

Wichtige Studie für Hämophilie-A bzw. Hämophilie-B-Betroffene

Eventuell sprechen euch eure betreuenden Ärzte in den Zentren oder Praxen bei einem der nächsten Besuche auf eine neue Studie, die sogenannte „Anwendungsbegleitende Datenerhebung“ (kurz AbD) an.

Dabei handelt es sich um Studien, die Medikamenten-Herstellern vom Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) verpflichtend auferlegt wurden. Obwohl es sich dabei um Studien zu den beiden derzeit zugelassenen Gentherapien in der Hämophilie A bzw. B handelt, ist die Teilnahme von Menschen, die eine Prophylaxe mit Faktortherapie (bzw. bei Hämophilie A auch Emicizumab) erhalten dennoch erforderlich und sehr wichtig.

Das Ziel dieser Studien ist der Vergleich der beiden Therapieansätze – Gentherapie und Prophylaxe – unter Alltagsbedingungen.

Keine Sorge, wenn ihr mit einer Faktortherapie (oder auch Emicizumab) in die Studie einsteigt, könnt ihr dennoch im Verlauf problemlos auch weiterhin zu anderen Therapien oder auch der Gentherapie wechseln, sofern ihr wollt und eure Ärzte dies empfehlen.

Die Studien werden von den beiden Herstellern (Biomarin für die Gentherapie der Hämophilie A bzw. CSL Behring für die Gentherapie der Hämophilie B) durchgeführt. Die Daten werden für diese Studien im Deutschen Hämophileregister (DHR) erfasst und nur in anonymisierter Form für die erforderlichen Auswertungen den Herstellern zur Verfügung gestellt. Dafür ist es nötig, dass ihr der Einzelfallmeldung im DHR und der Nutzung eurer anonymisierten Daten für diese Studie zustimmt.

Die meisten eurer Daten werden sowieso schon im und für das DHR erfasst, es kommt also in der Regel keine Zusatzbelastung auf Euch zu. Gewünscht ist lediglich, dass ihr alle 6 Monate zwei kurze Lebensqualitätsfragebögen ausfüllt – was auch online und sicher möglich ist.

Warum solltet ihr also mitmachen, auch wenn ihr derzeit vielleicht gar kein Interesse an einer Gentherapie habt?

Zum einen werden wir danach besser verstehen, welche Vor- und Nachteile die verschiedenen Therapien haben – vor allem aber hilft es, die neuen Therapieoptionen auch in Deutschland weiterhin verfügbar zu haben und langfristig erstattet zu bekommen.