



SDM

WFH SHARED DECISION
MAKING TOOL



WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA
FÉDÉRATION MONDIALE DE HÉMOPHILIE
FEDERACIÓN MUNDIAL DE HEMOFILIA

REFERENCES

PREGLEDNI ČLANCI

Krumb, E. i Hermans, C. [Život „bez razmišljanja o hemofiliji“ – nova ambicija skrbi za hemofiliju \(Living with a “hemophilia-free mind” – The new ambition of hemophilia care\)? Res Pract Thrombosis Haemostasis; 2021; 5, e12567.](#)

Srivastava, A et al. [WFH smjernice za liječenje hemofilije \(WFH Guidelines for the Management of Hemophilia\)](#), 3. izdanje. *Haemophilia* 2020; 26, 1-158.

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

TERAPIJA NADOMJESNOG FAKTORA ZGRUŠAVANJA

Odobreni SHL proizvodi za hemofiliju 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

Odobreni EHL proizvodi za hemofiliju A

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

Odobreni UHL proizvodi za hemofiliju A

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

Odobreni SHL proizvodi za hemofiliju B

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

Odobreni EHL proizvodi za hemofiliju B

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

TERAPIJA BISPECIFIČNIM ANTITIJELIMA

Odobreni proizvodi

HEMLIBRA (Emicizumab)	FDA	EMA	Health Canada
-----------------------	---------------------	---------------------	-------------------------------

Studije Faze 3

Studije Faze 3 u tijeku za Mim8: NCT05053139, NCT05306418, NCT05685238 i NCT05878938.

TERAPIJA HEMOSTATSKE RAVNOTEŽE

Odobreni proizvodi

Alhemo (Concizumab)	FDA	EMA	Health Canada
Hympavzi (Marstacimab)	FDA	EMA	
Qfitlia (fitusiran)	FDA		

Studije Faze 3

Matsushita, T. et al. [Faza 3 ispitivanja Concizumaba kod hemofilije s inhibitorima \(Phase 3 Trial of Concizumab in Hemophilia with Inhibitors\)](#). N. Engl. J. Med. 389, 783-794 (2023).

Pfizer. [Pfizer objavljuje pozitivne rezultate Marstacimaba iz ključnog ispitivanja Faze 3 hemofilije A i B \(Pfizer Announces Positive Marstacimab Results from Pivotal Phase 3 Hemophilia A and B Trial\)](#). 30. svibnja 2023.

Srivastava, A et al. [Profilaksa Fitusiranom kod osoba s teškom hemofilijom A ili hemofilijom B bez inhibitora \(ATLAS-A/B\): multicentrično, otvoreno, randomizirano ispitivanje faze 3 \(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.

Young G et al. [Učinkovitost i sigurnost profilakse fitusiranom kod osoba s hemofilijom A ili hemofilijom B s inhibitorima \(ATLAS-INH\): multicentrično, otvoreno,](#)

[randomizirano ispitivanje faze 3 \(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.](#)

OPĆENITO O GENSKOJ TERAPIJI

Konkle BA *et al.* [Registar genske terapije Svjetske federacije za hemofiliju \(World Federation of Hemophilia Gene Therapy Registry\)](#). *Haemophilia* 2020;26:563-564.

Miesbach W, Klamroth R. [Iskustvo pacijenata s genskom terapijom hemofilije: Kvalitativni intervjui s pacijentima koji su sudjelovali u ispitivanju \(The Patient Experience of Gene Therapy for Hemophilia: Qualitative Interviews with Trial Patients\)](#). *Patient Prefer Adherence* 2020; 14:767-770.

Pierce GF, Iorio A. [Prošlost, sadašnjost i budućnost genske terapije hemofilije: Od vektora i transgena do poznatih i nepoznatih ishoda \(Past, present and future of haemophilia gene therapy: From vectors and transgenes to known and unknown outcomes\)](#). *Haemophilia* 2018; 24 Suppl 6:60-67.

Wang M *et al.* [Put pacijenta kroz gensku terapiju za hemofiliju: Pitanja i odgovori za zajedničko donošenje odluka \(The Hemophilia Gene Therapy Patient Journey: Questions and Answers for Shared Decision-Making\)](#). *Patient Prefer Adherence* 2022; 16:1439-1447.

GENSKA TERAPIJA ZA HEMOFILIJU A

Odobreni proizvodi

ROCTAVIAN

[FDA](#)

[EMA](#)

Ključne kliničke studije

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

Leavitt AD *et al.* [Učinkovitost, sigurnost i kvaliteta života 4 godine nakon prijenosa gena valoctocogena roxaparovec za tešku hemofiliju A u fazi 3 ispitivanja GENE8-1. \(Efficacy, safety, and quality of life 4 years after valoctocogene roxaparovec gene transfer for severe hemophilia A in the phase 3 GENE8-1 trial.\)](#) *Res Pract Thromb Haemost* 2024; 8(8):102615.

GENSKA TERAPIJA ZA HEMOFILIJU B

Odobreni proizvodi

HEMGENIX	FDA	EMA	Health Canada
BEQVEZ	FDA	EMA	Health Canada

Ključne kliničke studije

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

Coppens M *et al.* [Genska terapija uz Etranacogene Dezaparovec za hemofiliju B \(HOPE-B\): 24-mjesečni post-hoc podaci o učinkovitosti i sigurnosti iz multicentričnog ispitivanja faze 3 s jednom skupinom \(Etranacogene dezaparovec gene therapy for haemophilia B \(HOPE-B\): 24-month post-hoc efficacy and safety data from a single-arm, multicentre, phase 3 trial.\)](#) *Lancet Haematol* 2024; 11: e265-e275.

Cuker A *et al.* [Genska terapija uz Fidanacogene Elaparovec u odraslih s hemofilijom B. \(Gene Therapy with Fidanacogene Elaparovec in Adults with Hemophilia B.\)](#) *N Engl J Med* 2024; 391:1108-1118.

Zadnja revizija: Ožujak 2025.

Ovo je „živi“ dokument koji će se ažurirati novim dokazima dva puta godišnje. Krajnji su datumi 31. srpnja i 31. siječnja, a ažuriranja se provode u sljedećem mjesecu / sljedećim mjesecima. Svi novi dokazi nakon tih krajnjih datuma bit će uključeni u sljedeće ažuriranje.