



umcg

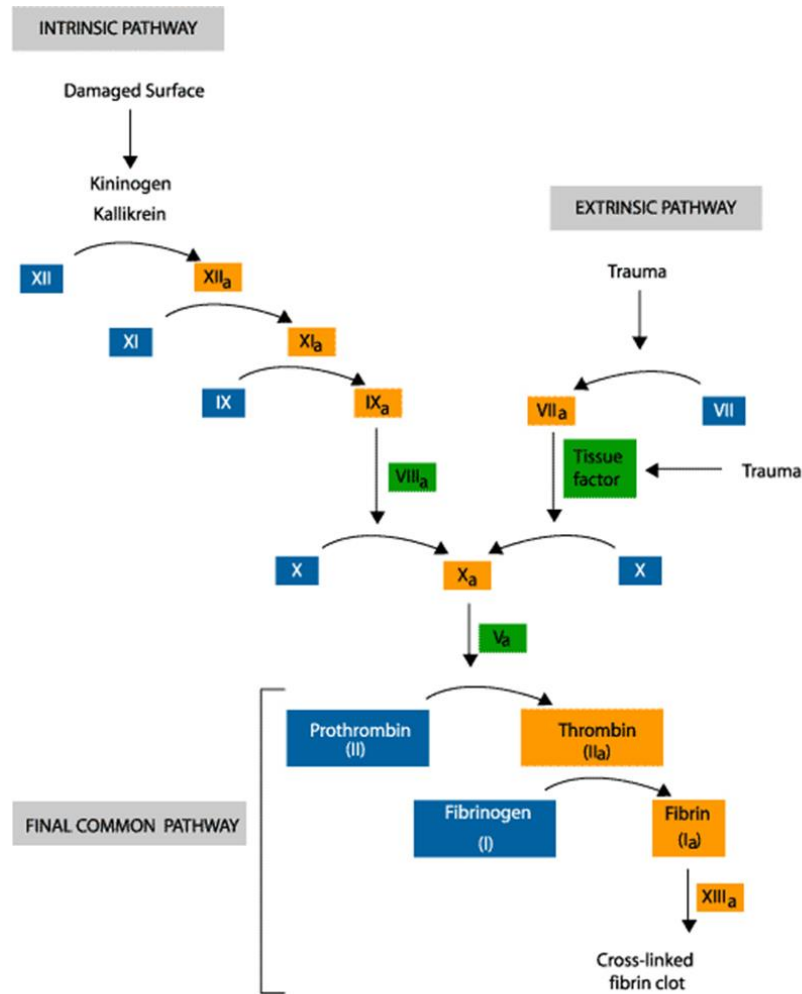


Emicizumab (Hemlibra)

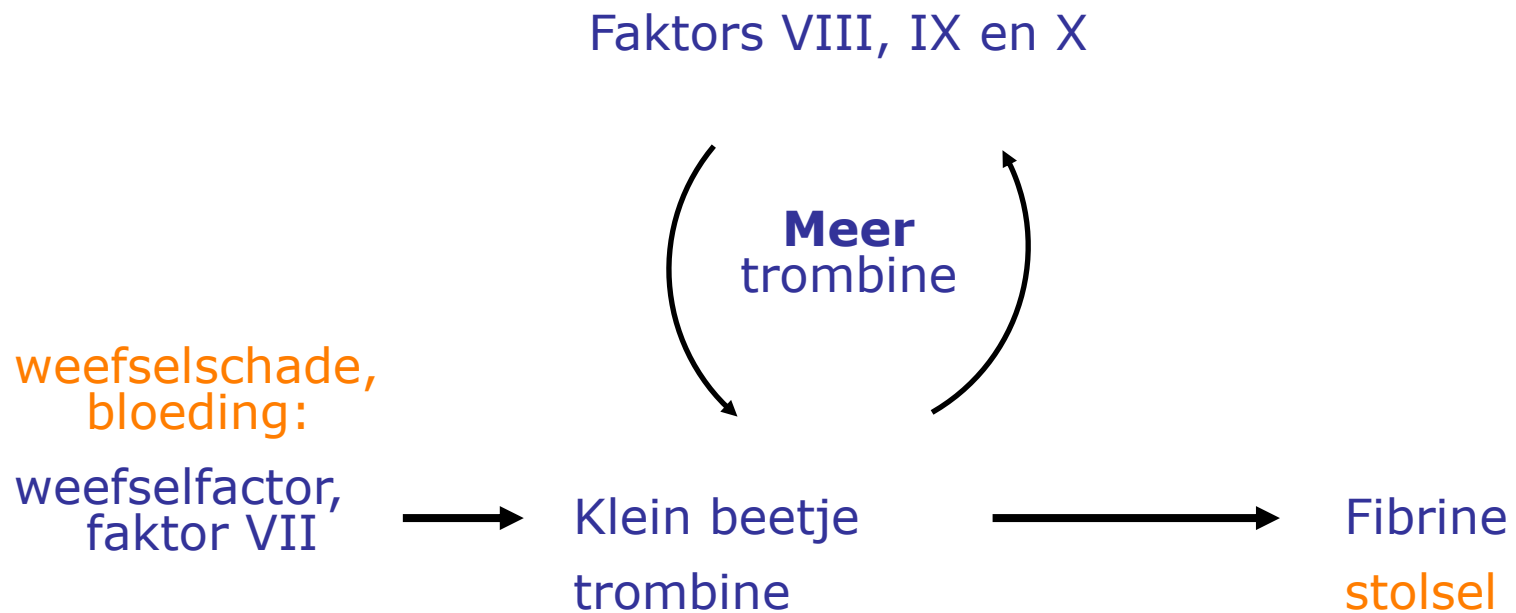
Patiëntenavond
Hemofilie-Behandelcentrum



De stollingscascade



De overzichtelijke versie



Emicizumab / ACE910

Plenary Paper

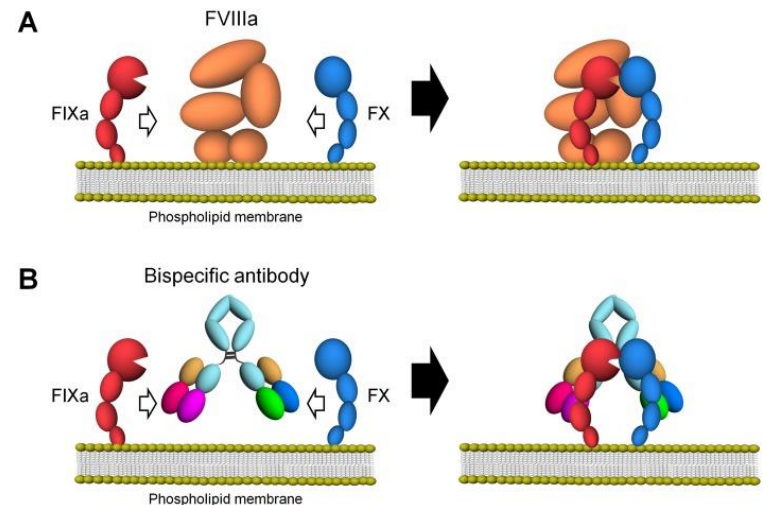
CLINICAL TRIALS AND OBSERVATIONS

A first-in-human phase 1 study of ACE910, a novel factor VIII–mimetic bispecific antibody, in healthy subjects

Naoki Uchida,^{1,2} Takehiko Sambe,^{1,2} Koichiro Yoneyama,³ Naoki Fukazawa,³ Takehiko Kawanishi,³ Shinichi Kobayashi,¹ and Midori Shima⁴

¹Showa University Clinical Research Institute for Clinical Pharmacology and Therapeutics, Tokyo, Japan; ²Department of Pharmacology, School of Medicine, Showa University, Tokyo, Japan; ³Translational Clinical Research Division, Chugai Pharmaceutical Co. Ltd., Tokyo, Japan; and ⁴Department of Pediatrics, Nara Medical University, Nara, Japan

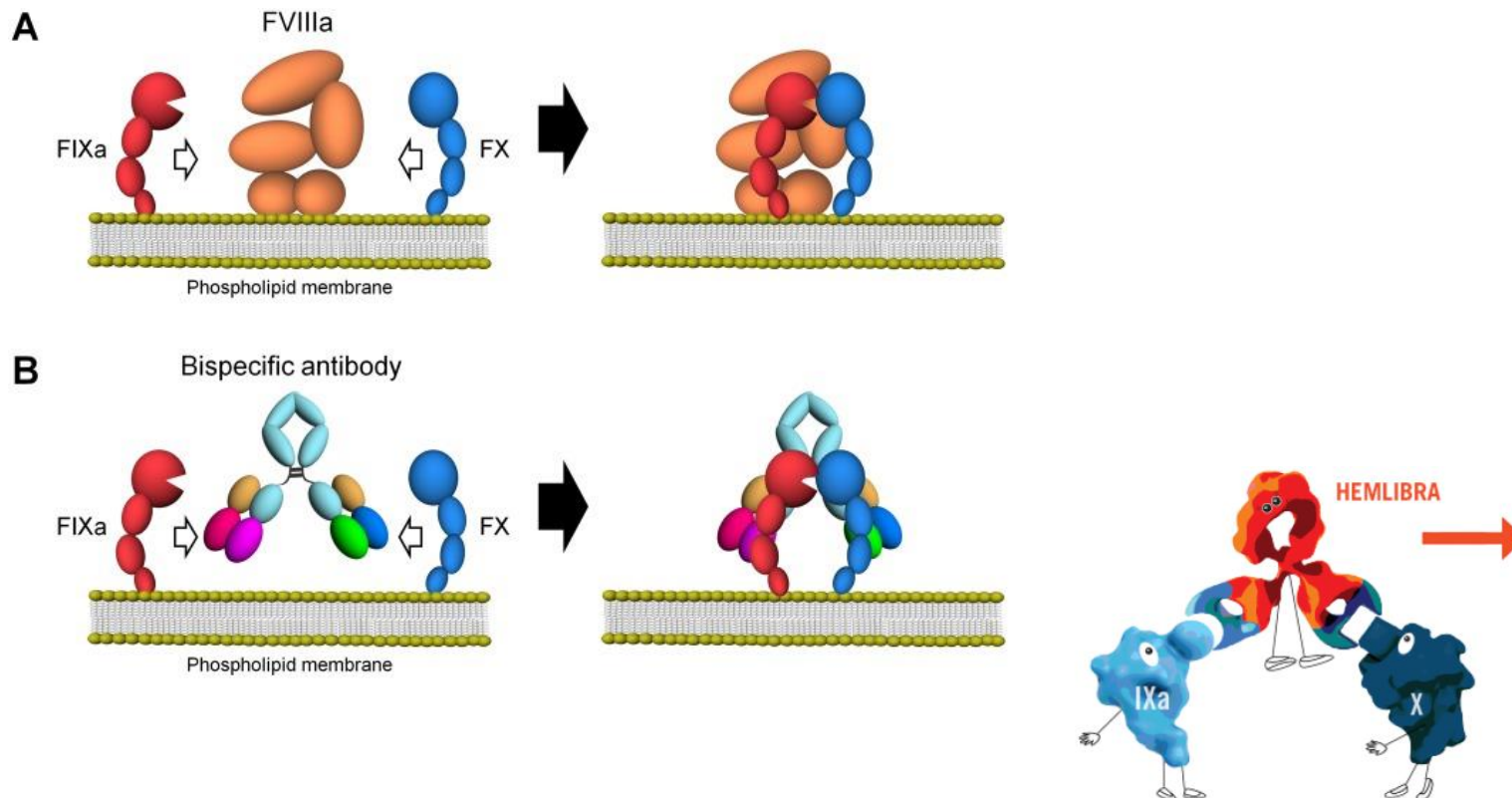
BLOOD, 31 MARCH 2016 • VOLUME 127, NUMBER 13



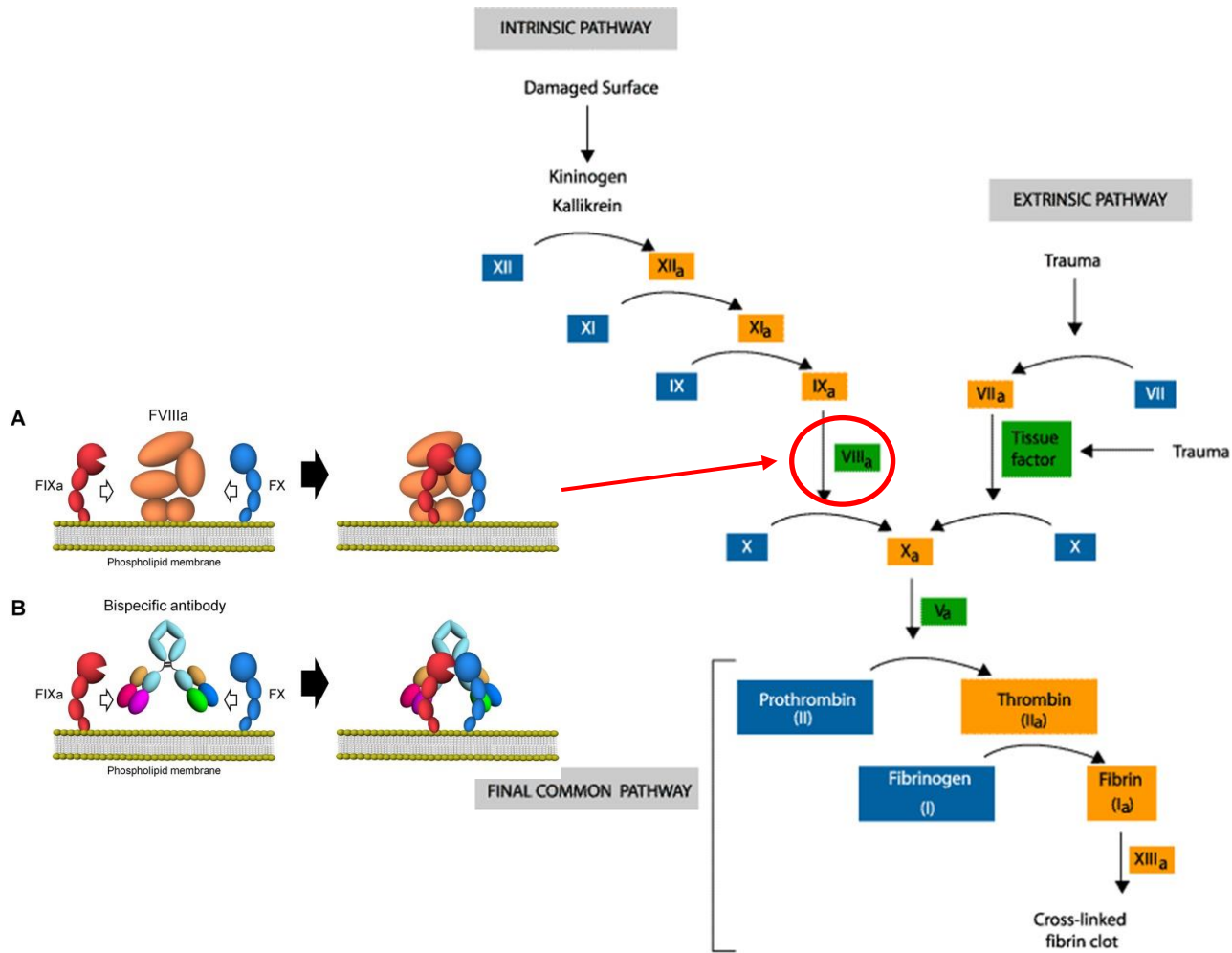
umcg

Emicizumab / ACE910

- Effect van factor VIII, zonder ‘herkend’ te worden door remmer



Emicizumab / Hemlibra



The NEW ENGLAND JOURNAL of MEDICINE

ESTABLISHED IN 1812

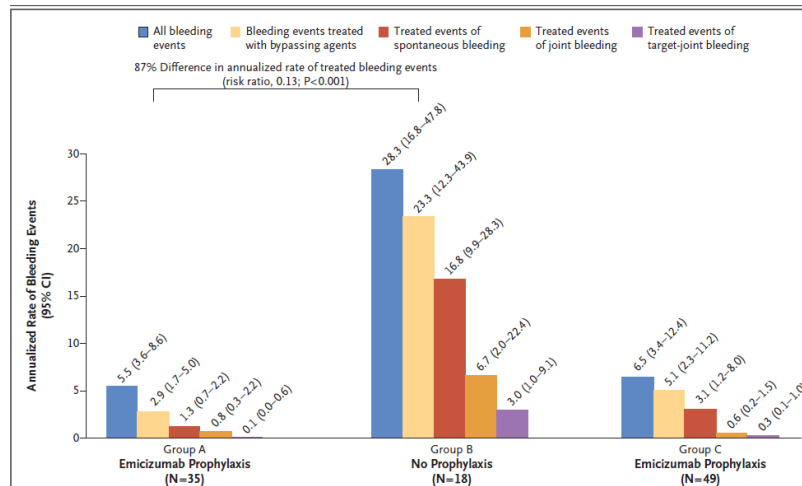
AUGUST 31, 2017

VOL. 377 NO. 9

Emicizumab Prophylaxis in Hemophilia A with Inhibitors

Johannes Oldenburg, M.D., Ph.D., Johnny N. Mahlangu, M.D., Benjamin Kim, M.D., Christophe Schmitt, Pharm.D., Michael U. Callaghan, M.D., Guy Young, M.D., Elena Santagostino, M.D., Ph.D., Rebecca Kruse-Jarres, M.D., M.P.H., Claude Negrier, M.D., Ph.D., Craig Kessler, M.D., Nancy Valente, M.D., Elina Asikanius, M.Sc., Gallia G. Levy, M.D., Ph.D., Jerzy Windyga, M.D., and Midori Shima, M.D., Ph.D.

- Hemofilie A patiënten met een remmer



Complicaties

- 15/109 patiënten last van de injectieplaats
- 9 patiënten trombotische problemen
 - steeds na behandeling met hoge dosis aPCC

Conclusie

- Fantastisch resultaat in patiëntengroep zonder andere goede opties
- Bij bloedingen behandelen met rVIIa, niet met Feiba
- In 2018 geregistreerd voor hemofilie A patiënten met een remmer

En voor patiënten zonder remmers?

- Voordeel is subcutane toediening



The NEW ENGLAND JOURNAL *of* MEDICINE

ESTABLISHED IN 1812

AUGUST 30, 2018

VOL. 379 NO. 9

Emicizumab Prophylaxis in Patients Who Have Hemophilia A without Inhibitors

J. Mahlangu, J. Oldenburg, I. Paz-Priel, C. Negrier, M. Niggli, M.E. Mancuso, C. Schmitt, V. Jiménez-Yuste, C. Kempton, C. Dhalluin, M.U. Callaghan, W. Bujan, M. Shima, J.I. Adamkewicz, E. Asikanius, G.G. Levy, and R. Kruse-Jarres

- Patënten ≥ 12 jaar zonder remmer in de afgelopen 5 jaar
- Geen “thrombembolic disease”
- Profylaxe: 1.5 mg/kg/wk



umcg

Effectiviteit

Table 2. Treated Bleeding Events in Participants Receiving Emicizumab Prophylaxis (Group D), as Compared with Events in the Same Participants during Prophylactic Factor VIII Treatment Previously in the Noninterventional Study.*

Variable	Group D in Current Trial: Emicizumab Prophylaxis (N=48)	Noninterventional Study: Factor VIII Prophylaxis (N=48)
Median duration of efficacy period (range) — wk†	33.7 (20.1–48.6)	30.1 (5.0–45.1)
Annualized rate of bleeding events, model-based (95% CI)‡	1.5 (1.0–2.3)	4.8 (3.2–7.1)
Rate ratio vs. control (95% CI)	<u>0.32 (0.20–0.51)</u>	—
Percent difference vs. control	–68§	—
Median annualized rate of bleeding events (IQR)	0.0 (0.0–2.1)	1.8 (0.0–7.6)
Percent of participants with 0 bleeding events (95% CI)	54 (39–69)	40 (26–55)
Percent of participants with 0–3 bleeding events (95% CI)	92 (80–98)	73 (58–85)

- Echter hier geen aanpassing profylaxe in factor VIII-groep bij ≥ 2 bloedingen / jaar



Complicaties

- Geen tromboses
- Huidreactie aan de insteekplaats
- Verkoudheidsklachten
- Hoofdpijn

Conclusie

- Lijkt veilig en effectief voor hemofilie A-patiënten zonder remmer
- Sinds 2020 geregistreerd en vergoed



Maar wanneer kun je het beter *niet* gebruiken?

- Bekende of grote kans op hart- en vaatziekten



Emicizumab



Patiënten Informatieavond Hemofilie Behandelcentrum UMCG

Het programma zal starten om 19 uur en eindigen om 21:30 uur
Ontvangst in Lokaal 10 (Onderwijscentrum, Winkelstaat 1, 2^e verdieping)

19:00	uur	Ontvangst met koffie/thee en koek (voor fysieke deelnemers)
19:15	uur	Ervaringen met belconsulten en beeld-/videobellen
19:35	uur	<u>HemoNED</u> en <u>VastePrik</u> dr. G. (Geertje) Goedhart (LUMC Leiden)
20:00	uur	pauze
20:15	uur	Ervaringen met Emicizumab (<u>Hemlibra</u>);
20.45	uur	Nieuws vanuit het <u>HemofilieBehandelCentrum</u> Update van studies
21:00-21:30	uur	Napraten, met een drankje en hapje



Ervaringen

“It’s too good to be true”

“Bevalt prima, heb helemaal geen last meer. Onvoorstelbaar!”

“Is dit nou alles?”

“Fluitje van een cent!”



“Wat een wereld van verschil en wat een verbetering”

Ervaringen (2)

“Doet nog wel zeer ondanks Rapydan of Emla pleisters”



“Toch nog spannend van wanneer we nu wel of geen stolling moeten geven.”

“Emicizumab bevat heel goed, maar desondanks wel “heimwee” naar profylaxe, missen van de routine van 3x week toedienen. Plankje in de kast waar de voorraden lagen is nog steeds leeg.”

“Geen gevoel van behoefte meer aan stollingsfactor aan het einde van de interval”

Bijwerkingen van injecteren op de lange termijn?

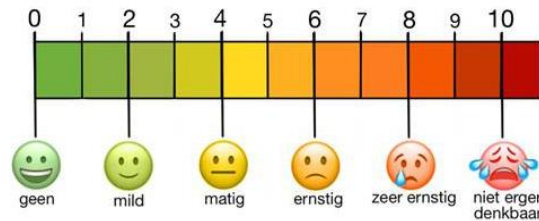
- Observeren;
 - van de huid
 - techniek van injecteren



Met toestemming van BD Diabetes Care NL

Bijwerkingen van injecteren

- In klinische onderzoeken werden injectieplaatsreacties zeer vaak (20%) gemeld.
- Alle meldingen werden als niet-ernstig gemeld en waren licht tot matig in intensiteit; en verdween bijna altijd (95%) zonder behandeling.
- **De meest gemelde symptomen:**
 - roodheid (11%),
 - pijn (4%)
 - jeuk (3%).



Techniek van injecteren

