 Mrd. Dollar wurden dabei verschlungen. Großes Erstaunen mischte sich mit grenzenloser Begeisterung und nicht weniger Besorgnis über die nun möglich werdenden Eingriffe ins Erbgut. Es folgten Prognosen aus verschiedensten Ecken, die in alle möglichen Richtungen gingen.



GENTHERAPIE

Bauplan des Menschen

Was wir sicher wissen ist, dass Gene den Bauplan des Menschen darstellen und dass dieser (bei uns Menschen) aus ca. 25.000 Genen besteht. Als Träger von Erbinformation befinden sich Gene in jeder menschlichen Zelle und vermitteln dieser die Informationen und Anweisungen etwa für den Aufbau von Proteinen. Dazu gehören auch die Gerinnungsfaktoren.

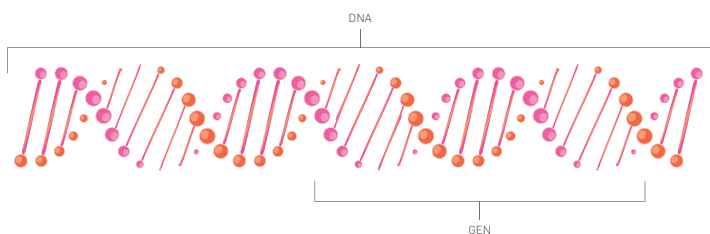
Mutation im X-Chromosom

Der menschliche Organismus besitzt zwei Arten von Geschlechts-Chromosomen: Das X-Chromosom und das Y-Chromosom. Während jede Körperzelle der Frau – neben den in beiden Geschlechtern gleichen 44 Chromosomen (Autosomen) – zwei X-Chromosomen als Geschlechts-Chromosomen besitzt, enthalten die Körperzellen des Mannes ein X- und ein Y-Chromosom.

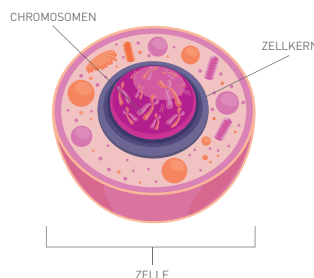
Die Erbinformation für die Bildung der Gerinnungsfaktoren VIII und IX liegt auf den X-Chromosomen. Ein einziges intaktes X-Chromosom ist dafür ausreichend. Trägt bei Frauen eines der beiden X-Chromosomen eine Mutation, kann das zweite, gesunde X-Chromosom ausgleichen. Beim Mann hingegen, der nur ein einziges X-Chromosom hat, führt eine Mutation zum Fehlen der benötigten Gerinnungsfaktoren.

Hämophilie ist aufgrund der monogenen Vererbung und der Tatsache, dass selbst minimale Steigerungen der Gerinnungsfaktoraktivität die Lebensqualität erheblich verbessern können, ein optimales Ziel für gentherapeutische Ansätze.

(Doshi BS & Arruda VR. Ther Adv Hematol. 2018;9(9):273–293. Zitiert nach Factsheet Biomarin)



Unsere DNA ist in Chromosomen verpackt, die jeweils Hunderte bis Tausende von bekannten Genen enthalten. Die Chromosomen liegen tief im Zellkern (Nukleus), der Schaltzentrale für die Zellen in unserem Körper. Gene, die sich in den Chromosomen befinden, geben dem Körper Anleitungen zur Herstellung von Proteinen, die uns unsere einzigartigen Eigenschaften verleihen.



INFO

Roctavian® (Valoctocogen Roxaparvovec) ist zugelassen zur Therapie der schweren Hämophilie A bei Erwachsenen, die keine Faktor-VIII-Inhibitoren in der Vorgeschichte hatten und bei denen keine Antikörper gegen das Adeno-assoziierte Virus vom Serotyp 5 (AAV5) nachweisbar sind.

Angesichts hoher Wirksamkeit sowie Sicherheitsdaten, die über einen Zeitraum von mindestens zwei Jahren für alle Patienten vorliegen,¹ erteilte die Europäische Kommission am 24.08.2022 BioMarin die europaweite Zulassung für Roctavian®. „Durch die Gentherapie, die nachweislich zu einer erheblichen und anhaltenden Verringerung der Blutungen führt, ist davon auszugehen, dass die in Frage kommenden Patienten für einige Jahre von der Last regelmäßiger Prophylaxebehandlungen befreit werden können“, resümierte Prof. Dr. Wolfgang Miesbach, Leiter der Abteilung für Gerinnungsstörungen und des Hämophiliezentrums des Universitätsklinikums Frankfurt am Main.²

(Quelle: PI BIOMARIN; ¹Roctavian® (Valoctocogene Roxaparvovec). Summary of Product Characteristics. BioMarin International Limited 2022

²Digitale Launch-Presskonferenz „Neue Perspektive: Roctavian®“ Erste Gentherapie für Erwachsene mit Hämophilie A“, 14.09.2022)

Gentransfer: Vielversprechend – aber (noch) nicht für alle

Die Idee, bei genetisch bedingten Erkrankungen das Erbgut zu reparieren, etwa indem man Gene mit den benötigten Informationen in die betreffenden Zellen einschleust, gibt es Dr. Klamroth zufolge schon lange. Genau das passiert nun bei der ersten zugelassenen Gentherapie für Menschen mit Hämophilie A. Via Gentransfer bringt man das Gen für das fehlende Protein mit dem für die Produktion des Gerinnungsfaktors erforderlichen Code in jene Zellen, die dafür verantwortlich sind – die Leberzellen. Diese werden so in die Lage versetzt, den Gerinnungsfaktor herzustellen.

Klingt vielversprechend, doch es gibt ein „Aber“: Längst nicht alle Patienten erfüllen die Voraussetzungen, um von der Therapie profitieren zu können. Und: Jene, die es tun, müssen sich im Vorfeld mit einigen Umständen und Unbekannten vertraut machen, um eine Entscheidung treffen zu können, die auf realistischen Erwartungen basiert.

Was muss man wissen, was ist vor und nach einer Therapie wichtig und was bringt die Zukunft? Um diese und ähnliche Fragen geht es im Interview mit PD Dr. Klamroth ab Seite 10.

WE SEE AN ACTIVE LIFE IN EVERY LIFE

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

»Mit der Teilung der Zellen gehen die Informationen verloren.«

INTERVIEW



mit **Priv. Doz. Dr. med. Robert Klamroth**,
Chefarzt der Klinik für Innere Medizin –
Angiologie und Hämostaseologie, Zentrum
für Gefäßmedizin, Hämophiliezentrum (HCCC)
am Vivantes Klinikum im Friedrichshain, Berlin

Herr Dr. Klamroth, seit August 2022 ist mit Roctavian die erste Genterapie zugelassen. Wie reagieren Ihre Patienten, gibt es verstärkt Nachfragen?

Das Interesse war bereits vorher da. Es wurde ja im Vorfeld schon berichtet und dadurch, dass unser Zentrum auch an verschiedenen Studien hierzu teilgenommen hat, haben wir mit vielen Patienten bereits vor der Zulassung darüber gesprochen. Ich denke aber, dass es mit der Zulassung in der allgemeinen Hämophilie-Community verstärkt zu Nachfragen kommt.

Durch Ihre Teilnahme an Studien haben Sie ja direkt Patienten, die die Genterapie erhalten haben, betreut. Wie ist Ihr Eindruck, wie würden Sie die Genterapie bewerten, ist das eine gute Sache?

Wenn es funktioniert, ist es eine sehr gute Sache. Aber es ist schwierig vorauszusagen, bei wem und wie gut es funktioniert. Das war in den Studien sehr unterschiedlich.

Könnte es passieren, dass ein Patient die Genterapie erhält, ohne dass diese dann überhaupt wirkt?

Beim überwiegenden Anteil der Patienten zeigt die Therapie schon Wirkung, aber es kommt vor, dass der Effekt sich darauf reduziert, dass aus einer schweren Hämophilie eine mittelschwere wird. Das heißt, dass man in bestimmten

Situationen durchaus noch ein Faktorpräparat benötigt. Darüber hinaus kommt es vor, dass der Faktorspiegel relativ schnell wieder abfällt, so dass man nach bereits zwei Jahren wieder da ist, wo man vor der Genterapie war.

Und es gibt keine Möglichkeit, z.B. eine Art Biomarker, mit der sich voraussagen lässt, ob und wie die Genterapie wirken wird?

Nein, das lässt sich für den einzelnen Patienten nicht vorhersagen.

Nun erfüllt längst nicht jeder Patient alle Voraussetzungen, um diese Therapie überhaupt erhalten zu können. Welche Grundvoraussetzungen muss der Patient mitbringen?

Er muss mindestens 18 Jahre alt sein, darf keinen Hemmkörper gegen Faktor VIII haben, die Leber sollte gesund sein und er sollte keine lebertoxischen Medikamente nehmen müssen. Außerdem – das ist ganz wichtig: Er darf keine Antikörper gegen das in der Therapie verwendete Vektor-Virus (AAV5) haben.

Dafür muss ein Antikörpertest durchgeführt werden, richtig? Wenn ein Patient sich für die Genterapie entschieden hat, könnte es also sein, dass das Testergebnis ihm einen Strich durch die Rechnung macht. Besteht die Möglichkeit, den Antikörpertest vorher, evtl. beim Hausarzt, zu machen, um ggf. die Entscheidungsfindung zu erleichtern?

Das Problem ist, dass der AAV5-Antikörper-Test komplex ist und an das gentherapeutische Produkt gekoppelt ist, er kann nur in einem spezialisierten Labor durchgeführt werden. Die Kosten dafür werden vom Hersteller des Gentherapeutikums übernommen.

In unserem Setting würden wir den Test aber relativ früh machen. Bei jedem Patienten, der Interesse hat und die Grundvoraussetzungen erfüllt, würden wir nach dem ersten Informationsgespräch tatsächlich erst einmal den Test durchführen, damit der Patient Gewissheit hat und sich nicht umsonst in den mitunter schwierigen Prozess der Entscheidungsfindung begibt.

Wie viele Patienten haben Antikörper gegen AAV5?

In Deutschland sind das etwa 30 Prozent.

Auch die Lebergesundheit spielt eine Rolle, ältere Patienten, die sich bereits einmal mit dem Hepatitis-C-Virus infiziert haben, sind also auch ausgeschlossen?

Nicht bei allen ist die Leber durch HCV in Mitleidenschaft gezogen worden, sie wären also durchaus geeignet, sofern die Hepatitis C erfolgreich behandelt wurde. Die Leberwerte werden aber selbstverständlich immer überprüft.

Die Nachbeobachtungen der Studien zeigen, dass der Faktorspiegel irgendwann wieder abfällt, im Durchschnitt ist das nach 3–10 Jahren der Fall. Dann muss erneut supplementiert werden. Oder könnte man nach dieser Zeit erneut die Gentherapie durchführen?

Mit dem gleichen Produkt – nein. Nach der Infusion entwickeln die Patienten eine starke Immunreaktion. Auch wenn es sich um eine Gentherapie handelt, ist es, einfach ausgedrückt, eine Infektion mit Viren, und der Körper entwickelt Antikörper. Wir denken aber schon, dass sich in den kommenden Jahren noch weitere Formen der Gentherapie mit anderen Vektoren entwickeln werden, aber für diese jetzt zugelassene Therapie ist nach einer einmaligen Anwendung Schluss.

Warum geht die Wirkung verloren?

Das Virus dockt an die Leberzellen an, speist die genetische Information ein und die Virushülle wird abgebaut. Die Reste der Virushülle werden innerhalb von zwei bis drei Monaten komplett abgebaut. Die genetische Information aber ver-

In den ersten sechs Monaten nach Erhalt der Gentherapie erfolgt ein engmaschiges Monitoring. Einmal pro Woche wird dem Patienten Blut abgenommen, um insbesondere die Leberwerte zu überprüfen. Sollten diese ansteigen, ist eine Behandlung mit Kortison erforderlich, um die Wirkung der Gentherapie nicht zu gefährden.

GLOSSAR

Die **Expressionskassette** umfasst mind. ein Ziel-Gen, zusätzlich oft ein Marker-Gen, sowie ein Start- (Promotor) und ein Stoppsignal (Terminator) zur Regulation der korrekten Bildung des Genproduktes (Protein oder Peptid).

Hepatozyten sind Leberzellen.

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

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

Tropismus bezeichnet die Fähigkeit eines Virus, eine bestimmte Sorte von Zellen oder bestimmte Gewebe zu infizieren und sich dort zu vermehren.

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

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

Replikationsdefekt: kann sich nicht vervielfältigen.



GENTHERAPIE

Ergebnisse bei den Studien:

Die meisten Studienteilnehmer

- hatten wenig oder keine Probleme bei der Verabreichung der jeweiligen Gentherapie
- konnten wenige Wochen nach der Gentherapie langfristig (bis zu 10 Jahre) auf Prophylaxe verzichten
- hatten einen deutlichen Rückgang der Zahl ihrer traumatischen sowie spontanen Blutungen insgesamt und der Gelenkblutungen

bleibt im Zellkern der Leberzelle. Allerdings nicht im Gen der Leberzelle selbst, sondern episomal – also als kleiner Ring neben der eigentlichen Information. Das hat den Vorteil, dass damit z.B. kein Risiko für die Entstehung von Krebs verbunden ist. Der Nachteil ist, dass die genetischen Informationen durch die Teilung der Leberzellen wahrscheinlich wieder verloren gehen. Aus diesem Grund ist nicht zu erwarten, dass diese Therapie dauerhaft wirksam ist.

Die Verabreichung dauert ungefähr einen halben Tag, richtig? Bedarf es einer besonderen Vorbereitung?

Die Patienten müssen schon sehr früh im Zentrum sein. Denn die Infusion wird erst zubereitet, wenn klar ist, dass der Patient sie auch wirklich erhalten kann. Grund dafür ist, dass sich die Infusionslösung nicht aufheben lässt. Einmal zubereitet, muss sie verabreicht oder entsorgt werden – die Kosten wären hoch.

Die Infusionen selbst sind in den Studien allesamt problemlos verlaufen. Alle 134 Patienten in der Studie mit Roctavian haben die Therapie erhalten. Insgesamt dauert diese zwei bis drei Stunden, anschließend bleibt der Patient noch etwa zwei Stunden zur Nachbeobachtung im Zentrum und kann dann nach Hause.

Gab es überhaupt keine Nebenwirkungen?

Einige Patienten haben über Unwohlsein wie bei einer leichten allergischen Reaktion während der Infusion geklagt. Dann wird die Infusion langsamer gestellt und in der Studie

konnten alle Infusionen erfolgreich beendet werden. Darüber hinaus gab es leichte Reaktionen an der Einstichstelle.

Wer stellt die Infusion her?

Die Apotheke stellt die Lösung aus mehreren Ampullen abhängig vom Gewicht des Patienten her und liefert sie gebrauchsfertig an.

Übernehmen die Krankenkassen die Kosten für die Gentherapie?

Es handelt sich um eine zugelassene, ambulante Therapie und in der Regel übernehmen die Kassen dann die Kosten. Allerdings laufen hier gerade noch Verhandlungen, so dass zu diesem Zeitpunkt die genauen Erstattungsmodelle noch nicht bekannt sind.

Die Kontrolluntersuchungen nach Verabreichung der Gentherapie sind engmaschig. Wie oft müssen die Patienten zur Kontrolle und warum ist das wichtig?

In den ersten sechs Monaten müssen die Patienten einmal pro Woche zur Blutabnahme. Diese muss nicht zwangsläufig im Hämophilie-Zentrum erfolgen, sondern kann nach Absprache auch wohnortnah, z.B. vom Hausarzt übernommen werden. Bei diesen Kontrollen werden insbesondere die Leberwerte geprüft. Wenn wir im Labor einen Anstieg der Leberwerte sehen, bedeutet das, dass eine Immunantwort in der Leber stattgefunden hat. Damit die transduzierten Leberzellen nicht zerstört werden – wodurch die Gentherapie wirkungslos würde – müssen wir hier schnell behandeln. Es gilt, diesen Prozess mithilfe von Immunsuppression zu unterbinden. Hierbei kommt standardmäßig das Kortison Prednisolon zum Einsatz.

Ist das in den Studien häufig vorgekommen?

Ja, das ist tatsächlich bei vier von fünf Patienten der Fall gewesen.

Lässt sich das durch die Kortison-Behandlung immer in den Griff bekommen? Wie lange wird Kortison gegeben und erfolgt die Gabe oral?

Die Behandlung mit Kortison-Tabletten lief in den Studien über drei bis sechs Monate und im Einzelfall auch länger, Sie war in der Mehrzahl der Fälle erfolgreich.

Was müssen die Patienten – neben der zunächst wöchentlichen Laborkontrolle – noch beachten?

Patienten sollten in den ersten sechs bis 12 Monaten alles vermeiden, was die Leber zusätzlich stresst. Dazu gehören z.B. Alkohol und andere Medikamente. Darüber hinaus sollte eine mögliche Familienplanung nicht in diesem Zeitraum

VIDEOTIPP YouTube

Die Gen-Therapie gut erklärt: Im Live-Experten-Gespräch der IGH kommen Hämostaseologen, Studienärzte und eine Psychologin zu Wort und beantworten die wichtigsten Fragen rund um die neue Therapie-Form.

www.youtube.com/watch?v=poEHOoKcs40

erfolgen. In den ersten drei bis sechs Monaten können Viruspartikel in der Samenflüssigkeit enthalten sein, daher ist es unbedingt erforderlich, in dieser Zeit zu verhüten.

Für die Hämophilie B befindet sich ebenfalls eine Gentherapie in der Pipeline, können Sie kurz erläutern, wie diese funktioniert?

Auch hier wird ein AAV5-Vektor als Transporter genutzt, allerdings hat man in den Studien festgestellt, dass die Therapie selbst bei Patienten, die leichte Antikörper gegen den AAV5-Vektor haben, funktioniert. Es wird hier wohl so sein, dass leichte und mittlere Antikörpertiter kein Ausschlusskriterium sind. Darüber hinaus ist es so, dass in den Studien nur einer von fünf Patienten mit Kortison behandelt werden musste. Grund dafür ist, dass hier eine Variante des Faktor IX zum Einsatz kommt, bei der die Menge des benötigten Proteins geringer ist. Dadurch ist nur ein Drittel der Virusmenge

erforderlich und deshalb fällt wahrscheinlich auch die Immunreaktion geringer aus.

Wann wird die Therapie erhältlich sein?

Die Zulassung soll voraussichtlich 2023 erfolgen.

Denken Sie, dass es zukünftig auch für Jugendliche gentherapeutische Optionen geben könnte?

Es ist nicht unrealistisch, dass es für Jugendliche etwa ab einem Alter von 12 Jahren funktionieren könnte. Aber das ist noch Zukunftsmusik, hierfür wären Studien mit Kindern erforderlich, was sich erfahrungsgemäß schwierig gestaltet.

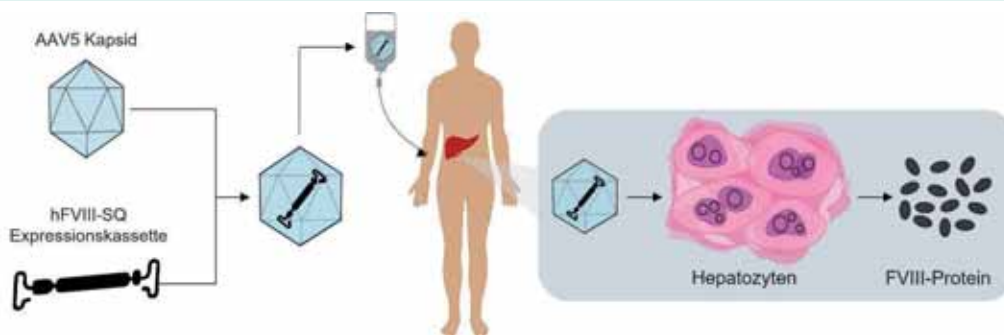
Herr Dr. Klamroth, haben Sie vielen Dank für das Gespräch.

Therapie der Hämophilie durch Gentransfer mit AAV5-Vektoren

Virale Vektoren verfügen über optimale Eigenschaften, die für die **Genübertragung** genutzt werden können. Alle veröffentlichten und derzeit laufenden Studien im Bereich der Hämophilie verwenden Adeno-assoziierte Viren (AAV) als Vektoren. AAV5 ist ein replikationsdefektes Mitglied der Parvovirus-Familie und ist beim Menschen nicht pathogen. (Doshi BS & Arruda VR. *Ther Adv Hematol.* 2018;9(9):273–293. Zitiert nach Factsheet Biomarin)

Mechanismus der Gentherapie mit AAV:

Das Genom des Vektors wird durch das therapeutische Transgen ersetzt, bevor dieser dem Patienten injiziert wird. Ziel sind Leberzellen, wo das Transgen ein Episom im Zellkern bildet.



Gen-Therapie via Gentransfer:

1. Eine funktionsfähige Kopie des mutierten Gens wird im Labor hergestellt.
2. Um die Einbringung des funktionsfähigen Gens in den Körper zu ermöglichen, wird ein Transportvehikel, eine sogenannte Genfähre, aus einem neutralisierten Virus (einem Adeno-assoziierten Virus (AAV)) hergestellt.
3. Wenn sich im Inneren des Transportvehikels ein funktionsfähiges Gen befindet, wird dieses als therapeutischer Vektor bezeichnet. Der therapeutische Vektor ist so konzipiert, dass das funktionsfähige Gen auf ein bestimmtes Gewebe ausgerichtet wird. Im Falle von Hämophilie sind Leberzellen das Ziel, wo das Transgen ein Episom im Zellkern bildet. Der therapeutische Vektor wird in einer großen Menge mittels intravenöser Infusion verabreicht. (Quelle: Infobroschüre BioMarin „Anders lernen. Anders beteiligt werden. HaemDifferently“.)

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

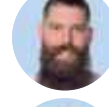
Arzt, Beisitzer im Verwaltungsrat, *medizinische Fragen, Arbeitsmedizin*

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 Finkenberg 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

Save the Date: ab Januar wöchentliches (!) Bewegungstraining für Betroffene mit Gerinnungsstörungen (Infos folgen).

24.-25.02.2023: „Save the Date“ in FFM für ein weiteres neues IGH-Format (Überraschung, Infos folgen)!

11.03.2023: IGH Mitgliederversammlung

22.07.2023 - 05.08.2023: Werbellinsee 2023 Kinder- und Jugenderlebnis als Integrationsfreizeit

15.09.2023 - 17.09.2023: Familienwochenende in Blankenheim/Eifel

<https://www.igh.info/inhalte/termine-und-veranstaltungen.html>

Rettungs- / 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 **Notfallausweis-Generator**, den alle Menschen mit Hämophilie oder vWS, immer bei sich tragen sollten. www.igh.info/notfall



NEU: Praktische Mappe zum Sammeln von Informationen

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



Projekt: Bewegungs- und Prophylaxetraining für Hämophile & vWS-Betroffene. Start 1. Januar 2023 für IGH-Mitglieder

Menschen mit angeborenen Gerinnungsstörungen deutschlandweit eine flächendeckende, regelmäßige und leicht erreichbare Trainingsmöglichkeit bieten zu können, ist das Ziel der Kooperation der IGH mit der Rheuma-Liga. Das durch die IGH geförderte Angebot startet bundesweit für alle IGH-Mitglieder, die dann die vielseitigen, flächendeckenden Ressourcen der Rheuma-Liga nutzen können: Gymnastik, Funktionstraining und Nordic-Walking, Aqua-Cycling und Aqua-Jogging, Bewegungs- & Prophylaxetraining durch geschulte Übungsleiter, Physio-, Ergo- und Sporttherapeuten. Infos über die Geschäftsstelle.



Ampel für Medikamente

Welche Medikamente darf ich oder mein Kind mit Hämophilie/vWS eigentlich 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 jedoch 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

Diese sind auf unserem YouTube-Kanal verfügbar und informieren umfassend über die bestehenden und zu erwartenden Therapien: www.youtube.com/user/ighev

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

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

*Lieferung nur an IGH-Mitglieder

ELEKTRONISCHE PATIENTENAKTE



Die elektronische Patientenakte kurz erklärt:

»In Deutschland haben Patienten die Datenhoheit«

ePA

Was es braucht, um die elektronische Patientenakte (ePA) zu nutzen, welche Vorteile sich dadurch ergeben und wie Hämophilie-Erkrankte von dem Angebot profitieren, das erklären **Dirk Düvel** und **Torben Berning** von den „Wir-leben-Apotheken“ im Interview.

Text von **Verena Fischer**

Einfach immer und überall sämtliche Arztbefunde, Röntgenbilder oder den Impfpass auf einen Klick parat haben und mit Behandlern teilen können – das sind die Vorteile der elektronischen Patientenakte, welche alle gesetzlichen Krankenkassen ihren Versicherten bereits seit dem 1. Januar 2021 kostenfrei zur Verfügung stellen. Seit diesem Jahr gibt es die ePA nun auch für Privatpatienten und es müssen ausnahmslos alle Ärzte dazu in der Lage sein, die elektronische Patientenakte nutzen und befüllen zu können. Wir haben Dirk Düvel, Inhaber der Wir-leben-Apotheken sowie zweiter Vorsitzender des Verbands der Hämophilie Apotheken e.V. (VHA) und Torben Berning, Techniker bei den Wir-leben-Apotheken, gesprochen und gefragt, was Patienten jetzt wissen müssen, um das Angebot erfolgreich nutzen zu können.

Bitte erklären Sie einmal, was zu tun ist, wenn ich die ePA nutzen möchte?

Berning: Es ist so, dass es für jeden Patienten eine elektronische Akte gibt, die zunächst einmal leer ist. Wenn Sie auf diese zugreifen und die ePA nutzen möchten, dann wenden Sie sich im ersten Schritt an Ihre Krankenkasse. Diese stellt Ihnen dann eine App zur Verfügung, über die Sie sich für die elektronische Patientenakte registrieren können. Dafür braucht es zum einen ein relativ modernes Smartphone. Außerdem benötigen Sie eine elektronische Gesundheitskarte und einen PIN, um die Gesundheitskarte zu aktivieren.



Dirk Düvel



Torben Berning

Und woher bekomme ich die elektronische Gesundheitskarte?

Düvel: Es handelt sich bei der elektronischen Gesundheitskarte im Grunde um Ihre Krankenkassenkarte. Wenn Sie allerdings seit Langem keine aktuelle Karte erhalten haben, kann es sein, dass diese noch nicht mit einem sogenannten NFC-Chip ausgestattet ist. NFC steht für Nahfeldkommunikation und einen solchen Chip gibt es beispielsweise auch im elektronischen Personalausweis. Es kann also sein, dass Ihnen zunächst eine aktuelle Krankenkassenkarte per Post geschickt werden muss, bevor Sie sich für die Patientenakte registrieren können. Ihre PIN erhalten Sie übrigens auch per Post.

Verstanden. Ich lade also die App meiner Krankenkasse über den App-Store runter, registriere mich mit Hilfe der Gesundheitskarte, gebe dann die PIN ein und anschließend kann es losgehen?

Berning: Genau. Wenn Sie die App Ihrer Krankenkasse über den App-Store auf Ihr Handy geladen haben, halten Sie als nächstes die elektronische Gesundheitskarte auf Ihr Smartphone und die Daten werden automatisch

ELEKTRONISCHE PATIENTENAKTE

ausgelesen. Die meisten Mobiltelefone können das. Das Prinzip ist das Gleiche wie beim kontaktlosen Bezahlen. Dann geben Sie Ihre PIN ein, registrieren sich mit Ihren Benutzerdaten und danach haben Sie Zugriff auf die zunächst leere Patientenakte.

Kann ich die ePA auch nutzen, wenn ich kein modernes Handy habe?

Düvel: Im Moment leider noch nicht. Das wird sich in Zukunft aber ändern. Denn es sollen Gesundheitskioske aufgebaut werden, die Patienten die nötige Technik dafür zur Verfügung stellen. Bisher ist aber unklar, wann es so weit sein wird.

Wenn ich die ePA auf meinem Handy habe, wie stelle ich es nach der Registrierung an, dass sich meine Akte mit Dokumenten füllt?

Berning: Wenn Sie beispielsweise bei Ihrem Hausarzt sind, können Sie ihm Zugriff auf Ihre elektronische Patientenakte geben und ihm so ermöglichen, Dokumente in Ihre Akte zu laden. Das können beispielsweise Laborbefunde sein, Ultraschallbilder, Arztbriefe oder alle weiteren Gesundheitsdaten, die der Praxis über Sie vorliegen. Sie können dann jederzeit darauf zugreifen und die Dokumente auch mit anderen Behandlern teilen.

Wer hat alles Zugriff auf die Dokumente in meiner Patientenakte?

Berning: Erst einmal nur Sie. Sie allein können entscheiden, wer welche Dokumente ansehen darf und

wer nicht. Mal angenommen, Sie sind bei einem Facharzt und möchten beispielsweise Laborbefunde, die Ihr Hausarzt ermittelt hat, mit dem Facharzt teilen. Dann können Sie Ihrem Facharzt die Berechtigung gewähren, auf Ihre Patientenakte zuzugreifen und die Laborbefunde anzusehen. Das heißt aber nicht, dass der Facharzt automatisch Zugriff auf alle Dokumente in Ihrer Akte hat. Es ist so, dass Sie individuell entscheiden können, welche Inhalte Sie freigeben möchten und welche nicht.

Wem kann ich alles Zugriff auf meine Daten gewähren?

Berning: Jedem, der Mitglied der sogenannten Gematik GmbH ist. Dazu gehören alle Ärzte, Zahnärzte, Krankenhäuser und Apotheken.

Welche Vorteile ergeben sich durch die ePA-Nutzung?

Düvel: Bisher war es ja so, dass Patienten häufig Befunde analog mitgegeben wurden. Wenn Sie beispielsweise beim Radiologen sind, um eine Röntgenaufnahme zu machen, dann bekommen Sie die Bilder mit nach Hause, um diese Ihrem Hausarzt beim nächsten Besuch vorzuzeigen. In der Theorie mag das gut funktionieren, in der Realität gehen solche Bilder aber häufig verloren und müssen dann doppelt gemacht werden. Das lässt sich mit Hilfe der elektronischen Patientenakte vermeiden. Denn mit ihr haben Patienten alle Befunde immer beisammen und können diese jederzeit mit ihren Behandlern teilen. Auch das Gesundheitssystem wird dadurch entlastet. Denn Untersuchungen müssen nicht länger mehrfach gemacht werden, weil beispielsweise ein Röntgenbild im entscheidenden Moment fehlt.



Alles auf einen Klick

Mit der elektronischen Patientenakte können Nutzer ihre Untersuchungsbefunde immer und überall dabei haben. Von Laborwerten über Röntgenbilder bis hin zu Arztbriefen – mit der ePA lassen sich Dokumente einfach dokumentieren und mit Fachärzten auf Wunsch teilen. Dadurch müssen medizinische Untersuchungen nicht doppelt durchgeführt werden und Mediziner wissen, welche Maßnahmen von Kollegen bereits umgesetzt wurden bzw. welche Arzneimittel ihre Patienten einnehmen. Was geteilt wird und mit wem, entscheiden Patienten selbst.

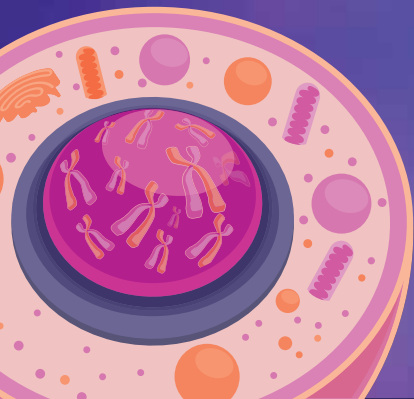
Anders lernen. Anders beteiligt werden. HaemDifferently.

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

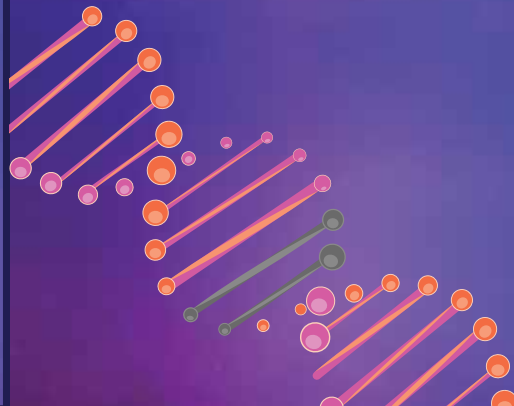
Sprechen Sie uns an oder informieren Sie sich auf:
www.haemdifferently.eu



WAS IST
EIN GEN?



WODURCH WERDEN
GENETISCHE
ERKRANKUNGEN
VERURSACHT?



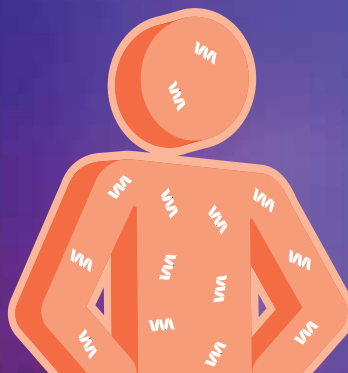
WAS IST
GENTHERAPIE?



WIE
FUNKTIONIERT
GENTHERAPIE?



WAS SIND DIE
ZIELE DER
GENTHERAPIE-
FORSCHUNG?



WAS SIND DIE
RISIKEN DER
GENTHERAPIE?



ELEKTRONISCHE PATIENTENAKTE

Aus Ihrer Sicht: Welche Vorteile sind für Hämophilie-Patienten besonders relevant?

Düvel: Hämophilie-Patienten werden häufig von überregionalen Hämophilie-Zentren betreut und haben gleichzeitig zu Hause noch weitere Behandler. Dazu gehören in der Regel ein Arzt, der die Hämostase-Therapie begleitet sowie ein Orthopäde, der Gelenkbeschwerden therapiert. Auch Schmerz-, Physio- oder Psychotherapeuten sind wichtige Säulen in der Hämophilie-Versorgung. Häufig kommt der Austausch unter den Behandlern zu kurz, was nachteilig für Patienten sein kann. Denn nur wenn beteiligte Ärzte wissen, welche Behandlungen ihre Kollegen bei dem jeweiligen Patienten durchgeführt haben oder welche Medikamente verschrieben wurden, können sie die eigene Therapie harmonisch auf das Gesamtbild abstimmen. Ein weiterer Aspekt sind Kur- und Reha-Aufhalte, die Hämophilie-Patienten unternehmen. Es kann dann sehr praktisch sein, sämtliche Gesundheitsdaten schnell und unkompliziert mit der Einrichtung teilen zu können.

Kann ich eigentlich auch selber Dokumente in der ePA hochladen?

Berning: Das ist kein Problem. Wenn Sie aus der Vergangenheit noch Röntgenbilder, Arztbriefe oder andere Dokumente haben, können Sie diese einfach abfotografieren, in der Akte ablegen und, wenn Sie möchten, mit Ihrem Arzt teilen.

In anderen Ländern gibt es elektronische Patientenakten schon viel länger, oder?

Berning: Das stimmt, vor allem Skandinavien hat hier eine Vorreiterfunktion. In Schweden gibt es die ePA beispielsweise schon seit mehr als 20 und in Dänemark auch schon seit über 15 Jahren. Die frühere Regierung in Deutschland hat sich das sehr genau angeschaut und entschieden, dass wir das hier auch brauchen. Eigentlich sollte die ePA hierzulande dann schon vor zehn Jahren über ein Telekom-Projekt eingeführt werden. Es gab aber immer wieder Hindernisse hinsichtlich des Datenschutzes.

Unterscheidet sich die deutsche ePA von ihren skandinavischen Vorbildern?

Berning: Auf jeden Fall. Bei uns hat der Patient die Hoheit über sämtliche Daten in der Akte. In Skandinavien kann man nur entscheiden, ob man die ePA haben

möchte oder nicht. Hat man eine, haben sämtliche Ärzte automatisch vollen Zugriff auf alle Inhalte. In Deutschland wird seit zehn Jahren darüber diskutiert, ob Patienten allein entscheiden sollen, was gespeichert wird und was nicht und daraus ist nun ein sehr komplexes Speichermedium entstanden, welches ermöglicht, dass man Vollzugriff, Teilzugriff oder auch nur für ganz bestimmte Dokumente Zugriff erteilen kann. Das hat den Vorteil, dass man frei entscheiden kann und den Nachteil, dass man selbst aktiv mehr tun muss.

Kann es denn sinnvoll sein, bestimmte Inhalte quasi geheim zu halten?

Es ist natürlich sehr verständlich, dass Patienten manche Befunde nicht mit jedem teilen wollen. Nehmen wir mal an, es hat bei jemandem beispielsweise einen Suizidversuch im Alter von 17 Jahren gegeben. Dann würde dieser in der skandinavischen Akte für immer einzu- sehen bleiben. In Deutschland ist das anders. Man muss aber sagen, dass es für die Behandlung immer besser ist, wenn Ärzte möglichst alle Befunde einsehen können.

Stichwort Datensicherheit. Besteht das Risiko, dass Unbefugte meine ePA anschauen?

Berning: Nein, das Risiko sehe ich nicht. Das Sicherheitskonzept ist sehr gut, auch weil die Daten nicht im Internet gespeichert werden. Es handelt sich bei der Telematik um eine ganz eigene Plattform. Auch der Mechanismus beim Einloggen ist komplex. Sie können das etwa mit Online-Banking vergleichen. Da gibt es ja auch eine Mehrfaktor-Authentifizierung. Also bei der ePA benötigen Sie nicht nur Ihre Zugangsdaten, sondern noch Ihre PIN, Ihre Gesundheitskarte und Ihr Mobiltelefon. Nicht mal die Krankenkassen selbst dürfen einfach auf die ePA-Inhalte zugreifen.

Wird die ePA in Zukunft noch weitere Funktionen erhalten?

Berning: Ja, die Patientenakte soll immer mehr erweitert werden. Beispielsweise kann es in Zukunft so sein, dass es eine Funktion geben wird, die, im Falle eines Unfalls, Notärzten Zugriff auf relevante Patientendaten ermöglicht. Bei Hämophilie-Erkrankten sind diesbezüglich Gerinnungsmedikationen sowie die Information über die Grunderkrankung von Bedeutung.





Bayer

Aus Erfahrung Ihr starker Partner

in der Hämophilie A-Therapie

Heute können die **meisten Betroffenen ein von der Hämophilie weitgehend unbeschwertes Leben führen** – etwas, das vor nicht allzu langer Zeit noch unvorstellbar war.

Als forschendes Pharmaunternehmen sind wir stolz darauf, **unseren Beitrag zu dieser wichtigen Entwicklung geleistet zu haben**: mit Forschung, Innovation und Produkten, die stetig weiterentwickelt werden.

Mit Engagement in allen Bereichen, die **zu einer verlässlichen Versorgung und guten Lebensqualität beitragen**. Und nicht zuletzt mit einer Vielzahl an Services, die den Alltag ein bisschen unbeschwerter machen.

Entdecken Sie mehr auf:
www.faktorviii.de



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!

03.12.2022: Regionaltagung Thüringen, Erfurt

03.12.2022: Adventskegeln, Hamburg

24.01.2023: Online-Reihe: Faktortherapie und Individualprophylaxe

06.02.2023: Online-Reihe: Faktoren mit verlängerter Halbwertszeit

01.03.2023: Online-Seminar: Schule & Kindergarten mit Gerinnungsstörungen

15.03.2023: Online-Reihe: Antikörper-Behandlung

25.03.2023: Regionalveranstaltung Hamburg/Schleswig-Holstein, Hamburg

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

24.-25.06.2023: Wochenende für Väter und Söhne, Tübingen

14.-16.07.2023: Wochenende für Familien, Althütte

29.7.-06.08.2023: Kinderfreizeit, Vöhl am Edersee

25.-27.08.2023: Paddelwochenende, Burg (Spreewald)

20.-22.10.2023: Eltern-Kind-Wochenende, Heubach (Thüringen)

Nähere Informationen zu den einzelnen Veranstaltungen finden Sie im Terminkalender auf unserer Homepage 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

TERMIN:

1. März 2023, 18.00 Uhr



SCHULE & KINDERGARTEN MIT GERINNUNGSSTÖRUNG

Unwissenheit sorgt für Ängste. Ihr Kind mit Gerinnungsstörung beginnt den Kindergarten oder die Schule bzw. hat einen Lehrerwechsel. Von seiner Krankheit hat dort noch niemand etwas gehört. Oder wenn, dann nur in Verbindung mit besorgniserregenden Folgen.

Die Betreuer möchten nichts falsch machen? Fragen sich, wie sie bei Verletzungen reagieren müssen? Ob sich ein Kind mit Blutungsneigung in die Gruppe und geplante Aktivitäten integrieren lässt?

Dieses Seminar richtet sich an Erzieher, Lehrer und Betreuungskräfte, die ein Kind mit Gerinnungsstörung in ihrer Obhut haben. Wir möchten sie mit wichtigen Informationen und Tipps in ihrem Berufsalltag unterstützen und stärken.

Flyer zur Weitergabe an Ihre Betreuungskräfte erhalten Sie bei Bedarf über unsere Geschäftsstelle.

Kontakt & Anmeldung: susanne.zech@dhg.de

HÄMOPHILIE-THERAPIE heute, morgen & übermorgen

Glücklicherweise haben wir heutzutage eine große Auswahl an Behandlungsmöglichkeiten der Hämophilie. Und noch mehr Möglichkeiten sind bereits in der Forschung oder in Studien. Je nach Lebenssituation, Gesundheitszustand, Venenverhältnissen oder persönlichen Vorlieben kann die Lebensqualität durch die passende Prophylaxe noch weiter verbessert werden.

Wir möchten Ihnen die volle Bandbreite der Behandlungsmöglichkeiten aufzeigen und Sie über Hintergründe, Vor- und Nachteile informieren, damit Sie sich gemeinsam mit Ihrem Behandler für die zu Ihnen passende Therapie entscheiden können. Auch für Fragen und Erfahrungsaustausch rund um das Thema Therapiemöglichkeiten ist unsere Online-Seminar-Reihe eine gute Gelegenheit.

THEMEN & TERMINE:

Faktortherapie und Individualprophylaxe
24. Januar 2023, 20.00 Uhr

Faktoren mit verlängerter Halbwertszeit
6. Februar 2023, 20.00 Uhr

Antikörper-Behandlung
15. März 2023, 20.00 Uhr

Der Blick in die Zukunft? Genterapie
8. April 2023, 20.00 Uhr



Informationen & Anmeldung:
susanne.zech@dhg.de

Hämophilie und Schmerz **Teil 3**

Tipps gegen Schmerzen aus der „Hausapotheke“

Für viele Hämophilie-Erkrankte sind Schmerzen ein täglicher Begleiter. Um diese zu lindern, gibt es wirksame Medikamente. **Alternativ oder ergänzend** können auch sanfte Methoden für Linderung sorgen. Ein paar bewährte Verfahren aus der Hausapotheke werden nachfolgend vorgestellt:



AUFLAGEN UND WICKEL

Quark, das Allroundtalent

Er enthält Milchsäurebakterien, 10-20 Prozent Eiweiß (davon 80 Prozent Kasein und 20 Prozent Molkenproteine) Fett, Mineralstoffe (Kalium, Phosphor, Natrium, Vit. A, B1, B2, B3) und ist ein echter Alleskönner.

Eine Auflage mit Quark wirkt – insbesondere durch das enthaltene Kasein – entzündungshemmend, abschwellend, schmerzlindernd sowie kühlend und kann dabei helfen, Schwellungen, Prellungen und Rötungen sowie akute Gelenkschmerzen zu vertreiben. Oft schon nach wenigen Anwendungstagen. Wie das funktioniert? Milchsäure und Eiweiß entziehen dem Gewebe Wasser, wodurch die Hautdurchblutung angeregt wird. Die Milchsäurebakterien leiten die Entzündungsstoffe (Bakterien, Viren, Toxine) ab und die feuchte Kälte hat einen abschwellenden und schmerzlindernden Effekt. Die kühlende Wirkung entsteht vor allen Dingen durch die Verdunstung der im Quark enthaltenen Flüssigkeit.

Das braucht man dafür:

- Magerquark – am besten Bio-Qualität, ca. 18 °C (2-3 Stunden vorher aus dem Kühlschrank nehmen!)
Der Quark darf nicht zu kalt sein, da es sonst zu Gefäßkrämpfen kommen kann
- sauberes Geschirrtuch, Komresse oder Küchenpapier
- Messer oder Löffel
- Unterlage/ Nässeschutz (Quark fängt an zu tropfen)

Und so geht's:

Den Quark in einer etwa 0,5 cm dicken Schicht auf das Tuch streichen, das Tuch einschlagen und als Komresse für ca. 15 Minuten auf das Gelenk legen. Bei starken Entzündungen können auch bis zu 3 Auflagen direkt nacheinander gemacht werden. Nach der Anwendung gehört der Quark in die Mülltonne! **ACHTUNG:** nicht auf offene Stellen bringen!

AUFLAGEN UND WICKEL:

Stumpfe Verletzungen mit Arnika behandeln

Die Heilpflanze Arnika wirkt schmerzstillend und entzündungshemmend, fördert die Wundheilung und kann bei Quetschungen, Zerrungen und Blutergüssen an der betroffenen Stelle angewendet werden.

Das braucht man dafür:

- 4 TL Arnika-Blüten (aus der Apotheke)
- 250 ml heißes Wasser
- Leintuch

Und so geht's:

Die Blüten in eine Schüssel geben, das heiße Wasser darüber geben und zehn Minuten bedeckt ziehen lassen. Dann alles durch ein Sieb abgießen. Für kühlende Arnika-Umschläge (wird häufig bei akuten Beschwerden eingesetzt) das Leintuch mit dem abgekühlten (!) Abguss tränken und einmal täglich für zwei Stunden einwirken lassen (dabei das Tuch immer wieder neu eintauchen, weil der Umschlag sonst zu warm wird.)

Für einen wärmenden Umschlag (hilft in der Regel vor allem bei chronischen Schmerzen) das Leintuch mit warmem Abguss tränken und für 30 Minuten auf die betroffene Stelle legen. Warme Arnika-Umschläge können drei- bis viermal am Tag wiederholt werden.

TIPP: Arnika steht unter Naturschutz und ist daher relativ teuer. Da es gerade bei stumpfen Verletzungen schnell gehen muss, empfiehlt es sich, Fertigarzneimittel zu verwenden. So z.B. Arnika-Tinktur, Wundtücher, Globuli oder Gelee und später Arnikasalbe zur Unterstützung des Heilungsprozesses.

Je stärker der Schmerz, umso kühler darf es sein: Hierfür Arnika Gelee im Kühlschrank aufbewahren!



AUFLAGEN UND WICKEL:

Schmerzen entzündeter Gelenke mit Kohlwickeln lindern

Kohl enthält neben Magnesium, Calcium, Kalium und Folsäure bestimmte Pflanzenstoffe, sogenannte Flavonoide und Senfglycoside, die entzündungshemmend und durchblutungsfördernd wirken, weshalb Kohlwickel bei allen entzündlichen Gelenkerkrankungen Linderung bringen können.



Er fördert den Abbau von Gift- und Entzündungsstoffen und gibt gleichzeitig seine wertvollen Inhaltsstoffe ab. Es kommt zur entzündungshemmenden, abschwellenden und schmerzlindernden Wirkung.

Das braucht man dafür:

- 1 Wirsing (bei geschlossenen Wunden)
- Flasche oder Nudelholz (nicht aus Holz, damit dieses nicht den Saft aufsaugt) und ein Kunststoffbrett
- Stofftuch

Und so geht's:

Zunächst die äußeren Blätter (hier sind vermehrt die schmerzstillenden Substanzen enthalten) waschen und trocknen, vorsichtig abbrechen und den harten Strunk in der Mitte herausschneiden. Anschließend die Blätter plattwalzen, bis Saft austritt. Die gewalzten Blätter dachziegelartig übereinanderlappend locker auf das schmerzende Gelenk legen, mit einem Tuch abdecken und einer Binde fixieren. Der Kohlsaft sollte bis zu 12 Stunden einziehen, am besten über Nacht.

Ein bis zweimal täglich anwenden. Eventuell kommt es anfangs zu einer Verstärkung der Schmerzen, die im Normalfall rasch nachlassen. Sollten sie länger als 10 bis 15 Minuten anhalten, muss der Wickel umgehend entfernt werden.

Nach dem Abnehmen der mittlerweile braunen Kohlblätter die Haut am besten mit warmem Essigwasser abspülen. Der Geruch des ganzen Prozederes ist nicht unbedingt angenehm, aber es kann sehr hilfreich sein.

VORSICHT: Nicht bei Schilddrüsenerkrankungen anwenden!

Menschen und Schmerzen sind unterschiedlich und **nicht alle Hausmittel sind für jeden geeignet**. Insbesondere bei Hämophilie empfiehlt es sich, den Arzt oder Apotheker vor der Anwendung zu fragen.

SCHMERZ

LINDERNDE SALBEN UND ÖLE:

Mandragora Salbe bei schmerzhaften degenerativen und entzündlichen Gelenkerkrankungen

Bei Mandragora Salbe handelt es sich um ein anthroposophisches Arzneimittel, das bei subakuten rheumatischen Erkrankungen eingesetzt wird. Die Basis der Salbe bildet ein potenziertes Auszug aus der Heilpflanze Mandragora officinarum, auch Alraune, Dollwurz oder Zauberwurzel genannt.

Gemäß der anthroposophischen Menschen- und Naturkenntnis wird die Salbe genutzt, um den Aufbaustoffwechsel bei schmerzhaften, degenerativen und chronisch-entzündlichen Erkrankungen des Bewegungsorganismus anzuregen. Dazu gehören Gelenkentzündung (Arthritis), verformende Arthrose (Arthrosis deformans), subakuter Muskel- und Gelenkrheumatismus. Die Salbe ist in der Apotheke erhältlich.

Hinweis zur Anwendung:

Auch wenn es sich bei der Mandragora Salbe um ein freiverkäufliches Produkt handelt, empfiehlt es sich, vor der Anwendung Rücksprache mit dem Arzt und/oder Apotheker zu halten.

Insbesondere die Behandlung chronischer Erkrankungen erfordert eine Rücksprache mit dem Arzt.



LINDERNDE SALBEN UND ÖLE:

Anthroposophisches Heilpflanzen-Öl zum Einreiben

Das anthroposophische Arzneimittel „Aconit Öl“ enthält eine ausgewogene Komposition aus den potenzierten Heilpflanzen Eisenhut (Aconitum napellus), Kampfer und Lavendel. Der wohltuende Duft des Lavendels entkrampft und entspannt.

Eisenhut, eine normalerweise auf das Nervensystem hochgiftig wirkende Pflanze, wird in potenziert Form verwendet, um Muskelschmerzen und Neuralgien zu mildern. Das echte Kampfer regt die lokale Durchblutung an und wirkt schmerzlindernd bei Verspannungen, entzündlichen Gelenkerkrankungen und Nervenschmerzen.

Hinweise zur Anwendung:

Vor der Anwendung des Öls empfiehlt sich ebenfalls die Rücksprache mit Arzt und/oder Apotheker.

ACHTUNG: Im entzündlichen Stadium sowie wenn Berührungen schmerzhaft sind, sollte das Aconit Öl nicht einmassiert werden. Besser sind hier Kohl- oder Quark-Auflagen.

Aconit-Öl kann auch als Ölaufgabe angewendet werden. Diese ist jedoch eher bei Verspannungen z.B. im Schulter-Nacken-Bereich angezeigt. Hierzu ein etwa handtellergroßes, doppelt gefaltetes Leintuch mit dem Öl tränken und in einem kleinen verschließbaren Gefrierbeutel zwischen zwei befüllte Wärmflaschen legen. Diese dadurch angewärmte Öl-Auflage kann, auf verspannte Schultern oder in den Nacken gelegt, Spannungsschmerzen lindern.

LINDERNDE SALBEN UND ÖLE:

Moorsalbe gegen Muskelschmerzen

Wie der Name schon vermuten lässt, enthält Moorsalbe natürliche Stoffe aus dem Moor – und zwar aus der obersten Schicht, dem Torf. Dieser ist nicht nur reich an Mineralien, sondern enthält auch heilsame Pflanzenstoffe.

Die meisten Moorsalben haben einen wärmenden Effekt, welcher die Muskulatur entspannt. Gleichzeitig wird der Salbe schmerzlindernde und entzündungshemmende Wirkung nachgesagt. Hämophiliepatienten sollten sich in der Apotheke hinsichtlich der Anwendung bei Gerinnungsstörungen beraten lassen.

Und so geht's:

Schmerzende Stellen, z. B. das Knie, mit Moorsalbe einreiben. Die Anwendung kann mehrmals täglich wiederholt werden. (Quelle: vgl. www.active-a.de)

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

SCHMERZ

ERFAHRUNGSBERICHT:

„Ich war häufiger im Krankenhaus als in der Schule“

Als Steffen Hartwig acht Jahre alt war, wirkten die blutungsbremsenden Faktorpräparate plötzlich nicht mehr. Die Diagnose: **Hemmkörper-Entwicklung** – was bedeutet, dass das Immunsystem Antikörper gegen den therapeutischen Gerinnungsfaktor ausbildet und diesen abbaut, bevor er wirken kann. Wie eine Immuntherapie die Hemmkörper-Entwicklung heilen konnte und welche Bedeutung Schmerzen im Leben von Hartwig spielen.

INFO

Hemmkörperentwicklung

Hemmkörper treten am häufigsten bei Menschen mit schwerer Hämophilie A auf. Deren Risiko, im Laufe des Lebens Hemmkörper zu entwickeln, beträgt etwa 25 bis 40 Prozent im Vergleich zu Menschen mit moderater oder leichter Hämophilie A, die ein Risiko von etwa fünf bis 15 Prozent haben. Bei Patienten mit Hämophilie B liegt das Risiko einer Hemmkörperentwicklung bei etwa ein bis fünf Prozent und wird häufiger bei Patienten mit einer schweren Form dieser Gerinnungsstörung beobachtet (neun bis 23 Prozent). Betroffene neigen zu stärkeren und vor allem spontanen Blutungen, die lebensbedrohlich sein können. Es ist entscheidend, Hemmkörper frühzeitig zu erkennen, um eine adäquate Behandlung einzuleiten.

<https://www.cme-kurs.de/kurse/hemmkoerper-bei-haemophilie-a-und-b/>



SCHMERZ

Text von **Verena Fischer**

Alles begann, als Steffen Hartwigs Eltern bei ihrem sechs Monate alten Säugling plötzlich eine Blutung in der Brust entdeckten. Es war 1986, die Familie lebte in Ostberlin, damals noch in der DDR. Die Klinikärzte stellten die Diagnose „mittelschwere Hämophilie B“ und leiteten eine Behandlung mit Faktorpräparaten ein. Zwei Jahre später zog die Familie nach Westberlin, fand eine neue Kinderärztin und es stellte sich heraus, dass es sich vielmehr um eine schwere Hämophilie B handelte.

Steffen Hartwig kam mit der Therapie sehr gut zurecht und auch in der Schule lief alles problemlos, bis sich – bei dem damals Achtjährigen – plötzlich erneut starke Blutungen einstellten. Schnell stand fest: Es hatten sich Hemmkörper gebildet und die Faktorpräparate wirkten nicht mehr. „Ich habe daraufhin mehrere Wochen im Krankenhaus verbracht“, erinnert sich Hartwig, „erhielt hochdosierte Faktorpräparate und gleichzeitig Immuntoleranzinduktionen.“ Bei den Immuntoleranzinduktionen (ITI) werden Gerinnungsfaktoren in hohen Dosen verabreicht, mit der Absicht, dass sich der Körper an diese gewöhnt, statt Antikörper dagegen zu bilden.

Krankheitstage erschweren die Schullaufbahn

Die ITI-Behandlungen erzielten nur kurzfristige Erfolge und es kam immer wieder zu Hemmkörper-Entwicklungen sowie dazu, dass Hartwig für längere Zeit der Schule fern- und stattdessen in der Klinik bleiben musste. Auch Gelenkbeschwerden stellten sich ein. „Durch die Einblutungen hatte ich starke Knieschmerzen und das Laufen fiel mir zunehmend schwer.“ Wegen der Versäumnisse wiederholte er die sechste Klasse und wechselte letztendlich

sogar vom Gymnasium auf die Realschule – für den eher schüchternen Jungen keine Leichtigkeit, da er sich immer wieder in einem neuen Umfeld zurechtfinden musste.

Um den Schüler vor Situationen zu schützen, die eine Blutung verursachen könnten und auch wegen der Kniebeschwerden befreite die Kinderärztin Hartwig vom Sportunterricht. „Ich musste während der Sportstunden auf der Bank sitzen und zugucken“, erzählt er. „Einmal wurde ich von einem Ball getroffen, woraufhin es zu einer starken Blutung kam“, erinnert er sich. Seitdem sei er komplett aus dem Sportunterricht „verbannt“ worden. „Zum Glück hat mir mein Vater einen Computer geschenkt, als ich fünf Jahre alt war“, erzählt er. „Daraus hat sich schnell ein Hobby entwickelt.“ Scherzend fügt er hinzu: „Ich war schon immer eher der einsame Nerd vor dem Computer.“

Kaum den Schulabschluss in der Hand, begann Steffen Hartwig seine Ausbildung zum Fachinformatiker. „Das war für mich gar keine Frage“, erzählt er. „Denn Computer sind einfach meine Leidenschaft.“ Die Ausbildung verlief erfolgreich, doch wegen der Hemmkörper musste der Auszubildende viermal operiert werden. „Ich hatte ein Kompartmentsyndrom, bei dem es zu Einblutungen in die Muskulatur kommt“, erklärt er. „Bei mir war der linke Unterschenkel betroffen, was starke Schmerzen verursacht hat.“ Um diese in den Griff zu bekommen, setzte Hartwig Medikamente ein oder kühlte betroffene Gelenke sowie Muskeln.

Immuntherapie stoppt Hemmkörper-Bildung

Mit 24 Jahren kommt es zu einem entscheidenden Wendepunkt im Leben des IT-Spezialisten: Zur Behand-



Schmerzende Gelenke zu kühlen, bringt Linderung und kann Blutungen entgegenwirken. Tipp: Das Eispad in ein Handtuch wickeln, um die Haut zu schützen.

lung der Hemmkörper-Entwicklung empfiehlt sein Arzt ihm eine Rituximab-Therapie, ein Arzneimittel, das vor allem aus der Krebsbehandlung bekannt ist. Bei der Therapie der Hemmkörper-Entwicklung handelt es sich um eine sogenannte „Off-Label“-Nutzung, was bedeutet, dass der Wirkstoff für den Einsatz keine Zulassung hat. „Ich habe sofort zugestimmt, denn was hatte ich zu verlieren...“, kommentiert Steffen Hartwig.

Tatsächlich lässt sich die unerwünschte Immunreaktion mit einer einmaligen Gabe heilen: „Seitdem hat mein Immunsystem keine Antikörper mehr gegen die Faktor-IX-Präparate ausgebildet“, bestätigt Hartwig. Nebenwirkungen habe es keine gegeben. Lediglich Hitzewallungen seien nach der Behandlung aufgetreten. Seit Oktober 2016 erhält Hartwig zudem ein sogenanntes Extended-Half-Life-Faktorpräparat, das nur einmal pro Woche gespritzt werden muss. „Im Vergleich zu den zuvor täglichen Spritzen ist das eine große Erleichterung“, berichtet er.

Knies-OP und Reha

Aktuell befindet sich Hartwig nach einer Knieersatz-Prothesen-Operation in einer Reha-Klinik. „Ich hatte nach längerem Gehen immer starke Gelenkschmerzen und hoffe, dass ich nach der Reha weitestgehend schmerzfrei sein werde.“ Eine Schmerztherapie habe Hartwig noch nie gemacht. „Das gab es früher nicht und ich habe gelernt, selber mit den Beschwerden umzugehen.“

Edukation für Menschen mit Hämophilie und ihre Angehörigen – die Rolle der Pflege

Menschen mit Hämophilie und deren Angehörige müssen früh lernen, das Leben mit der Erkrankung selbst zu steuern und deren Auswirkungen auf ihren Alltag gut zu kontrollieren. Eine wichtige Rolle spielen dabei auch **speziell ausgebildete Pflegefachpersonen**.

Gastbeitrag von **Julia Ballmann** und **Michael Ewers**

Für die Beobachtung der Erkrankung oder die Durchführung von Therapien müssen sich Betroffene schrittweise Kenntnisse und Techniken aneignen, die einen mehr oder weniger umfangreichen Bedarf an Information, Beratung und Anleitung (Edukation) erfordern. Hierzulande wird noch oft übersehen, dass Pflegefachpersonen eine wichtige Rolle bei dessen Beantwortung einnehmen können.

Pflegefachpersonen sind oft erste 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.

Vor diesem Hintergrund wurde am Institut für Gesundheits- und Pflegewissenschaft der Charité – Universitätsmedizin Berlin eine Literaturstudie zu folgenden Fragen durchgeführt:

1. Welchen Bedarf an Information, Beratung und Anleitung haben Menschen mit Hämophilie oder anderen Blutgerinnungsstörungen und ihre Angehörigen?

2. Wie nehmen Pflegefachpersonen ihre edukativen Aufgaben international wahr, welche Strategien wenden sie an und auf welche Konzepte greifen sie zurück?

Aus Deutschland liegen keine wissenschaftlichen Informationen zu diesem Thema vor, weshalb nur englischsprachige Literatur berücksichtigt wurde. Aus einer großen Zahl an Publikationen wurden 25 einschlägige Studien ausgewählt und analysiert.

Das Ergebnis ist in englischer Sprache veröffentlicht, die Zusammenfassung steht hier zur Verfügung: <https://doi.org/10.1111/hae.14629>

Bedarf und Anlässe

Nur wenige Studien beschäftigen sich damit, worin der edukative Bedarf von Menschen mit Hämophilie und ihren Angehörigen besteht oder damit, wie dieser von Pflegefachpersonen systematisch ermittelt werden kann. Häufiger befassen sie sich mit Fragen der Motivation zur aktiven Mitwirkung an der Therapie. Hinzuweisen wird aber darauf, dass die pflegerische Edukation partizipativ und langfristig angelegt sein sollte, um dem Bedarf entsprechen zu können. Betont wird

WISSEN

Eduktion (lat. *educare*; *auf-, erziehen*) kann Erziehung oder Bildung bedeuten. Zugleich steht der Begriff für Maßnahmen der Wissensvermittlung (Information), der Problemlösung (Beratung) und der Förderung von Fähigkeiten und Fertigkeiten (Anleitung). Unter Patientenedukation versteht man vielfältige und gezielte psychologische sowie pädagogische Maßnahmen, die Patienten und deren Angehörige bei der Krankheitsbewältigung unterstützen sollen. Kompetenzen der Patienten sollen gestärkt und das Verstehen von Therapiemaßnahmen verstärkt werden. Ziel ist es, den Gesundheitszustand und die Lebensqualität zu erhalten und/oder zu verbessern.



CHARITÉ REVIEW

zudem, dass sich der Informations-, Beratungs- und Anleitungsbedarf im Lauf des Lebens verändert. Dabei gibt es immer wieder konkrete Anlässe, bei denen besonderer Unterstützungsbedarf besteht. So z.B., wenn Eltern erstmalig zur Durchführung der Infusionstherapie angeleitet und damit zu „Therapeuten“ ihres Kindes werden oder aber wenn die Kinder diese Aufgabe später eigenständig übernehmen.

INFO

Einige der in der Literatur thematisierten Anlässe für eine pflegerische Edukation sind hier aufgelistet:

Vor der Geburt:

- Schwangerschaftsberatung
- genetische Beratung
- Schwangerschaftskomplikationen

Kleinkindalter (0-3):

- Angehörige befähigen, Infusionen zu geben
- Blutungszeichen zu erkennen
- psychosoziale Unterstützung
- Überbehütung vermeiden

Sich selbst infundieren (9-11):

- Verantwortung übernehmen
- Selbstwirksamkeit erleben
- psychosoziale Aspekte („normal sein wollen“)

Pubertät (12-17):

- Gemeinsame Therapieentscheidungen fördern
- Gefühl der Sicherheit

Zu speziellen Zeitpunkten:

- Behandlung bei Inhibitoren (Hemmkörpern)
- Gewichtsmanagement

Strategien und Konzepte

Die Pflegefachpersonen vermitteln Grundlagenwissen oder informieren über Komplikationen bei der Behandlung und über Fortschritte in Diagnostik und Therapie (oft mit Hilfe von Printmaterialien). Treten individuelle Probleme im Versorgungsalltag auf, kommt es zu Unsicherheiten oder Konflikten, stehen sie Patienten und Angehörigen beratend zur Seite. Aber auch wenn es um Probleme mit der Therapie



Pflegefachpersonen leisten einen wichtigen und nicht wegzudenkenden Beitrag, wenn es um die Unterstützung von Patienten und Angehörigen geht.

oder das Schmerzmanagement geht, sind sie eingebunden. Zuweilen organisieren sie auch gegenseitige Unterstützungsangebote (Selbsthilfe). Schließlich leiten sie Patienten und Angehörige an, Erste Hilfe-Maßnahmen oder Therapien eigenständig durchzuführen. Dies kann sowohl in Individual- wie auch Gruppenschulungen analog oder virtuell erfolgen.

All diese anspruchsvollen Aufgaben werden oft noch intuitiv und basierend auf Erfahrungen aus dem Versorgungsalltag bewältigt. Über pflegepädagogisch begründete Konzepte oder wissenschaftlich überprüfte Programme wird in der Literatur kaum berichtet. Eher in Ausnahmefällen wurden edukative Angebote systematisch eingeführt und auf ihre Wirkungen hin überprüft, so im Fall eines Online-Schulungsprogramms für die Heimselbstbehandlung in den Niederlanden.

Fazit und Ausblick

Die edukative Unterstützung der Pflegefachpersonen für Menschen mit Blutgerinnungsstörungen und ihre Angehörigen ist international durch eine hohe Expertise und Eigenständigkeit gekennzeichnet. Dadurch leisten sie einen aktiven Beitrag zur Förderung des Selbstmanagements, der Autonomie und der Gesundheit der betroffenen Personen. Zuweilen nehmen sie dabei selbst Aufgaben wahr, die hierzulande noch Ärztinnen und Ärzten vorbehalten sind. Allerdings zeigt die Literaturstudie auch, dass es häufig an einer tragfähigen konzeptionellen Grundlage für diese edukativen Aufgaben fehlt, ebenso an einer systematischen Bedarfs- und Wirkungsanalyse. Dem muss durch einschlägige pflegewissenschaftliche Forschung begegnet werden, auch um der von Pflegefachpersonen in diesem Bereich geleisteten Arbeit die notwendige Anerkennung und Würdigung verschaffen zu können.

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

CHARITÉ REVIEW

Wie geht es jetzt weiter?



INTERVIEW

mit Univ.-Prof. Dr. Michael Ewers MPH und Julia Ballmann, M.A. – beide Charité-Universitätsmedizin Berlin, Institut für Gesundheits- und Pflegewissenschaft



In ihrer Literatur-Analyse haben Michael Ewers und Julia Ballmann strukturelle Schwachstellen offengelegt und Fragen aufgeworfen, die nachfolgend beantwortet werden:

Ihrer Analyse zufolge gibt es viel Verbesserungsbedarf im Bereich „Edukation für Hämophilie-Patienten“. Wie geht es weiter?

Ewers: In der Forschung geht es erstmal nicht weiter. Wir hatten einen Forschungsantrag gestellt, um die Rolle von Pflegefachpersonen genauer untersuchen und ein standardisiertes Konzept für die Begleitung von Eltern/Kindern erstellen zu können, aber leider ist dieser abgelehnt worden.

Was wäre aus Ihrer Sicht erforderlich, um die Edukation zu verbessern?

Ballmann: Ich denke, dass es helfen würde, wenn es auch in diesem Bereich mehr studierte Pflegekräfte gäbe, etwa um die erforderlichen Edukationen evidenzbasiert durchführen zu können.

Ewers: Deutschland ist das einzige Land in Europa, das immer noch auf die berufliche Ausbildung setzt, obwohl die Anforderungen in diesem Feld seit vielen Jahren steigen. Seit den 1990er Jahren fordern wir, dass zumindest ein gewisser Anteil der Pflegefachpersonen eine hochschulische Qualifikation haben sollte.

Inzwischen gibt es ja auch einen Studiengang Pflege...

Ja, die Charité hat vor zwei Jahren einen Bachelorstudiengang „Pflege“ eingeführt. Von der Situation, dass wir auf jeder hämostaseologischen Station ein oder zwei Pflegefachkräfte haben, die wissenschaftliche Literatur lesen, relevante Quellen zusammensuchen, auswerten und die Informationen für das Team aufbereiten, sind wir aber noch weit entfernt. Und kleinere Bereiche, wie beispielsweise die Hämostaseologie fallen da leider oft hinten runter.

Nun ist die Patientengruppe klein und die Herstellerfirmen der Faktorpräparate haben das mit den Hämophilie-Nurses übernommen...

Ewers: Ich würde mir wünschen, dass die Hochschulen mehr Verantwortung für die Aus- und Weiterbildung der Pflege übernehmen - auch für Felder wie die Hämophilie-Versorgung. Ich finde es problematisch, wenn private Firmen die englischsprachige Bezeichnung „Nurse“ übernehmen, aber nicht den internationalen Standards folgen. In den USA hat eine „Hämophilie-Nurse“ mindestens einen Studienabschluss sowie viele Jahre Praxis. Pflegefachpersonen in Deutschland verfügen zwar über ein breites Erfahrungswissen, aber die Qualifizierung ist nicht international anschlussfähig. Es gibt andere Patientengruppen in ähnlich komplexen Versorgungssituationen und eine Spezialisierung insgesamt für diese Gruppen wäre möglich.

Ballmann: Die Weiterbildung wird in Deutschland von Ärzten organisiert und begleitet. Der medizinische Teil sicher auf hohem Niveau, aber das pflegewissenschaftliche und pflegepädagogische Fundament fehlt.

Eigentlich müsste das Ganze politisch geregelt werden, oder?

Ewers: Wir brauchen klare Konzepte für klinische, edukative und versorgungssteuernde Aufgaben und Pflegende, die eine Brücke bauen zwischen dem Zuhause der Patienten und dem Zentrum. Aufgrund der strikten Trennung ambulant und stationär in Deutschland ist das schwierig. Nach wie vor übernehmen Pflegefachpersonen Aufgaben, die rechtlich eigentlich nur von einem Arzt durchgeführt werden dürften, bzw. seine Anwesenheit erfordern. Hier findet viel im Graubereich statt. In einem Gesundheitssystem, das ganz viel Wert auf Evidenzbasierung legt, wäre doch die Frage erlaubt, ob das, was da an Unterstützung geleistet wird, nicht auch evidenzbasiert sein müsste.

Ballmann: Die Patienten bzw. Angehörigen, die zu Hause auf Hilfe durch Pflegekräfte angewiesen sind, haben Anspruch darauf, dass ihre gesamte Versorgung – nicht nur die medizinische Behandlung – auf höchstem Niveau erfolgt. Leider erhalten nicht alle Menschen die Hilfe, die sie brauchen.

Nachgefragt: In einer der nächsten Ausgaben sprechen wir mit Gesine Nugel, examinierte Krankenschwester und Leitung Patientenservice Hämophilie, MTS Meditel Service GmbH über das Thema Pflegefachkräfte in der Hämophilie.

Was läuft?

haemcare.de ist dein Portal für alles Wichtige über Blutgerinnungsstörungen, Fitness, Essen+Trinken, Reisen, Apps ... und was gerade so läuft.



Tipp für den Sommer: Reise-App HaemTravel®

Rechtzeitig zum Beginn der Reisezeit ist das Update der **App HaemTravel®** verfügbar: GPS-Navigation zu über 1.000 Hämophiliezentren weltweit, interaktive Checkliste, Tipps zur Mitnahme von Faktoren ... Jetzt neu mit **tagesaktuellen COVID-19-Reiseinformationen für alle Länder.**

haemtravel.de



LIBERATE
LIFE



ich sage, wo's langgeht.

Nicht meine Hämophilie.



Jetzt mehr erfahren unter
www.liberatelife.de

Moderne Therapieoptionen ermöglichen ...

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

 sobi