



RECENZOVANÉ ČLÁNKY

Krumb, E. and Hermans, C. [Život bez myšlení na hemofilii - Nový cíl péče o hemofilii?](#) (Living with a "hemophilia-free mind" - The new ambition of hemophilia care?) *Res Pract Thrombosis Haemostasis*; 2021; 5, e12567.

Srivastava, A a kol. [Směrnice WFH pro léčbu hemofilie](#) (WFH Guidelines for the Management of Hemophilia), 3. vydání. *Haemophilia* 2020; 26, 1-158.

Weyand AC, Pipe SW. [Nové způsoby léčby hemofilie](#) (New therapies for hemophilia). *Blood* 2019; 133:389-398.

SUBSTITUČNÍ TERAPIE KOAGULAČNÍM FAKTOREM

Schválené přípravky SHL pro hemofilii 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

Schválené přípravky EHL pro hemofilii A

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

Schválené přípravky UHL pro hemofilii A

ALTUVIIIIO [FDA](#)

Schválené přípravky SHL pro hemofilii B

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

Schválené přípravky EHL pro hemofilii B

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

TERAPIE BISPECIFICKÝMI PROTILÁTKAMI

Schválené přípravky

HEMLIBRA (emicizumab)

[FDA](#)

[EMA](#)

[Health Canada](#)

Studie fáze 3

Probíhající studie fáze 3 pro Mim8: NCT05053139, NCT05306418, NCT05685238 a NCT05878938.

HEMOSTATICKÁ REBALANČNÍ TERAPIE

Schválené přípravky

Alhemo (kconcizumab)

[FDA](#)

[EMA](#)

[Health Canada](#)

Hypavzi (marstacimab)

[FDA](#)

[EMA](#)

Qfitlia (fitusiran)

[FDA](#)

Studie fáze 3

Matsushita, T. a kol. [Hodnocení koncizumabu fáze 3 u hemofilie s inhibitory](#) (Phase 3 Trial of Concizumab in Hemophilia with Inhibitors). N. Engl. J. Med. 389, 783-794 (2023).

Pfizer. [Společnost Pfizer oznamuje pozitivní výsledky marstacimabu v klíčovém hodnocení fáze 3 u pacientů s hemofilií A a B](#) (Pfizer Announces Positive Marstacimab Results from Pivotal Phase 3 Hemophilia A and B Trial). 30. května 2023.

Srivastava, A a kol. [Profylaxe fitusiranem u lidí s těžkou hemofilií A nebo hemofilií B bez inhibitorů \(ATLAS-A/B\): multicentrické, otevřené, randomizované hodnocení fáze 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 a kol. [Účinnost a bezpečnost profylaxe fitusiranem u lidí s hemofilií A nebo hemofilií B s inhibitory \(ATLAS-INH\): multicentrické, otevřené, randomizované hodnocení fáze 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.

GENOVÁ TERAPIE OBECNĚ

Konkle BA a kol. [Registr genové terapie Světové hemofilické federace](#) (World Federation of Hemophilia Gene Therapy Registry). *Haemophilia* 2020;26:563-564.

Miesbach W, Klamroth R. [Zkušenosti pacientů s genovou terapií pro hemofilii: Kvalitativní rozhovory s pacienty ve studii](#) (The Patient Experience of Gene Therapy for Hemophilia: Qualitative Interviews with Trial Patients). *Patient Prefer Adherence* 2020; 14:767-770.

Pierce GF, Iorio A. [Minulost, současnost a budoucnost genové terapie hemofilie: Od vektorů a transgenů ke známým i neznámým výsledkům](#) (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 a kol. [Příručka o genové terapii při hemofilii pro pacienty: Otázky a odpovědi pro společné rozhodování](#) (The Hemophilia Gene Therapy Patient Journey: Questions and Answers for Shared Decision-Making). *Patient Prefer Adherence* 2022; 16:1439-1447.

GENOVÁ TERAPIE PŘI HEMOFILII A

Schválené přípravky

ROCTAVIAN

[FDA](#)

[EMA](#)

Klíčová klinická hodnocení

Ozelo MC a kol. [Genová terapie preparátem Valoctocogene Roxaparvovec pro hemofilii A](#) (Valoctocogene Roxaparvovec Gene Therapy for Hemophilia A). *N Engl J Med* 2022; 386:1013-1025.

Leavitt AD a kol. [Účinnost, bezpečnost a kvalita života 4 roky po transferu genu valoctocogene roxaparvovec u pacientů s těžkou hemofilií A v hodnocení GENEr8-1 fáze 3](#) (Efficacy, safety, and quality of life 4 years after valoctocogene roxaparvovec gene transfer for severe hemophilia A in the phase 3 GENEr8-1 trial). *Res Pract Thromb Haemost* 2024; 8(8):102615.

GENOVÁ TERAPIE PŘI HEMOFILII B

Schválené přípravky

HEMGENIX

[FDA](#)

[EMA](#)

[Health Canada](#)

BEQVEZ

[FDA](#)

[EMA](#)

[Health Canada](#)

Klíčová klinická hodnocení

Pipe SW a kol. [Genová terapie preparátem etranacogene dezaparvovec pro hemofilii B](#) (Gene Therapy with Etranacogene Dezaparvovec for Hemophilia B). *N Engl J Med* 2023; 388:706-718.

Coppens M a kol. [Genová terapie preparátem etranacogene dezaparvovec pro hemofilii B \(HOPE-B\): 24měsíční post-hoc data o účinnosti a bezpečnosti z multicentrického hodnocení fáze 3 s jedním ramenem.](#) (Etranacogene dezaparvovec 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 a kol. [Genová terapie preparátem fidanacogene elaparvovec pro hemofilii B](#) (Gene Therapy with Fidanacogene Elaparvovec in Adults with Hemophilia B). *N Engl J Med* 2024; 391:1108-1118.

Poslední přezkum: březen 2025

Toto je živý dokument, který bude dvakrát ročně aktualizován o nové důkazy. Uzávěrky jsou 31. července a 31. ledna, aktualizace proběhne v následujících měsících. Veškeré nové důkazy po těchto uzávěrkách budou zahrnuty do další aktualizace.