



SDM

WFH SHARED DECISION
MAKING TOOL



REFERENCES

ARTIKEL KAJIAN SEMULA

Krumb, E. and Hermans, C. Hidup dengan "minda yang bebas daripada hemofilia" – Cita-cita baharu penjagaan hemofilia (Living with a "hemophilia-free mind" – The new ambition of hemophilia care)? *Res Pract Thrombosis Haemostasis*; 2021; 5, e12567.

Srivastava, A et al. Garis Panduan WFH untuk Pengurusan Hemofilia (WFH Guidelines for the Management of Hemophilia), 3rd edition. *Haemophilia* 2020; 26, 1-158.

Weyand AC, Pipe SW. Terapi baharu untuk hemofilia (New therapies for hemophilia). *Blood* 2019; 133:389-398.

TERAPI PENGANTIAN FAKTOR PEMBEKUAN

Produk SHL (Separuh Hayat Standard) yang Diluluskan untuk Hemofilia 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

Produk EHL (Separuh Hayat Lanjutan) yang Diluluskan untuk Hemofilia A

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

Produk UHL (Separuh Hayat Ultra Panjang) yang Diluluskan untuk Hemofilia A

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

Produk SHL (Separuh Hayat Standard) yang Diluluskan untuk Hemofilia B

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

Produk EHL (Separuh Hayat Lanjutan) yang Diluluskan untuk Hemofilia B

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



TERAPI ANTIBODI DWIKHUSUS

Produk yang Telah Diluluskan

HEMLIBRA (Emicizumab)

[FDA](#)

[EMA](#)

[Health Canada](#)

Kajian Fasa 3

Kajian Fasa 3 yang Sedang Berlangsung untuk Mim8: NCT05053139, NCT05306418, NCT05685238 dan NCT05878938.

TERAPI PENGIMBANGAN SEMULA HEMOSTATIK

Produk yang Telah Diluluskan

Alhemo (Concizumab)

[FDA](#)

[EMA](#)

[Health Canada](#)

Hympavzi (Marstacimab)

[FDA](#)

[EMA](#)

Qfitlia (fitusiran)

[FDA](#)

Kajian Fasa 3

Matsushita, T. et al. [Percubaan Fasa 3 bagi Concizumab dalam Hemofilia dengan Perencat \(Phase 3 Trial of Concizumab in Hemophilia with Inhibitors\)](#). N. Engl. J. Med. 389, 783-794 (2023).

Pfizer. [Pfizer Mengumumkan Hasil Positif bagi Marstacimab daripada Percubaan Hemofilia A dan B Fasa 3 yang Penting \(Pfizer Announces Positive Marstacimab Results from Pivotal Phase 3 Hemophilia A and B Trial\)](#). 30 Mei 2023.

Srivastava, A et al. [Profilaksis Fitusiran pada penghidap hemofilia A atau hemofilia B yang teruk atau hemofilia B tanpa perencat \(ATLAS-A/B\): percubaan fasa 3, terawak, label terbuka, berbilang pusat \(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. [Keberkesanan dan keselamatan profilaksis fitusiran pada penghidap hemofilia A atau hemofilia B dengan perencat \(ATLAS-INH\): percubaan fasa 3, terawak, label terbuka, berbilang pusat \(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.

TERAPI GEN UMUM

Konkle BA *et al.* [Persekutuan Daftar Terapi Gen Hemofilia Sedunia \(World Federation of Hemophilia Gene Therapy Registry\)](#). *Haemophilia* 2020;26:563-564.

Miesbach W, Klamroth R. [Pengalaman Pesakit Terapi Gen untuk Hemofilia: Temu Bual Kualitatif bersama Pesakit Percubaan \(The Patient Experience of Gene Therapy for Hemophilia: Qualitative Interviews with Trial Patients\)](#). *Patient Prefer Adherence* 2020; 14:767-770.

Pierce GF, Iorio A. [Masa lalu, perkembangan semasa dan masa hadapan terapi gen hemofilia: Daripada vektor dan transgen kepada hasil yang diketahui dan tidak diketahui \(Past, present and future of haemophilia gene therapy: From vectors and transgenes to known and unknown outcomes\)](#). *Haemophilia* 2018; 24 Suppl 6:60-67.

Wang M *et al.* [Perjalanan Pesakit Terapi Gen Hemofilia: Soalan dan Jawapan untuk Membuat Keputusan Bersama \(The Hemophilia Gene Therapy Patient Journey: Questions and Answers for Shared Decision-Making\)](#). *Patient Prefer Adherence* 2022; 16:1439-1447.

TERAPI GEN UNTUK HEMOFILIA A

Produk yang Telah Diluluskan

ROCTAVIAN

[FDA](#)

[EMA](#)

Kajian Klinikal Utama

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

Leavitt AD *et al.* [Keberkesanan, keselamatan dan kualiti kehidupan 4 tahun selepas pemindahan gen valoctocogene roxaparovec untuk hemofilia A yang teruk dalam percubaan GENEr8-1 fasa 3 \(Efficacy, safety, and quality of life 4 years after valoctocogene roxaparovec gene transfer for severe hemophilia A in the phase 3 GENEr8-1 trial\)](#). *Res Pract Thromb Haemost* 2024; 8(8):102615.

TERAPI GEN UNTUK HEMOFILIA B

Produk yang Telah Diluluskan

HEMGENIX

[FDA](#)

[EMA](#)

[Health Canada](#)

BEQVEZ

[FDA](#)

[EMA](#)

[Health Canada](#)

Kajian Klinikal Utama

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

Coppens M *et al.* [Terapi gen etranacogene dezaparovec untuk hemofilia B \(HOPE-B\): data keberkesanan dan keselamatan post hoc daripada percubaan fasa 3, berbilang pusat, cabang tunggal \(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.* [Terapi Gen dengan Fidanacogene Elaparovec pada Orang Dewasa yang Menghidap Hemofilia B \(Gene Therapy with Fidanacogene Elaparovec in Adults with Hemophilia B\)](#). *N Engl J Med* 2024; 391:1108-1118.

Kali terakhir disemak: Mac 2025

Ini ialah dokumen 'hidup' yang akan dikemaskinikan dengan bukti baharu dua kali dalam setiap tahun kalendar. Tarikh tutup ialah 31 Julai dan 31 Januari, dengan kemas kini dilakukan pada bulan yang berikutnya. Sebarang bukti baharu selepas tarikh tutup ini akan disertakan dalam kemas kini yang seterusnya.