



SDM

WFH SHARED DECISION
MAKING TOOL



WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA
FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOPHILIE
FEDERACION MUNDIAL DE HEMOFILIA

REFERENTIES

ONDERZOEKSARTIKELEN

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.

STOLLINGSFACTOR THERAPIE

Goedgekeurde SHL-producten voor hemofilie A

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

Goedgekeurde EHL-producten voor hemofilie A

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

Goedgekeurde UHL-producten voor hemofilie A

ALTUVIIIIO	FDA		
------------	---------------------	--	--

Goedgekeurde SHL-producten voor hemofilie B

BeneFIX	FDA	EMA	Health Canada
IXINITY	FDA		
RIXUBIS	FDA	EMA	Health Canada

Goedgekeurde EHL-producten voor hemofilie B

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

BISPECIFIEKE ANTILICHAAMTHERAPIE

Goedgekeurde producten

HEMLIBRA (Emicizumab)

[FDA](#)

[EMA](#)

[Health Canada](#)

Fase 3 studies

Lopende fase 3 studies voor Mim8: NCT05053139, NCT05306418, NCT05685238, en NCT05878938.

EVENWICHT AANPASSENDE THERAPIE

Goedgekeurde producten

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).

Fase 3 studies

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 ALGEMEEN

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 VOOR HEMOFILIE A

Goedgekeurde producten

ROCTAVIAN

[FDA](#)

[EMA](#)

Belangrijkste klinische studies

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 VOOR HEMOFILIE B

Goedgekeurde producten

HEMGENIX

[FDA](#)

[EMA](#)

[Health Canada](#)

BEQVEZ

[Health Canada](#)

Belangrijkste klinische studies

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

Laatste revisie: Augustus 2024

Dit is een levend document dat twee keer per kalenderjaar wordt geactualiseerd met nieuwe wetenschappelijke gegevens. De afsluitdatums zijn 30 juni en 31 december en de updates vinden tijdens de volgende maand(en) plaats. Eventuele gegevens die na die afsluitdatums beschikbaar worden, zullen in de volgende update worden verwerkt.