



ÜBERSICHTSARTIKEL

Krumb, E. and Hermans, C. [Living with a "hemophilia-free mind" - The new ambition of hemophilia care?](#) *Res Pract Thrombosis Haemostasis*; 2021; 5, e12567.

Srivastava, A et al. [WFH Guidelines for the Management of Hemophilia](#), 3rd edition. *Haemophilia* 2020; 26, 1-158.

Weyand AC, Pipe SW. [New therapies for hemophilia](#). *Blood* 2019; 133:389-398.

GERINNUNGSFAKTORERSATZTHERAPIE

Zugelassene SHL-Präparate für Hämophilie A (Präparate mit Standard-Halbwertszeit)

| | | | |
|-------------------|---------------------|---------------------|-------------------------------|
| ADVATE | FDA | EMA | Health Canada |
| Kogenate FS | FDA | | |
| KOVALTRY | FDA | EMA | |
| Novoeight | FDA | EMA | |
| NUWIQ | FDA | EMA | Health Canada |
| XYNTHA/ReFacto AF | FDA | EMA | Health Canada |

Zugelassene EHL-Präparate für Hämophilie A (Präparate mit verlängerter Halbwertszeit)

| | | | |
|-------------------|---------------------|---------------------|-------------------------------|
| ADYNOVATE/ADYNOVI | FDA | EMA | Health Canada |
| ELOCTATE/Elocta | FDA | EMA | Health Canada |
| ESPEROCT | FDA | EMA | Health Canada |
| JIVI | FDA | EMA | Health Canada |

Zugelassene UHL-Präparate für Hämophilie A (Präparate mit ultralanger Halbwertszeit)

| | | | |
|------------|---------------------|--|--|
| ALTUVIIIIO | FDA | | |
|------------|---------------------|--|--|

Zugelassene SHL-Präparate für Hämophilie B (Präparate mit Standard-Halbwertszeit)

| | | | |
|---------|---------------------|---------------------|-------------------------------|
| BeneFIX | FDA | EMA | Health Canada |
| IXINITY | FDA | | |
| RIXUBIS | FDA | EMA | Health Canada |

Zugelassene EHL-Präparate für Hämophilie B (Präparate mit verlängerter Halbwertszeit)

| | | | |
|-----------------|---------------------|---------------------|-------------------------------|
| ALPROLIX | FDA | EMA | Health Canada |
| IDELVION | FDA | EMA | Health Canada |
| REBINYN/Refixia | FDA | EMA | Health Canada |

THERAPIE MIT BISPEZIFISCHEN ANTIKÖRPERN

Zugelassene Präparate

HEMLIBRA (Emicizumab)

[FDA](#)

[EMA](#)

[Health Canada](#)

Phase 3-Studien

Laufende Phase 3-Studien für Mim8: NCT05053139, NCT05306418, NCT05685238 und NCT05878938.

HÄMOSTATISCHE REBALANCING-THERAPIE

Zugelassene Präparate

Alhemo (Concizumab)

[Health Canada](#)

Matsushita T. et al. Phase 3 Trial of Concizumab in Hemophilia with Inhibitors. N. Engl. J. Med. 389, 783-794 (2023).

Phase 3-Studien

Young G et al. Efficacy and safety of fitusiran prophylaxis in people with haemophilia A or haemophilia B with inhibitors (ATLAS-INH): a multicentre, open-label, randomised phase 3 trial. Lancet 2023; 401:1427-1437.

Srivastava, A et al. Fitusiran prophylaxis in people with severe haemophilia A or haemophilia B without inhibitors (ATLAS-A/B): a multicentre, open-label, randomised, phase 3 trial. Lancet Haematol. 2023; 10, e322-e332.

Pfizer. Pfizer Announces Positive Marstacimab Results from Pivotal Phase 3 Hemophilia A and B Trial. May 30, 2023.

GENTHERAPIE ALLGEMEIN

Konkle BA et al. World Federation of Hemophilia Gene Therapy Registry. Haemophilia 2020;26:563-564.

Miesbach W, Klamroth R. The Patient Experience of Gene Therapy for Hemophilia: Qualitative Interviews with Trial Patients. Patient Prefer Adherence 2020; 14:767-770.

Pierce GF, Iorio A. Past, present and future of haemophilia gene therapy: From vectors and transgenes to known and unknown outcomes. Haemophilia 2018; 24 Suppl 6:60-67.

Wang M et al. The Hemophilia Gene Therapy Patient Journey: Questions and Answers for Shared Decision-Making. Patient Prefer Adherence 2022; 16:1439-1447.

GENTHERAPIE FÜR HÄMOPHILIE A

Zugelassene Präparate

ROCTAVIAN [FDA](#) [EMA](#)

Wichtige klinische Studien

Mahlangu J et al. [Two-Year Outcomes of Valoctocogene Roxaparovec Therapy for Hemophilia A](#). *N Engl J Med* 2023; 388:694-705.

Ozelo MC et al. [Valoctocogene Roxaparovec Gene Therapy for Hemophilia A](#). *N Engl J Med* 2022; 386:1013-1025.

GENTHERAPIE FÜR HÄMOPHILIE B

Zugelassene Präparate

HEMGENIX [FDA](#) [EMA](#) Health Canada
BEQVEZ Health Canada

Wichtige klinische Studien

Pipe SW et al. [Gene Therapy with Etranacogene Dezaparovec for Hemophilia B](#). *N Engl J Med* 2023; 388:706-718.

Zuletzt überarbeitet: August 2024

Dies ist ein dynamisches Dokument, das zweimal im Kalenderjahr mit neuen Ergebnissen aktualisiert wird. Die Stichtage sind jeweils der 30. Juni und der 31. Dezember, die Updates erfolgen in den darauffolgenden Monaten. Alle neuen Ergebnisse, die sich nach den Stichtagen ergeben, erscheinen im nächsten Update.