

Ergebnisprotokoll der Sitzung der GTH-Kommission Hämophilie
Freitag, den 8.11.2012, von 9.30 Uhr bis 11.30 Uhr in Hamburg

1. Die Hämophilie im Fokus des GBA und des IQWiG - Karin Berger

Die Arbeitsweise des IQWiG ist streng formalisiert. Studien mit IQWiG-relevantem Design und Endpunkten fehlen in der Hämophilietherapie weitgehend (Darstellung durch Karin Berger am Beispiel der Hämophilie B mit der Methodik des IQWiG).

Eine Methoden-Diskussion mit dem IQWiG ist nicht sinnvoll, aber eine Information des GBA durch die Fachgesellschaft und die Patientenverbände über die speziellen Erfordernisse der Hämophilietherapie ist wichtig. Am Beispiel der Onkologie zeigt sich, dass Entscheidungen des GBA unabhängig von den Empfehlungen des IQWiG getroffen werden.

Für die GTH und die Kommission ergeben sich vor dem Hintergrund der zu erwartenden Bewertung der Hämophilietherapie (ein Rapid Report ist in Auftrag gegeben) durch das IQWiG und in Zukunft auch der neuen Faktorenkonzentrate folgende Aufgaben:

A. Definition von patientenrelevantem Outcome in der Hämophilietherapie

Gründung einer Arbeitsgruppe in der Kommission und ein Treffen möglichst im Januar 2013

(Interesse: Berger, Klamroth, Tiede, Königs, Holstein, Oldenburg?)

B. Vorschläge zur Implementierung der Erfassung patientenrelevanten Outcomes in die tägliche Praxis und der Dokumentation: DHR? Smart Medication?

C. Durchführung von Registerstudien

a) Qualitätsprojekt in Kooperation mit der Kommission Pädiatrie

b) Prospektive Registerstudie des älteren Hämophiliepatienten

D. Diskussion weiterer Studienprojekte

2. Faktor VIII - Konzentrate und unterschiedliche Immunogenität - Studienkonzept aus der Grundlagenforschung - Beate Kehrel

Eine mögliche Ursache für die unterschiedliche Immunogenität von Proteinen ist der Anteil falsch gefalteter Proteine. Dieser Aspekt wurde in der Bewertung der Immunogenität verschiedener Faktorenkonzentrate und der Reaktion des Patienten bisher wenig berücksichtigt.

Beate Kehrel hat die Methodik zur Diagnostik dieser Proteine als auch der Fähigkeit des Organismus diese zu eliminieren etabliert. Nach Vorstellung des Projekts und Diskussion in der Kommission ist eine Anbindung an das GTH - Qualitätsprojekt der Kommission Pädiatrie sinnvoll. Beate Kehrel wird einen Projektplan entwerfen im Hinblick auf die notwendige Labordiagnostik und das Procedere der Probenverarbeitung. Der direkte Kontakt zum designierten Studienzentrum soll aufgenommen werden.

3. Der interessante Fall

Susann Halimeh stellt einen interessanten Fall eines Patienten mit Hämophilie und MDS im Kindesalter vor.

4. Die nächste Sitzung findet am Mittwoch, den 12.02.2014, von 10.30 Uhr bis 12.00 Uhr im Schatzkammersaal des Wiener Hofburg Congress Centers statt.