



SDM

WFH SHARED DECISION
MAKING TOOL

STOLLINGSFACTORTHERAPIE

STOLLINGSFACTORTHERAPIE

Wat zijn stollingsfactoren?

Stollingsfactoren worden gebruikt voor de profylactische behandeling van hemofilie A en hemofilie B. Door toediening van de ontbrekende factor VIII of factor IX in het bloed, kan het bloed weer goed stollen. Deze stollingsfactoren kunnen ook worden gebruikt voor on demand (indien nodig) behandelingen.

Stollingsfactoren zorgen ervoor dat de factorniveaus snel stijgen door het juiste stollingsfactoreiwit te leveren. Het lichaam maakt die stollingsfactor niet zelf aan. De effecten zijn dus tijdelijk. De injecties moeten regelmatig worden toegediend om voldoende hoge stollingsfactorniveaus te houden en bloedingen te voorkomen (profylaxe). Ze kunnen ook worden gebruikt om een bloeding te stoppen (on demand). Het toedieningschema voor profylaxe verschilt per product.

Welke types stollingsfactoren zijn er?

Er zijn drie soorten stollingsfactor therapieën: standaard halfwaardetijd (SHL), verlengde halfwaardetijd (EHL) en ultralange halfwaardetijd (UHL, alleen voor hemofilie A). Na injectie met een stollingsfactor stijgen factorniveaus meteen, maar dalen ze binnen enkele dagen weer. De term halfwaardetijd verwijst naar de tijd die het duurt tot de hoeveelheid stollingsfactor in het lichaam met de helft is gedaald.

Voor hemofilie A en B zijn verschillende SHL- en EHL-geneesmiddelen beschikbaar. De nieuwste stollingsfactor voor hemofilie A is het UHL-product efanesoctocog alfa, dat een 3 tot 4 keer langere halfwaardetijd heeft dan andere FVIII stollingsfactoren en waardoor het middel minder vaak moet worden toegediend.¹ Die langere halfwaardetijd zorgt voor een milde tot normale factor VIII-activiteit tussen de toedieningen. Daarom spreekt men soms van 'high sustaining factor' (HSF) therapie.



Factortherapie met
standaard
halfwaardetijd (SHL)



Factortherapie met
verlengde
halfwaardetijd (EHL)



Factortherapie met
ultralange
halfwaardetijd (UHL)

Op welke manier verschillen stollingsfactor therapieën van andere behandelingen voor hemofilie?

De belangrijkste behandelingstypes voor hemofilie zijn stollingsfactor therapie, bispecifieke antilichamen, evenwicht aanpassende therapieën en genterapie. Al die behandelingen helpen het bloed beter te stollen, maar ze werken elk op een andere manier.

1. **Stollingsfactor vervangende therapieën** verhogen tijdelijk de factorniveaus door het juiste stollingsfactoreiwit rechtstreeks in het bloed van iemand met hemofilie te brengen.
2. **Bispecifieke antilichamen** gedragen zich als een brug tussen factor IXa en factor X, zodat het bloed beter stolt. Deze antilichaambrug doet de functie van de ontbrekende geactiveerde factor VIII na. Dit wordt ook wel een factor VIIIa-mimeticum genoemd.
3. **Evenwicht aanpassende therapieën** herstellen het verstoorde evenwicht tussen de antistollingsfactoren en de stollingsfactoren in het bloed, en zorgen zo voor een betere bloedstolling.
4. **Genterapie** brengt een werkende kopie van het stollingsfactorgen in. Als het gen is ingebracht, kan het lichaam zelf het ontbrekende eiwit aanmaken en voor een lange periode de stollingsfactoren op het geschikte niveau houden.

BEHANDELING MET STOLLINGSFACTOR THERAPIEËN

Voor wie zijn stollingsfactorthapieën geschikt?

Volwassenen en kinderen met hemofilie A of B die geen remmers hebben, komen in aanmerking voor stollingsfactor vervangende therapie.¹

Hoe worden profylactische stollingsfactoren toegediend?

Stollingsfactoren worden thuis of in een ziekenhuis toegediend via een injectie in de ader. Dit duurt meestal 5–10 minuten.

Hoe vaak moet ik het middel gebruiken voor profylaxe?

Doel van profylactische behandeling met een stollingsfactor is om de factorniveaus voldoende hoog te houden om te zorgen dat je geen bloedingen krijgt. Het aantal toedieningen en dosering van de infusie zijn afhankelijk van wat iemand nodig heeft, ernst van de hemofilie en type product. De injecties met stollingsfactor moeten regelmatig worden toegediend om de factorniveaus hoog te houden en bloedingen te voorkomen. Bij hemofilie A wordt een SHL-therapie meestal 2–4 keer per week toegediend, een EHL-therapie 2 keer per week en een UHL-therapie 1 keer per week.¹

Bij hemofilie B worden SHL- en EHL-therapieën meestal 1–2 keer per week toegediend.

Kunnen stollingsfactoren worden gecombineerd met andere hemofiliebehandelingen?

Ja, stollingsfactor therapieën kunnen worden gecombineerd met andere hemofiliebehandelingen.¹

WERKZAAMHEID VAN STOLLINGSFACTOR THERAPIEËN

Wat is de invloed op de stollingsfactorniveaus?

De factorniveaus stijgen meteen na de behandeling en dalen snel. Zonder herhaling zakt binnen enkele dagen het niveau naar de beginwaarde. Omdat de factorniveaus snel dalen, is een regelmatige behandeling nodig. De tijd die voorbijgaat tot de hoeveelheid stollingsfactor in het bloed met de helft gedaald is, wordt halfwaardetijd genoemd. EHL en UHL factor therapieën blijven langer in het bloed en kun je dus minder vaak toedienen om de factorniveaus op het gewenste niveau te houden.¹ Bij UHL-therapieën blijven de factorniveaus in de vier dagen na de behandeling op een bijna normaal niveau.

Welke invloed hebben stollingsfactor vervangende therapieën op mijn jaarlijks aantal bloedingen?

Elke profylactische behandeling zal waarschijnlijk jouw jaarlijks aantal bloedingen verminderen. Het jaarlijks aantal bloedingen is de som van alle bloedingen in de afgelopen 12 maanden. Dit getal is sterk afhankelijk van persoonlijke kenmerken zoals leeftijd, bloedingen in het verleden, lichaamsbeweging, levensstijl, dosering en of je je houdt aan het doseringsschema.

Het getal van jaarlijkse bloedingen wordt meestal weergegeven als een gemiddelde of mediaan (de middelste waarde binnen de dataset). In klinische studies bij volwassenen met hemofilie bedraagt het mediane aantal jaarlijkse bloedingen bij gebruik van SHL stollingsfactoren 0–2 voor hemofilie A en 1–2 voor hemofilie B.¹ Het gerapporteerde mediane jaarlijkse aantal bloedingen met EHL stollingsfactoren bedraagt 1–2 voor hemofilie A en voor hemofilie B.¹

De UHL stollingsfactor efanesoctocog alfa is alleen voor hemofilie A verkrijgbaar en het gerapporteerde mediane aantal bloedingen per jaar is 0. 55% van de patiënten had geen bloedingen en 64% van de patiënten had geen bloedingen die moesten worden behandeld.¹

VEILIGHEID VAN STOLLINGSFACTOR THERAPIEËN

Wat zijn de mogelijke bijwerkingen van stollingsfactor therapieën?

De meeste bijwerkingen van stollingsfactor therapieën zijn reacties op de injectieplaats en allergische reacties. De gemelde bijwerkingen verschillen per product.

Zijn er bekende ernstige bijwerkingen of risico's?

Een van de meest belangrijke bijwerkingen van stollingsfactor therapie is de mogelijke ontwikkeling van remmers. Dat zijn antilichamen die zich aan de stollingsfactoren kunnen binden. De remmende antilichamen verminderen de werkzaamheid van de behandeling en verhogen het risico op bloedingen. Remmers ontwikkelen zich meestal binnen de eerste 75 dagen van de toediening. Het komt voor bij ongeveer 20–30% van de voorheen onbehandelde mensen met hemofilie A en 3–5% van de voorheen onbehandelde mensen met hemofilie B.² Het percentage patiënten bij wie remmers optreden na UHL-therapie, is onbekend.

CONTROLES BIJ STOLLINGSFACTOR THERAPIE

Hoe vaak is follow-up en monitoring nodig na de stollingsfactor therapie?

Zoals bij alle behandelingen voor hemofilie wordt een regelmatige controle door jouw behandelteam aangeraden. Jaarlijks en telkens wanneer nodig moet een controle plaatsvinden.

Wat gebeurt er bij een bloeding, verwonding of operatie?

Het behandelteam zal samen met jou een persoonlijk behandelplan opstellen voor de aanpak van bloedingen, verwondingen en operaties als je profylaxe gebruikt. Dit houdt waarschijnlijk in extra giften stollingsfactor, extra medicatie en/of fysiotherapie om bloedingen en pijn onder controle te houden.

Bij een operatie, zal jouw behandelteam de behandeling netjes aanpassen om ervoor te zorgen dat je voldoende stollingsfactor hebt voor de operatie. Dit kan betekenen dat de dosis stollingsfactor vóór en na de operatie wordt verhoogd.

BEHANDELING MET STOLLINGSFACTOR THERAPIE BIJ KINDEREN EN JONGEREN

Zijn stollingsfactor therapieën goedgekeurd voor gebruik bij kinderen en jongeren?

Ja. De meeste SHL, EHL en UHL stollingsfactor therapieën zijn goedgekeurd voor profylactisch en on demand gebruik bij baby's, kinderen en jongeren.

Zijn er nog bijzonderheden bij de behandeling van kinderen met stollingsfactor therapieën?

Bij baby's, kinderen en jongeren verdwijnt het geneesmiddel over het algemeen sneller uit het lichaam. Voor vele SHL- en EHL-geneesmiddelen hebben kinderen en adolescenten dus mogelijk, of een hogere dosering, of moet het middel vaker worden toegediend. Dit bespreekt het behandelteam met je. De dosis of de toedieningsfrequentie van de UHL-medicatie efanesoctocog alfa hoeft niet te worden aangepast bij kinderen.

- 1 Productinformatie voor SHL-, EHL- en UHL-producten die zijn goedgekeurd door de FDA en het EMA.
- 2 Srivastava, A, Santagostino, E, Dougall, A, et al. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. Haemophilia. 2020; 26(Suppl 6): 1–158.

Laatste revisie: maart 2025

Dit is een levend document dat twee keer per kalenderjaar wordt geactualiseerd met nieuwe wetenschappelijke gegevens. De afsluitdatums zijn 31 juli en 31 januari 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.