



Ergebnisprotokoll

Sitzung	Ständige Kommission Hämophilie
Datum	11.11.2022, 10:00 Uhr
Teilnehmende	Präsenz und virtuell: siehe Teilnehmendenliste
Ort	Hamburg, Gästehaus der Universität, im Rahmen des 53. HHS und virtuell
Ersteller	Christoph Königs
Verteiler	Emailverteiler Ständige Kommission Hämophilie

Protokollstatus:

- Entwurf
 Beschlussvorlage
 Beschlossen am:

TOP	Erg.-typ ^{*1}	Ergebnisse, Themen, Aufgaben	zuständig	Termin	erl.
1	B	Begrüßung und Genehmigung des Protokolls: Katharina Holstein begrüßt die Anwesenden zur virtuellen Sitzung der Ständigen Kommission Hämophilie im Namen beider Sprecher*innen. Das Protokoll der letzten Sitzung vom 01.03.2022 und die Agenda werden ohne Gegenstimmen angenommen.	K. Holstein C. Königs		
2	I	Berichte aus den Arbeitsgruppen: - Strukturierte Patientenfortbildung (C. Königs): Der erste Foliensatz ist fertig, wird final abgestimmt und auf der GTH 2023 in Frankfurt vorgestellt. - Gentherapie (W. Miesbach): Die AG hat 2 Publikationen zur Gentherapie fertiggestellt (Datenplattform zur Gentherapie, Miesbach et al Hämostaseologie, 2022; Konsensuspapier Gentherapie, Publikation (dt/engl) in der Hämostaseologie eingereicht. Es erfolgte ein Rundtischgespräch mit Patientenvertretern, Industrie und PEI/DHR.	C. Königs W. Miesbach		

^{*1} Ergebnistypen: A = Aktion, B = Beschluss, I = Information, V = Vereinbarung

3	I	<p>Berichte aus den wiss. Arbeitsgruppen:</p> <ul style="list-style-type: none"> - AG Outcome (K. Holstein): Datenbankschluss ist erfolgt und Auswertung erfolgt in Kürze. Patientenzahl zufriedenstellend, wenn auch weniger als initial geplant (insbesondere in der älteren Altersgruppe). Präsentation der ersten Ergebnisse ist auf der nächsten Sitzung während der GTH 2023 in Frankfurt geplant. - Register zu Operationen unter Emicizumab (S. Halimeh): retrospektive Registerstudie, Fragebogen erstellt, geplante Datenerfassung über 24 Monate, Fragebogen und Literatur werden parallel zu diesem Protokoll verschickt. Ergänzungen zum Fragebogen wurden diskutiert und umfassen Erfassung von Outcome OP, Gabe und Dosierungen von Bypasspräparaten, FVIII Spiegel und HK (inkl. Messmethode), HK nach OP, Hämoglobinspiegel, ggf Gabe von EKs, postoperativer Verlauf, Datum OP, Thromboseprophylaxe, Freitextfeld: „warum Therapie so gewählt?“, Blutungstyp). Es wird klargestellt, dass jegliche Operationen erfasst werden sollen. Eine Ausweitung der Studie bzw. eine spätere, prospektive Studie werden diskutiert, und ebenso <u>als ersten Schritt</u> eine kurze Abfrage wie Zentren Operationen aktuell unter Emicizumab <u>durchführen</u>. Alternativ <u>bzw. zusätzlich</u> wird eine Abfrage des DHR vorgeschlagen. - Umfrage zu milder Hämophilie (S: Alesci): Umfrage im August abgeschlossen, Rekrutierung schwierig, 44 Patienten mit milder HA oder HB konnten eingeschlossen werden. Erste Daten wurden ausgewertet und vorgestellt. Eine Publikation ist geplant. Es wird vorgeschlagen, die Ergebnisse der Umfrage mit einer Abfrage aus dem DHR zu vergleichen. <p>Neue AG / Projektvorschläge</p> <ul style="list-style-type: none"> - Entzündungsparameter bei blutenden Patienten mit Hämophilie (J. Pilch): Vorstellung der geplanten Studie, der Daten aus dem Mausmodell und erster klinischer Daten zu IL6 und 	K. Holstein		K
			S. Halimeh		
			S. Alesci		
			J. Pilch		

*1 Ergebnistypen: A = Aktion, B = Beschluss, I = Information, V = Vereinbarung

	<p>weiterer Entzündungsmarker als Marker für Gelenkblutungen: es zeigt sich eine Erhöhung im Plasma bei akuten Blutungen, vor allem bei Teilnehmern mit einer schweren Hämophilie im Vergleich zu Kontrollen. Eine prospektive Kohortenstudie ist geplant mit folgenden Fragestellungen: Anstieg von IL6 bei Blutungen, Zusammenhang IL6 und Ausbildung einer Arthropathie, HA und HB, Endpunkte: IL6 bei und nach Blutung, Gelenkstatus nach 12 Monaten. Bei Interesse bitte bei PD Dr. Jan Pilch, Universitätsklinik des Saarlandes, Jan.Pilch@uks.eu melden.</p>			
	<p>Dokumentation der Genterapie:</p> <p>- Vorstellung der beiden in Entwicklung befindlichen elektronischen Systeme zur Dokumentation (W. Miesbach, A. Tiede): W. Miesbach: elektronisches System wurde mit Unterstützung durch Biomarin entwickelt, System bietet Möglichkeit der Dokumentation aber auch Unterstützung im Prozessablauf der Genterapie inkl. Nachbeobachtung. Es findet ein verschlüsselter Informationsaustausch zwischen den in die Behandlung des einzelnen Patienten involvierten Zentren statt. Eine finale Diskussion der Anwendung findet in IV/22 im Rahmen eines Biomarin Adboards statt. Eine Erweiterung der Anwendung für die Genterapie der Hämophilie B ist in I/23 mit Unterstützung durch CSL Behring geplant. Es soll ein Steering Committee etabliert werden. A. Tiede: eine weitere Anwendung zur elektronischen Dokumentation der Genterapie wird im Hauptprogramm des HHS durch A. Tiede vorgestellt. In der Sitzung wird das Vorhandensein von zwei unterschiedlichen Anwendungen plus DHR kritisch diskutiert und darauf hingewiesen, dass für eine möglichst umfassende Sammlung und Erfassung der Daten in erster Linie das DHR geeignet sein wird.</p> <p>- Dokumentation der Genterapie aus Sicht des DHR (C. Keipert):</p>	<p>W. Miesbach A. Tiede</p> <p>C. Keipert</p>		

*1 Ergebnistypen: A = Aktion, B = Beschluss, I = Information, V = Vereinbarung

		Das DHR wurde angepasst. Eine Meldung der Gentherapie ist im DHR möglich. Die Eingabemaske und abgefragte Parameter wurden kurz vorgestellt. Das IQWIG hat das DHR als einziges relevantes Dokumentationssystem der Gentherapie identifiziert. Bisher werden aber nicht alle relevanten Outcomeparameter im DHR erfasst. Eine weitere Ergänzung ist geplant. Bei Fragen / Anregungen steht die Geschäftsstelle des DHR gerne zur Verfügung.			
5	I	<p>Bericht GEPHARD</p> <p>C. Königs berichtet über den aktuellen Stand der Studie. Die erste Publikation zu GEPHARD ist in der Hämostaseologie erfolgt und beschreibt die Studie und eine Querschnittsanalyse im Sommer 2021. (The GEPHARD Investigators, Haemostaseologie 2022, open access). Ein Abstract wurde für die GTH 2023 eingereicht. Ein Umzug der Datenbank auf eine neue Plattform ist aus technischen Gründen erforderlich und für Sommer 2023 geplant. Dokumentarinnen und Dokumentare werden entsprechend geschult. Die Inhibitorbestätigungsdiagnostik wird inzwischen zunehmend und intensiv genutzt – mit bisher ersten spannenden Einblicken zu möglichen Biomarkern der Inhibitorentwicklung.</p>	C. Königs		
6	I	<p>Verschiedenes</p> <p>Susam Halimeh berichtet kurz über ihre Erfahrungen zur Versorgung von Patienten mit einer Hämophilie aus der Ukraine.</p>	S. Halimeh		
7	I	Die Sitzung endet um 11.39 Uhr	K. Holstein, C. Königs		

*1 Ergebnistypen: A = Aktion, B = Beschluss, I = Information, V = Vereinbarung