

# Gentherapie- Register der WFH

Benutzerhandbuch für  
Hämophiliepatienten



Veröffentlicht von der World  
Federation of Hemophilia (WFH)  
© World Federation of Hemophilia,  
2022

Die World Federation of Hemophilia  
übt keine medizinische Tätigkeit aus  
und empfiehlt unter keinen Umständen  
eine bestimmte Behandlung für  
bestimmte Personen.

Die WFH gibt keine ausdrückliche oder  
stillschweigende Zusicherung, dass die  
Medikamentendosierung oder andere  
Behandlungsempfehlungen in dieser  
Publikation korrekt sind. Aus diesen  
Gründen wird dringend empfohlen,  
vor der Verabreichung der in dieser  
Publikation erwähnten Medikamente  
den Rat eines Arztes einzuholen und/  
oder die gedruckten Anweisungen des  
pharmazeutischen Unternehmens zu  
konsultieren.

Die WFH befürwortet die Übersetzung  
und Weiterverbreitung ihrer  
Publikationen zu Bildungszwecken  
durch gemeinnützige Organisationen  
im Bereich Hämophilie/  
Blutungsstörungen.

Um die Erlaubnis zum Nachdruck, zur  
Weitergabe oder zur Übersetzung  
dieser Publikation zu erhalten, wenden  
Sie sich bitte an die Bildungsabteilung  
(Department of Education) unter der  
unten angegebenen Adresse:

World Federation of Hemophilia  
1425 René Lévesque Boulevard West,  
Suite 1200, Montréal,  
Québec H3G 1T7, CANADA  
Tel.: (514) 875-7944  
Fax: (514) 875-8916  
E-mail: [wfh@wfh.org](mailto:wfh@wfh.org)  
[www.wfh.org](http://www.wfh.org)

# Inhalt

Zusammenarbeit mit Ihrem Hämophilie-Behandlungszentrum.....	2
Teilnahme und Schutzmaßnahmen .....	3
Datenschutz und Sicherheit.....	3
Aufnahme in das Gentherapie-Register der World Federation of Hemophilia.....	3
Erteilung der Einwilligungserklärung .....	4
Datenerhebung .....	4
Ausgangsdaten.....	5
Gentherapie-Infusion .....	5
Nachkontrolltermine .....	5
Sicherheit und Meldung von unerwünschten Ereignissen.....	5
Von Patienten gemeldete Ergebnisse.....	6
Sprachen .....	6
Dauer der Teilnahme am Register.....	6
Zugriff auf Daten im Gentherapie-Register der World Federation of Hemophilia.....	7
Bewährte Methoden für Hämophiliepatienten, die an dem Gentherapie-Register der World Federation of Hemophilia teilnehmen.....	7
Anhang A.....	8
Anmerkungen .....	9

**Das Gentherapie-Register (Gene Therapy Registry, GTR) der World Federation of Hemophilia (WFH) ist eine private und sichere Datenbank, die klinische Informationen über Hämophiliepatienten (People With Hemophilia, PWH) sammelt, die eine Gentherapie erhalten, sei es im Rahmen einer klinischen Studie oder als zugelassenes Produkt.**

Das WFH GTR ist für alle Hämophiliepatienten weltweit über ihr Hämophilie-Behandlungszentrum (Hemophilia Treatment Centre, HTC) zugänglich.

Nicht alle Hämophiliepatienten werden für eine Gentherapie in Frage kommen, was bedeutet, dass die Zahl der Patienten, die in dieses Register aufgenommen werden, relativ klein sein wird. Daher sind die Daten jedes Teilnehmers, der mit Gentherapie behandelt wird, von entscheidender Bedeutung. Ihre Teilnahme am WFH GTR wird dazu beitragen, unser Wissen und Verständnis der Gentherapie für Hämophiliepatienten zu erweitern, die klinische Versorgung zu verbessern und die nächste Generation von Gentherapiebehandlungen zu entwickeln.

Das WFH-GTR wurde von internationalen Experten für Gentherapie und Hämophilie entwickelt.



## **Zusammenarbeit mit Ihrem Hämophilie-Behandlungszentrum**

Das medizinische Team Ihres HTC wird während Ihrer Teilnahme am WFH GTR eng mit Ihnen und Ihren Angehörigen/Betreuern zusammenarbeiten. Sie werden Ihnen die Informationen geben, die Sie für die Teilnahme am Register benötigen, und alle Fragen beantworten, die Sie haben. Sie dienen als Hauptansprechpartner für alles, was mit Ihrer Teilnahme am Register zusammenhängt.

Bevor Sie am Register teilnehmen, sollten Sie offen mit Ihrem medizinischen Team in Ihrem HTC kommunizieren und sicherstellen, dass alle Ihre Fragen beantwortet werden. Das medizinische Team wird Ihre klinischen Daten bei jedem Ihrer geplanten Kliniktermine in das Register eingeben. Sie werden keine zusätzlichen Tests oder Termine haben, die ausschließlich auf Ihrer Teilnahme am WFH GTR beruhen.



## Teilnahme und Schutzmaßnahmen

Die Teilnahme am WFH GTR ist freiwillig. Wenn Sie sich für die Teilnahme am Register entscheiden, können Sie diese jederzeit beenden, ohne Fragen zu stellen. Ihre Behandlung und Nachsorge wird durch Ihre Entscheidung, am Register teilzunehmen oder es zu verlassen, nicht beeinträchtigt. Unabhängig von Ihrer Entscheidung erhalten Sie weiterhin dieselbe Standardbehandlung und haben regelmäßige Klinikbesuche mit Ihrem HTC, um mögliche Nebenwirkungen und den Erfolg Ihrer Behandlung zu überwachen.

**Ein unabhängiger Ausschuss, die so genannte Ethikkommission (Institutional Review Board, IRB), schützt die Rechte und das Wohlergehen der Teilnehmer des Registers. Er stellt sicher, dass alle Forschungsarbeiten nach den höchsten ethischen Standards durchgeführt werden. Ihr HTC holt die Genehmigung des örtlichen IRB ein, bevor es Teilnehmer aufnimmt.**



## Datenschutz und Sicherheit

Das WFH GTR ist äußerst sicher und entspricht den höchsten Sicherheitsstandards. Die in die Datenbank des Registers eingegebenen Daten werden de-identifiziert, um Ihre Privatsphäre zu schützen. Das bedeutet, dass Ihre Identität und die Identität aller anderen Personen, die sich in das Register eintragen, geschützt ist. Die Namen der Teilnehmer oder andere identifizierende Informationen werden nicht in der Datenbank gespeichert.



## Beitritt zum WFH GTR

Wenn Sie eine informierte Entscheidung für eine Gentherapie getroffen haben (in Zusammenarbeit mit Ihrem medizinischen Team), werden Sie eingeladen, am Register teilzunehmen. Wenn Sie bereits eine Gentherapie im Rahmen einer klinischen Studie erhalten haben, werden Sie ebenfalls zur Teilnahme eingeladen.

**Alle Hämophiliepatienten, die eine Gentherapie erhalten haben, können an dem Register teilnehmen, unabhängig davon, wo sie sich auf ihrer Gentherapie-Reise befinden, ob in der Infusionsphase oder einige Jahre später.**



## Erteilung der Einwilligungserklärung

Wenn Sie sich für die Teilnahme an dem Register entscheiden, werden Sie gebeten, eine Einwilligungserklärung zu lesen und zu unterschreiben. Darin erklären Sie, dass Sie die Vorteile und Risiken der Teilnahme am WFH GTR verstehen und mit der Teilnahme einverstanden sind.

Ihr medizinisches Team wurde darin geschult, Ihnen die notwendigen Informationen zur Verfügung zu stellen, damit Sie eine fundierte Entscheidung über die Teilnahme an dem Register treffen können. Ihr medizinisches Team wird auch dafür sorgen, dass Sie ausreichend Zeit haben, um Fragen zu stellen und mit Ihrer Familie bzw. Ihren Betreuern zu besprechen, ob Sie teilnehmen sollten. Ihr HTC wird Sie während Ihrer Teilnahme weiterhin über alle Änderungen des Registers informieren. Wenn Sie sich für die Teilnahme entscheiden, werden Sie und Ihr Arzt gebeten, die Einwilligungserklärung zu unterschreiben.



**KLICKEN SIE HIER** um das WFH-Dokument „Fragen, die Sie vor der Teilnahme an einer klinischen Studie stellen sollten“ aufzurufen.

**Bevor Sie die Einwilligungserklärung unterschreiben, wird Ihr medizinisches Team mit Ihnen zusammenarbeiten, um sicherzustellen, dass Sie die folgenden Punkte verstehen:**

- Der Zweck des Registers
- Die Verantwortlichkeiten der Teilnehmer
- Die Vorteile und Risiken der Teilnahme
- Die Teilnahme ist völlig freiwillig und kann jederzeit beendet werden
- Die voraussichtliche Dauer der Teilnahme
- Die Kontaktinformationen für Ihr HTC



## Datenerhebung

Die Daten werden bei Ihren regelmäßigen Klinikbesuchen erhoben und in die WFH GTR Datenbank eingegeben. Sie werden aufgrund Ihrer Teilnahme keine zusätzlichen Klinikbesuche, Tests oder Verfahren haben. Das Register wird von allen Teilnehmern, die eine Gentherapie erhalten haben, dieselben Daten erheben.

## Ausgangsdaten

Nachdem Sie der Teilnahme am Register zugestimmt haben, wird Ihr HTC demografische Daten erheben. Dazu gehören Informationen über Ihre Hämophilie-Diagnose und Ihre medizinische Vorgeschichte.

---

## Gentherapie-Infusion

Details zu Ihrer Gentherapie-Behandlung, einschließlich Datum und Infusionsdaten, werden in das Register eingetragen.

---

## Nachkontrolltermine

Nachdem Sie eine Gentherapie erhalten haben, wird Ihr HTC jedes Mal, wenn Sie zu einem Termin kommen, Daten erheben. Dazu gehören mehrere Termine in den ersten zwei Jahren, um festzustellen, wie gut die Behandlung anschlägt und um Ihre Gesundheit und Sicherheit zu gewährleisten, und danach mindestens einmal jährlich.

**Die Teilnahme an dem Register hat keinen Einfluss auf Ihre Behandlung oder Ihren Besuchsplan in der Klinik.**

---

## Sicherheit und Meldung von unerwünschten Ereignissen

Wie bei jedem neuen Medikament oder Verfahren müssen Sie alle gesundheitlichen Ereignisse Ihrem HTC mitteilen. Bei jedem Klinikbesuch wird Ihr medizinisches Team Sie nach den Nebenwirkungen fragen, die Sie erfahren haben. Diese Informationen werden in dem Register für alle teilnehmenden Hämophiliepatienten erhoben. Durch die Erfassung dieser Daten aller Registerteilnehmer aus der ganzen Welt können die Ärzte alle häufigen oder schwerwiegenden Nebenwirkungen im Zusammenhang mit der Gentherapie identifizieren.

## Von Patienten gemeldete Ergebnisse

Zusätzlich zu den medizinischen Daten, die bei jedem Termin erhoben werden, haben Sie die Möglichkeit, über eine mobile Anwendung („myGTR“) von Ihrem Smartphone aus Informationen direkt in das Register einzugeben. Daten, die Sie direkt eingeben, werden als PRO-Daten (Patient-Reported Outcome) bezeichnet. Dazu gehören Informationen über Ihre Lebensqualität, über die Auswirkungen Ihrer Erkrankung auf Sie und über Blutungen oder Behandlungen, die Sie erhalten.

**PRO-Daten sind wichtig, denn sie ermöglichen es Ihnen, Ihre eigenen Erfahrungen und Perspektiven in das Register einzubringen. Die Daten, die Sie in myGTR eingeben, werden direkt an die WFH GTR-Datenbank auf Ihrem HTC übermittelt, und Ihr Arzt kann sie einsehen. Außerdem erhalten Sie die Ausgabedaten in der Anwendung auf Ihrem Smartphone, so dass Sie Ihre Fortschritte im Laufe der Zeit verfolgen können.**

## Sprachen

Zunächst wird das Register in englischer Sprache verfügbar sein, wobei geplant ist, es bei Bedarf in andere Sprachen zu übersetzen. Die mobile Patienten-App, myGTR, wird ebenfalls in Englisch und bei Bedarf in anderen Sprachen verfügbar sein.

## Dauer der Teilnahme am Register

Die langfristigen Daten, die im Register erhoben werden, sind für Sie und Ihre Kollegen wichtig, da sie zum Verständnis der weltweiten Hämophilie-Gemeinschaft für die Gentherapie beitragen werden. Es ist wichtig, dass Sie langfristig in dem Register bleiben. Es steht Ihnen jedoch frei, die Teilnahme an dem Register jederzeit und aus jedem beliebigen Grund zu beenden – sprechen Sie einfach mit Ihrem medizinischen Team, um es zu informieren. Bei größeren Änderungen im WFH GTR wird sich Ihr medizinisches Team mit Ihnen in Verbindung setzen, und Sie werden möglicherweise gebeten, eine neue Einwilligungserklärung zu unterzeichnen.





## Zugriff auf Daten im WFH GTR

Sie können jederzeit auf Ihre Daten zugreifen, indem Sie mit Ihrem medizinischen Team sprechen. Auch die Mitarbeiter Ihres medizinischen Teams haben die Möglichkeit, Ihre Daten im Register einzusehen und darauf zuzugreifen. Die WFH und der Datenbankanbieter können alle anonymisierten Daten einsehen, die in das Register eingegeben wurden. Der wissenschaftliche Beirat des WFH-GTR verwaltet die Daten des Registers und wird alle Datenanfragen bewerten und genehmigen (siehe Anhang A).

Forscher, Hersteller und andere Interessengruppen können bei der WFH einen Antrag auf Zugriff zu de-identifizierten Daten stellen, um Trends zu untersuchen und Forschungsfragen zu beantworten. Hersteller werden Zugriff auf de-identifizierten Daten haben, um produktspezifische Sicherheits- und Wirksamkeitsergebnisse zu untersuchen. Indem Sie an diesem Register teilnehmen, tragen Sie zur Entwicklung der nächsten Generation von Genterapie-Behandlungen bei.



## Bewährte Methoden für Hämophiliepatienten, die am WFH GTR teilnehmen

- Schreiben Sie Ihre Fragen im Voraus auf und bringen Sie sie zu Ihren Klinikbesuchen mit.
- Wenn Sie etwas nicht verstehen, fragen Sie einfach! Das Forschungs- oder Klinikteam geht davon aus, dass Sie Fragen an sie haben werden, also stellen Sie so viele Fragen wie nötig.
- Nehmen Sie unbedingt alle HTC-Termine wahr. Diese sind wichtig, um Ihre Gesundheit und Sicherheit zu überwachen und die Ergebnisse der Genterapie für künftige Generationen zu verbessern.
- Halten Sie die Kommunikation mit Ihrem medizinischen Team offen. Sprechen Sie mit ihnen über Ihre gesundheitlichen Bedenken und andere Hindernisse, denen Sie bei Ihrer Nachsorge begegnen könnten.
- Nutzen Sie die mobile App myGTR!

# Anhang A

## Wissenschaftlicher Beirat des WFH GTR

World Federation of Hemophilia; Mitglied des medizinischen Vorstands  
(Vorsitzender des WFH GTR-Lenkungsausschusses)

---

World Federation of Hemophilia; Vizepräsident – Medizin

---

National Hemophilia Foundation [Nationale Stiftung für Hämophilie]; Vertreter  
des medizinischen und wissenschaftlichen Beirats

---

European Haemophilia Consortium [Europäisches Konsortium für Hämophilie];  
Vertreter des medizinischen Beirats

---

European Association for Haemophilia and Allied Disorders [Europäischer  
Verband für Hämophilie und verwandte Krankheiten]; Vertreter

---

International Society on Thrombosis and Homeostasis [Internationale Gesellschaft  
für Thrombose und Hämostase]; Vertreter

---

Patientenfürsprecher (2)

Die GTR wird unterstützt durch Fördermittel von:

### VISIONÄRE GÖNNER

 BIOMARIN<sup>®</sup>

 **CSL Behring**  
Biotherapies for Life<sup>™</sup>

 **Pfizer**

 **Spark**<sup>™</sup>  
THERAPEUTICS

### GÖNNER

 **Takeda**



World Federation of Hemophilia  
1425 René Lévesque Boulevard West,  
Suite 1200, Montréal,  
Québec H3G 1T7, CANADA  
Tel.: (514) 875-7944  
Fax: (514) 875-8916  
E-mail: [wfh@wfh.org](mailto:wfh@wfh.org)

[www.wfh.org](http://www.wfh.org)

