



Kapitel 3

Behandlung der Hämophilie



Ein fast normales Leben

Menschen mit Hämophilie können in Deutschland heute ein fast normales und unbeschwertes Leben führen – wenn frühzeitig und konsequent behandelt wird.

Zu Beginn des letzten Jahrhunderts konnte Hämophilie noch nicht behandelt werden. Die durchschnittliche Lebenserwartung der Patienten lag daher bei unter 20 Jahren. Seitdem haben sich Therapien und Medikamente enorm weiterentwickelt.

In diesem Kapitel von HämoWissen erfahren Sie alles über die Behandlung der Hämophilie.

Diese Informationen finden Sie auf den folgenden Seiten:

- // Behandlungsziele
- // Behandlungsmethoden
- // Wie und wie oft muss behandelt werden?
- // Auf die Regelmäßigkeit kommt es an
- // So bestimmen Experten, wie oft gespritzt werden muss
- // Neue Therapieansätze



WICHTIG ZU WISSEN:

Eine Hämophiliebehandlung verspricht den besten Erfolg, wenn sie individuell auf die persönlichen Bedürfnisse des Patienten zugeschnitten ist. Ein enger Kontakt mit Ihrem Hämophiliezentrum und regelmäßige Beratungsgespräche mit der Ärztin/dem Arzt sind daher sehr wichtig.

Herzlichen Dank an
Dr. med. Hans-Jürgen Laws und Bianca Boxnick
vom Heinrich Heine Universitätsklinikum Düsseldorf für die
wertvolle inhaltliche Beratung.

Behandlungsziele

Das wichtigste Ziel der Hämophiliebehandlung ist es, gesundheitsschädigende Blutungen, z. B. in Gelenke, Gewebe oder innere Organe, zu vermeiden. So können schwerwiegende Komplikationen und Folgeschäden verhindert werden.

Darüber hinaus soll die Behandlung den betroffenen Familien einen weitgehend normalen Alltag ermöglichen. Ihr an Hämophilie erkranktes Kind soll am gesellschaftlichen Leben aktiv teilnehmen, Sport treiben, seine Freizeit nach Belieben gestalten und einen Beruf ausüben können.

Eine konsequente Therapie schafft zudem die besten Voraussetzungen für ein möglichst gesundes Heranwachsen und Älterwerden mit Hämophilie – ein weiteres wichtiges Ziel für Patienten und ihre Angehörigen.

Behandlungsmethoden

Die richtige medizinische Versorgung ist die Grundlage für eine hohe Lebensqualität trotz Hämophilie.

Der Ersatz fehlender Gerinnungsfaktoren

Der Fachbegriff für das bis heute gängigste Verfahren in der Behandlung mittelschwerer und schwerer Hämophilie lautet „Substitutionstherapie“ (aus dem Lateinischen „substituere“ = ersetzen). Dabei wird der Blutgerinnungsfaktor, den der Körper selbst nicht oder nicht in ausreichendem Maß produzieren kann, in die Vene gespritzt. Man spricht deshalb auch von der intravenösen Gabe des Faktors. Patienten mit Hämophilie A erhalten den Faktor VIII (8), bei Hämophilie B ist es der Faktor IX (9).

Seit rund 30 Jahren kann der fehlende Gerinnungsfaktor gentechnologisch im Labor erzeugt werden. Bei diesen Präparaten wird zur Herstellung des Gerinnungsfaktors kein menschliches Blut benötigt. Der Vorteil ist, dass der auf diese Weise hergestellte Faktor in gleichbleibender Form und mit einer hohen Sicherheit und Zuverlässigkeit produziert werden kann. Faktorpräparate, die auf gentechnische Weise gewonnen werden, nennt man auch „rekombinant“. Auch so genannte plasmatische – also aus menschlichem Blut gewonnene – Faktorpräparate, sind heute sehr sicher. Weil diese Präparate aufwendig gereinigt und behandelt werden, ist das Risiko für die Übertragung von Infektionskrankheiten minimal.

Wie und wie oft muss behandelt werden?

Faktorpräparate zur Behandlung von Hämophilie werden je nach Schwere der Erkrankung entweder nach Bedarf (englisch: „on demand“) angewandt – beispielsweise bei einer Verletzung oder vor einer Operation – oder in Form einer regelmäßigen vorbeugenden Behandlung (Prophylaxe).

Selbst spritzen, selbstbestimmt leben

Faktorpräparate kann man nicht schlucken, sie müssen direkt in die Blutbahn (Vene) gespritzt (injiziert) werden. Das macht vielen Eltern Sorgen. Die gute Nachricht: Kinder gewöhnen sich schnell an die Therapie und akzeptieren das regelmäßige Spritzen. Früher oder später behandeln sich die meisten Menschen mit Hämophilie selbst. Das gibt ihnen viel Freiheit für ihre Lebensplanung.

Für die Heimselbstbehandlung braucht es natürlich etwas Übung. Am Anfang wird Ihrem Kind das Faktorpräparat deshalb in einer Arztpraxis oder in Ihrem Hämophiliezentrum verabreicht. Dort lernen Sie als Eltern in „Spritzenkursen“ aber auch gleichzeitig, wie Sie Ihr Kind selbst behandeln können.

Dauerhafter Zugang als Alternative

In einigen Fällen kann es bei der prophylaktischen Behandlung sehr kleiner Kinder vorkommen, dass Venen dauerhaft schwer zu finden sind oder andere Probleme beim Spritzen entstehen. Dann kann ein Portkatheter helfen. Dabei handelt es sich um eine Silikonkammer, die in einem kleinen operativen Eingriff unter die Haut im Brustraum gelegt wird, und die eine Verbindung zur Vene hat. Das Spritzen erfolgt dann nicht mehr in die Vene selbst, sondern in die Silikonkammer, die den Wirkstoff in die Blutbahn weiterleitet.

In Ihrem Hämophiliezentrum lernen Sie, wie der Faktor über das Kathetersystem verabreicht wird und was Sie bei der Pflege des Ports beachten müssen.

Kinder können und wollen das „Selber-Spritzen“ lernen

Spezielle Trainingssets, mit denen das Spritzen in Eigenregie geübt werden kann, sind eine wertvolle Hilfe. Diese Sets gibt es auch für Kinder (z. B. KidK-Trainingsset für Kinder von Bayer), so dass sich Ihr Sohn – zunächst mit Ihrer Unterstützung – bereits im Schulalter den Faktor selbst verabreichen kann. Das ist eine wichtige Erfahrung, die ihn in der Entwicklung fördern und selbstbewusster machen wird.

Ob ein Kind das Spritzen bereits mit fünf oder sechs Jahren lernen möchte oder auch später, ist von Fall zu Fall sehr unterschiedlich. Das „Abschauen“ von anderen Kindern, die bereits spritzen können und dies voller Stolz präsentieren, kann einen wichtigen Impuls geben. Deshalb bieten Patientenorganisationen wie die **DHG e.V.** oder **IGH e.V.** jedes Jahr Kinder- und Jugendfreizeiten an, bei denen das Spritzenlernen unter ärztlicher Aufsicht eine wichtige Rolle spielt.

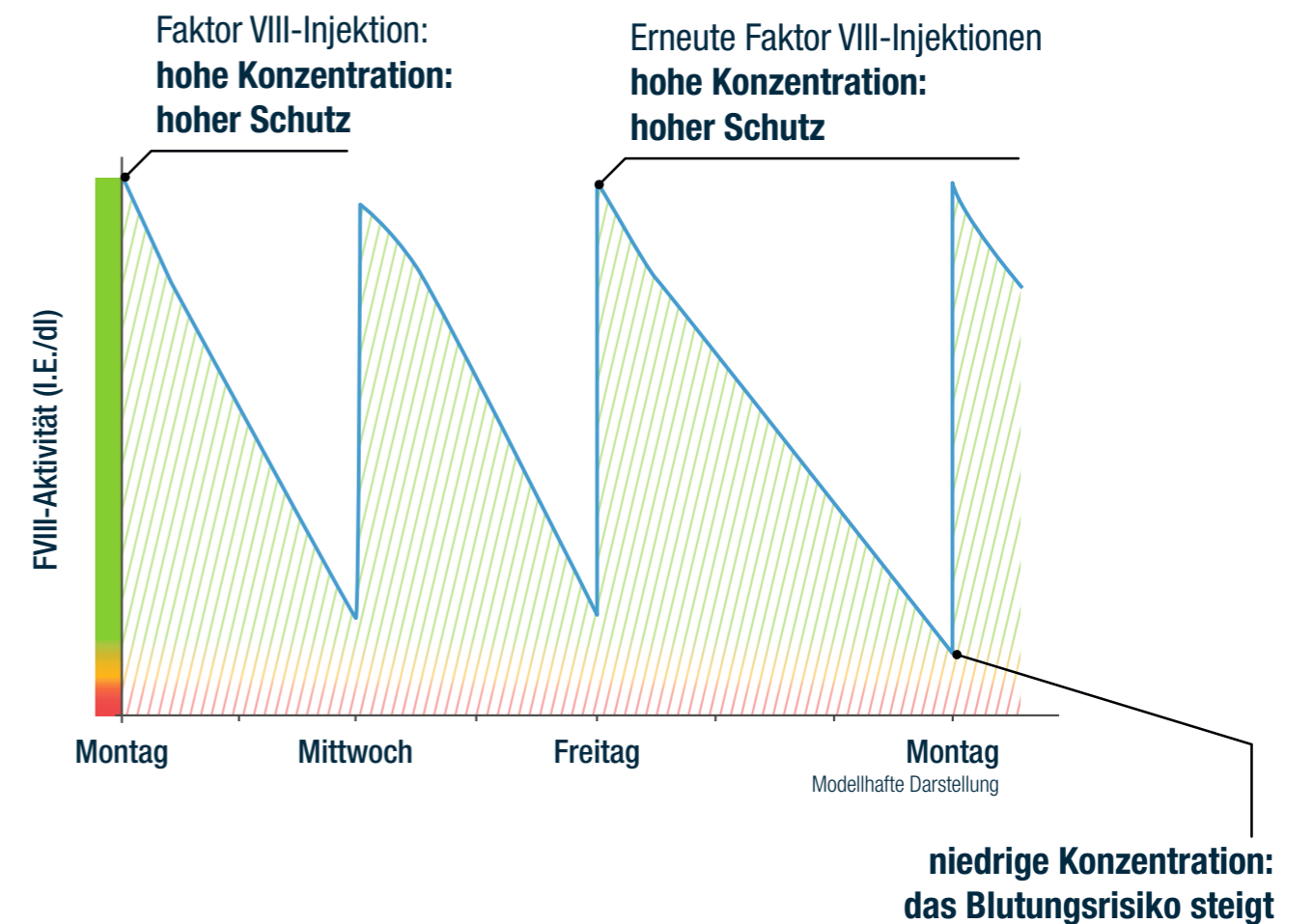


Auf die Regelmäßigkeit kommt es an

Falls Ihr Kind eine vorbeugende Behandlung (Prophylaxe) mit Faktor VIII bei Hämophilie A oder mit Faktor IX bei Hämophilie B erhält, sind regelmäßige Injektionen nötig.¹ Wie viel und wie oft der Faktor verabreicht wird, hängt vom Schweregrad der Erkrankung, von der Lebensweise, dem Faktorgehalt im Blut und dem verabreichten Medikament ab. Die meisten erhalten ihr Faktorpräparat jeden zweiten oder dritten Tag.

Ein regelmäßiges Zuführen des Faktors ist deshalb nötig, weil der Wirkstoff im Körper abgebaut wird. Seine Konzentration im Blut – und damit seine Wirksamkeit – nimmt also ab.

Durch den Abbau von Faktor VIII im Blut lässt die Schutzwirkung mit der Zeit nach.



Am besten morgens spritzen – und an besonders aktiven Tagen

Die Grafik zeigt es sehr gut: Bereits im Verlauf eines Tages nimmt die Konzentration des Faktors im Blut ab. Wer abends spritzt, verschläft also die Zeit mit dem besten Schutz. Nehmen Sie die Faktorgabe zu Hause deshalb in Ihren morgendlichen Alltag auf. Stellen Sie sich den Wecker an den „Faktortagen“ vielleicht ein bisschen früher, damit Sie und Ihr Kind ausreichend Zeit und Muße für dieses wichtige „Pflichtprogramm“ haben, von dem viele Familien berichten, dass es mit der Zeit so normal wird wie das tägliche Zähneputzen.

Einen zusätzlichen Faktortag mit einer morgendlichen Gabe sollten Sie übrigens einplanen, wenn besondere Aktivitäten auf dem Programm Ihres Kindes stehen wie zum Beispiel ein Kindergeburtstag oder ein Schulausflug. Sollte es Ihnen schwer fallen, den richtigen „Spritzrhythmus“ finden, sprechen Sie Ihr Hämophiliezentrum an. Dort berät man sie gerne.

So bestimmen Experten, wie oft gespritzt werden muss

Zur Behandlung von Hämophilie gibt es verschiedene Faktorpräparate, die unterschiedlich lang wirken. Doch woher weiß man, wie lang ein Medikament wirkt und wann wieder gespritzt werden muss?

Um dies zu bestimmen kann vor einer Injektion und zu bestimmten Zeitpunkten danach Blut entnommen und die Menge des Gerinnungsfaktors bestimmt werden. Die wichtigsten Messwerte sind der höchste Spiegel (Spitzenspiegel oder „Peak“) und der niedrigste Spiegel (Talspiegel) vor der nächsten Faktorgabe.

Eine Messgröße dafür, wie schnell der Faktor im Körper abgebaut wird, ist die so genannte „Halbwertszeit“. Sie gibt an, in welchem Zeitraum die Konzentration des Faktors im Blut auf die Hälfte sinkt. Durchschnittlich liegt die Halbwertszeit bei Faktor VIII bei etwa zwölf Stunden, bei Faktor IX meist etwas länger.

Eine allgemeine Aussage dazu, welche Halbwertszeit ein bestimmtes Medikament hat, ist nicht ohne weiteres möglich, denn sie schwankt von Patient zu Patient und je nach Alter sehr stark und kann z. B. bei sieben oder auch bei 20 Stunden liegen. Eine Grundregel lautet aber: Je länger die Halbwertszeit ist, desto größer können die Abstände zwischen den einzelnen Injektionen sein.

Neue Therapieansätze

Die Forschung arbeitet seit Jahrzehnten daran, die Therapie der Hämophilie weiterzuentwickeln. Patienten sollen in der Behandlung entlastet, Folgeschäden verringert werden.

Verlängerung der Halbwertszeit

Damit Hämophiliepatienten weniger spritzen müssen, hat die Forschung in jüngster Zeit Faktorpräparate mit einer längeren Halbwertszeit entwickelt (s. Kasten „So bestimmen Experten ...“). Ziel ist es, den Zeitraum zwischen zwei Injektionen zu verlängern, ohne dass das Risiko für Blutungen steigt.

Antikörpertherapie

Im Jahr 2019 hat die EU-Kommission ein neues Medikament zur Prophylaxe von Blutungen bei Hämophilie A zugelassen. Dabei handelt es sich um ein Präparat, das den Faktor VIII nachahmt, ohne einer zu sein. Informationen dazu erhalten Sie beim behandelnden Arzt oder in Ihrem Hämophiliezentrum.

Ergänzende Behandlung: Krankengymnastik (Physiotherapie)

Sicher denken Sie zunächst nicht an Krankengymnastik, wenn es um die Behandlung Ihres an Hämophilie erkrankten Kindes geht. Doch eine Physiotherapie kann sehr hilfreich sein, denn sie fördert die Entwicklung Ihres Kindes, erhöht den Gelenkschutz und verbessert Beweglichkeit und Koordination. Gezielte Übungen helfen zudem, Fehlstellungen und somit Fehlbelastungen der blutungsanfälligen Gelenke zu vermeiden.²

Aber auch nach akuten Blutungen sowie bei bereits eingetretenen Gelenkveränderungen ist eine spezialisierte Krankengymnastik wichtig, damit das Risiko für bleibende Schäden so gering wie möglich ist.

Die Forschung geht weiter

Ein neuer, noch in der Forschung steckender Ansatz in der Hämophiliebehandlung sind Gentherapien.³ Sie sollen, vereinfacht ausgedrückt, die Zellen eines Patienten dazu befähigen, den notwendigen Gerinnungsfaktor selbst zu bilden. Dabei wird ein funktionsfähiges Faktor-Gen einmalig durch eine Infusion (Tropf) verabreicht. Eine Gentherapie will im Idealfall erreichen, dass die Faktorkonzentration im Blut des Patienten über mehrere Jahre so hoch ist, dass kein Ersatzpräparat gespritzt werden muss. Die Sicherheit und Wirksamkeit der Gentherapie werden zurzeit wissenschaftlich untersucht. Bis diese Therapieform verfügbar sein wird, werden noch einige Jahre vergehen.

Fragen? Ihr Hämophiliezentrum gibt Antworten

Substitutionstherapie, rekombinante Faktoren, Halbwertszeit – dieses Kapitel von HämoWissen steckt voller Fachbegriffe, aber auch voller wichtiger Hintergrundinformationen, die Ihnen helfen sollen, die Erkrankung Ihres Kindes besser zu verstehen. Dieses Verständnis ist sehr wichtig, um Behandlungen richtig durchzuführen und Ihrem Kind zu einem guten, unbeschwerten Leben mit Hämophilie zu verhelfen.

Im Laufe der Zeit werden sicher immer wieder mal Fragen aufkommen. Die Experten Ihres Hämophiliezentrums haben Antworten – und beraten Sie nicht nur fachlich, sondern unterstützen Ihre ganze Familie bei der Bewältigung ihres Alltags mit Hämophilie.

Komplikation Hemmkörper

Wenn der Körper sich gegen die Behandlung wehrt

Eine mögliche Komplikation in der Hämophiliebehandlung ist eine körpereigene Abwehrreaktion gegen den Faktor VIII. Dann bildet das Immunsystem so genannte Hemmkörper (Inhibitoren) gegen die Gerinnungsfaktorkonzentrate.

Ausführliche Informationen hierzu finden Sie im Kapitel „Hemmkörper“.

Mut machender Austausch

Hämophilie ist nicht heilbar, deshalb muss Ihr Kind ein Leben lang behandelt werden. Dank guter medizinischer Betreuung gelingt es der überwiegenden Mehrheit der Patienten, die Erkrankung und ihre Behandlung in den Griff zu bekommen. Das können Ihnen viele Betroffene und ihre Familien in Selbsthilfegruppen und Patientenorganisationen berichten. Suchen Sie den Austausch – er wird Ihnen gut tun! Adressen und Ansprechpartner nennt Ihnen Ihr Hämophiliezentrum.





1. Collins PW. Hemophilia 2021; (Suppl.4): 131-135
2. Jesús Guodemar-Pérez J. et al: Physiotherapy Treatments in Musculoskeletal Pathologies Associated with Haemophilia; Hämostaseologie 2018; 38(03): 141-149, DOI: 10.5482/HAMO-16-11-0044
3. <https://www.igh.info/nachrichten/aktuelles/aktuelles/2020/update-zur-gentherapie.html>, zuletzt aufgerufen am 27.08.2021

Dieser Ratgeber wurde erstellt mithilfe fachlicher Beratung von Dr. med. Hans-Jürgen Laws und Bianca Boxnick vom Heinrich Heine Universitätsklinikum Düsseldorf.