



# SDM

WFH SHARED DECISION  
MAKING TOOL



## REFERENCER

### ARTIKLER

Krumb, E. og Hermans, C. [Et liv uden konstante bekymringer om hæmofili - den nye ambition i hæmofilibehandlingen \(Living with a "hemophilia-free mind" - The new ambition of hemophilia care\)?](#) *Res Pract Thrombosis Haemostasis*; 2021; 5, e12567.

Srivastava, A. et al. [WFH-retningslinjer for behandling af hæmofili \(WFH Guidelines for the Management of Hemophilia\)](#), 3. udgave. *Haemophilia* 2020; 26, 1-158.

Weyand, A.C., Pipe, S.W. [Nye behandlinger inden for hæmofili \(New therapies for hemophilia\)](#). *Blood* 2019; 133:389-398.

### BEHANDLING MED KOAGULATIONSAKTIVATORER

#### Godkendte SHL-produkter til hæmofili A

ADVATE	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Health Canada</a>
Kogenate FS	<a href="#">FDA</a>		
KOVALTRY	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	
Novoeight	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	
NUWIQ	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Health Canada</a>
XYNTHA/ReFacto AF	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Health Canada</a>

#### Godkendte EHL-produkter til hæmofili A

ADYNOVATE/ADYNOVI	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Health Canada</a>
ELOCTATE/Elocta	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Health Canada</a>
ESPEROCT	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Health Canada</a>
JIVI	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Health Canada</a>

#### Godkendte UHL-produkter til hæmofili A

ALTUVIIIIO	<a href="#">FDA</a>		
------------	---------------------	--	--

#### Godkendte SHL-produkter til hæmofili B

BeneFIX	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Health Canada</a>
IXINITY	<a href="#">FDA</a>		
RIXUBIS	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Health Canada</a>

#### Godkendte EHL-produkter til hæmofili B

ALPROLIX	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Health Canada</a>
IDELVION	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Health Canada</a>
REBINYN/Refixia	<a href="#">FDA</a>	<a href="#">EMA</a>	<a href="#">Health Canada</a>

## BEHANDLING MED BISPECIFISKE ANTISTOFFER

### Godkendte produkter

HEMLIBRA (Emicizumab)      [FDA](#)      [EMA](#)      [Health Canada](#)

### Fase 3-studier

Igangværende fase 3-studier for Mim8 (Ongoing Phase 3 Studies for Mim8):  
NCT05053139, NCT05306418, NCT05685238 og NCT05878938.

## IKKE-FAKTORBASERET BEHANDLING

### Godkendte produkter

Alhemo (Concizumab)      [FDA](#)      [EMA](#)      [Health Canada](#)  
Hypnavzi (Marstacimab)      [FDA](#)      [EMA](#)  
Qfitlia (fitusiran)      [FDA](#)

### Fase 3-studier

Matsushita, T. et al. [Fase 3-studie af Concizumab til behandling af hæmofili med hæmmere \(Phase 3 Trial of Concizumab in Hemophilia with Inhibitors\)](#). N. Engl. J. Med. 389, 783–794 (2023).

Pfizer. [Pfizer offentliggør positive Marstacimab-resultater fra det afgørende fase 3-forsøg med hæmofili A og B \(Pfizer Announces Positive Marstacimab Results from Pivotal Phase 3 Hemophilia A and B Trial\)](#). 30. maj 2023.

Srivastava, A. et al. [Fitusiran-profylakse hos personer med svær hæmofili A eller hæmofili B uden hæmmere \(ATLAS-A/B\): et multicenter, åbent, randomiseret fase 3-forsøg \(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. [Effekt og sikkerhed af fitusiran-profylakse hos personer med hæmofili A eller hæmofili B med hæmmere \(ATLAS-INH\): et multicenter, åbent, randomiseret fase 3-forsøg \(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.

## GENTERAPI GENERELT

Konkle, B.A. et al. [Verdensføderationens register over genterapi mod hæmofili \(World Federation of Hemophilia Gene Therapy Registry\)](#). *Haemophilia* 2020;26:563-564.

Miesbach, W., Klamroth, R. [Patientoplevelsen med genterapi mod hæmofili: \(The Patient Experience of Gene Therapy for Hemophilia:\) Kvalitative interviews med forsøgspatienter \(Qualitative Interviews with Trial Patients\)](#). *Patient Prefer Adherence* 2020; 14:767-770.

Pierce, G.F., Iorio, A. [Fortid, nutid og fremtid for genterapi mod hæmofili: \(Past, present and future of haemophilia gene therapy:\) Fra vektorer og transgener til kendte og ukendte udfald \(From vectors and transgenes to known and unknown outcomes\)](#). *Haemophilia* 2018; 24 Suppl 6:60-67.

Wang, M. et al. [Patientrejsen for hæmofili-genterapi: \(The Hemophilia Gene Therapy Patient Journey:\) Spørgsmål og svar til fælles beslutningstagning \(Questions and Answers for Shared Decision-Making\)](#). *Patient Prefer Adherence* 2022; 16:1439-1447.

## GENTERAPI MOD HÆMOFILI A

Godkendte produkter

ROCTAVIAN

[FDA](#)

[EMA](#)

Vigtige kliniske studier

Ozelo, M.C. et al. [Valoctocogen Roxaparovec genterapi til behandling af hæmofili A \(Valoctocogene Roxaparovec Gene Therapy for Hemophilia A\)](#). *N Engl J Med* 2022; 386:1013-1025.

Leavitt, A.D. et al. [Effekt, sikkerhed og livskvalitet 4 år efter genoverførsel med valoctocogen roxaparovec til behandling af svær hæmofili A i fase 3 GENE8-1-forsøget \(Efficacy, safety, and quality of life 4 years after valoctocogene roxaparovec gene transfer for severe hemophilia A in the phase 3 GENE8-1 trial\)](#). *Res Pract Thromb Haemost* 2024; 8(8):102615.

## GENTERAPI MOD HÆMOFILI B

Godkendte produkter

HEMGENIX

[FDA](#)

[EMA](#)

[Health Canada](#)

BEQVEZ

[FDA](#)

[EMA](#)

[Health Canada](#)

### Vigtige kliniske studier

Pipe, S.W. *et al.* [Genterapi med Etranacogen Dezaparovec til behandling af hæmofili B \(Gene Therapy with Etranacogene Dezaparovec for Hemophilia B\)](#). *N Engl J Med* 2023; 388:706-718.

Coppens, M. *et al.* [Etranacogen dezaparovec genterapi til behandling af hæmofili B \(HOPE-B\): \(Etranacogene dezaparovec gene therapy for haemophilia B \(HOPE-B\):\) 24-måneders post-hoc effekt- og sikkerhedsdata fra et enkeltarms, multicenter, fase 3-forsøg \(24-month post-hoc efficacy and safety data from a single-arm, multicentre, phase 3 trial\)](#). *Lancet Haematol* 2024; 11: e265-e275.

Cuker, A. *et al.* [Genterapi med Fidanacogen Elaparovec hos voksne med hæmofili B \(Gene Therapy with Fidanacogene Elaparovec in Adults with Hemophilia B\)](#). *N Engl J Med* 2024; 391:1108-1118.

Sidst gennemgået: Marts 2025

Dette dokument opdateres løbende med ny evidens to gange årligt. Skæringsdatoerne er 31. juli og 31. januar med opdateringer i de følgende måneder. Eventuel ny evidens efter disse skæringsdatoer vil blive inkluderet i den næste opdatering.