

Emicizumab / Hemlibra®

Informatieavond 2-11-23

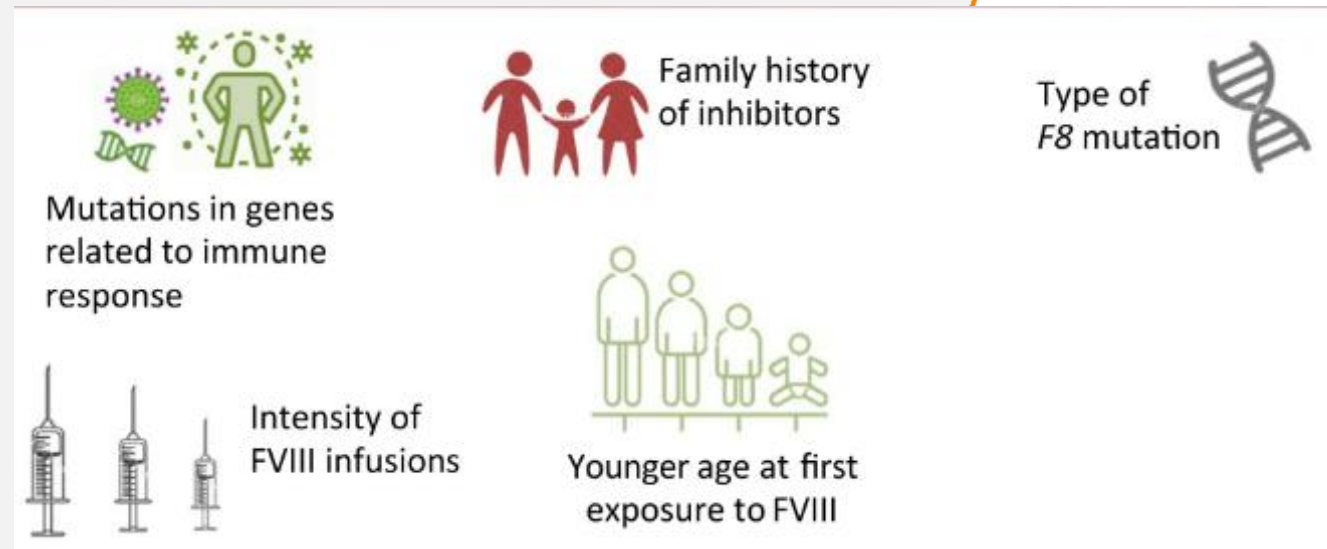
Louise Hooimeijer

Onderwerpen

- Waarom?
- Historie
- Werking
- Studie
- Start?

Waarom: zoektocht alternatief

- Hemofilie behandeling
 - stolling intraveneus (fact VIII/IX), 2-4x/week
- Risico ontwikkeling remmers = antistoffen → medicatie
 - Ernstige hemofilie patiënten: 20-30%
 - Risicofactoren oa
 - Type erfelijke afwijking
 - Ernst/type/leeftijd
 - Familie +
 - Grote hoeveelheden stolling



Historie



2014

ontwikkeling

2016

publicatie
dierproeven



2017

publicatie
Fase I
studie



Jan 2018

FDA
goedkeuring
Voor hemfA
+ remmer

prioriteit
HAVEN studies

2019

EMA
goedkeuring
Ptn + remmer

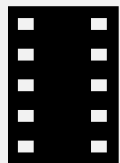


2020

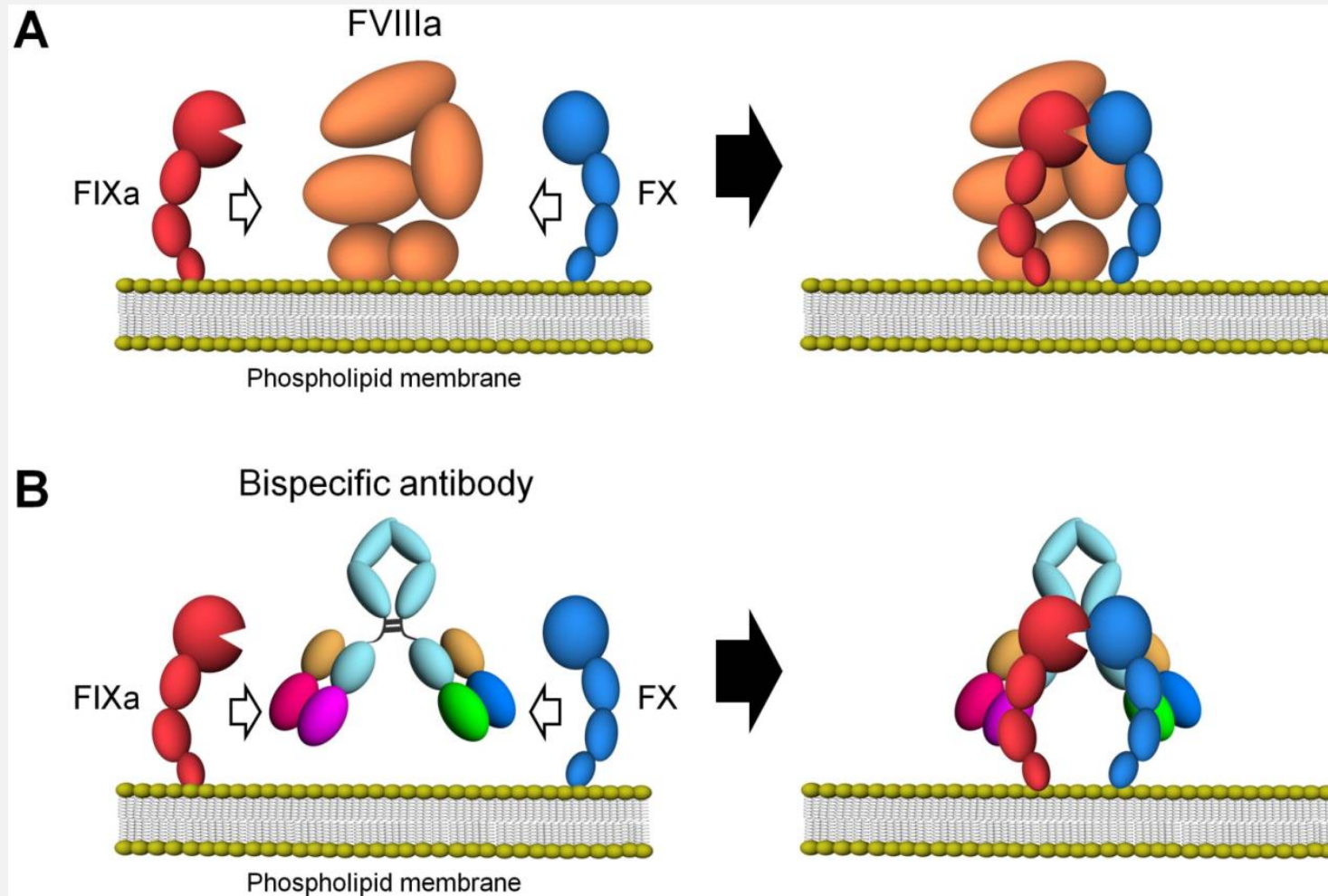
EMA
goedkeuring
ptn – remmer

In Nederland
vergoeding
voor ptn **met**
remmer

Vergoeding
in Nld
Ptn **zonder**
remmer

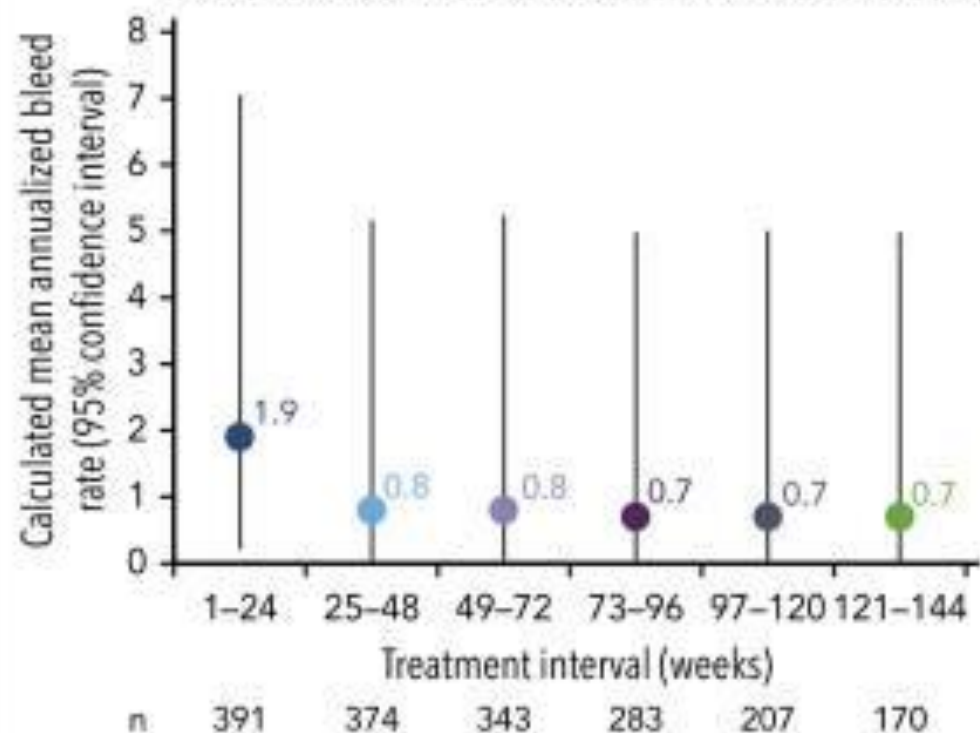


Werking emicizumab / Hemlibra

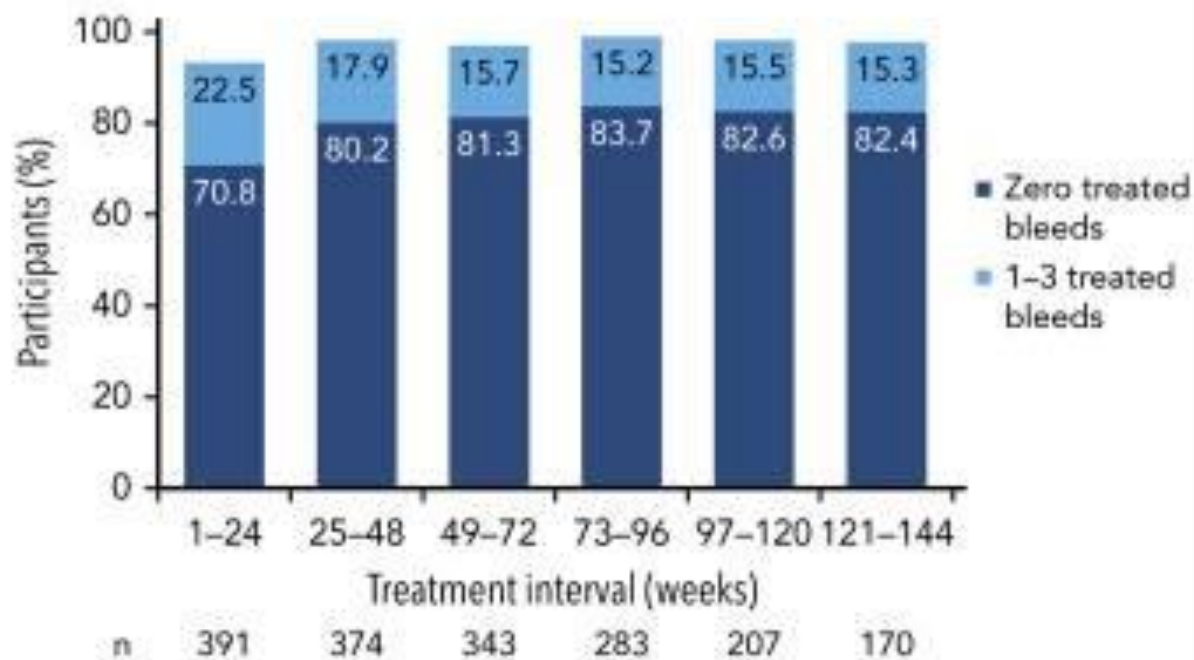


A pooled analysis of long-term results from Phase III studies of emicizumab prophylaxis (HAVEN 1–4) in persons with hemophilia A (PwHA)

Annualized bleed rates (treated bleeds; mean values with 95% confidence intervals)

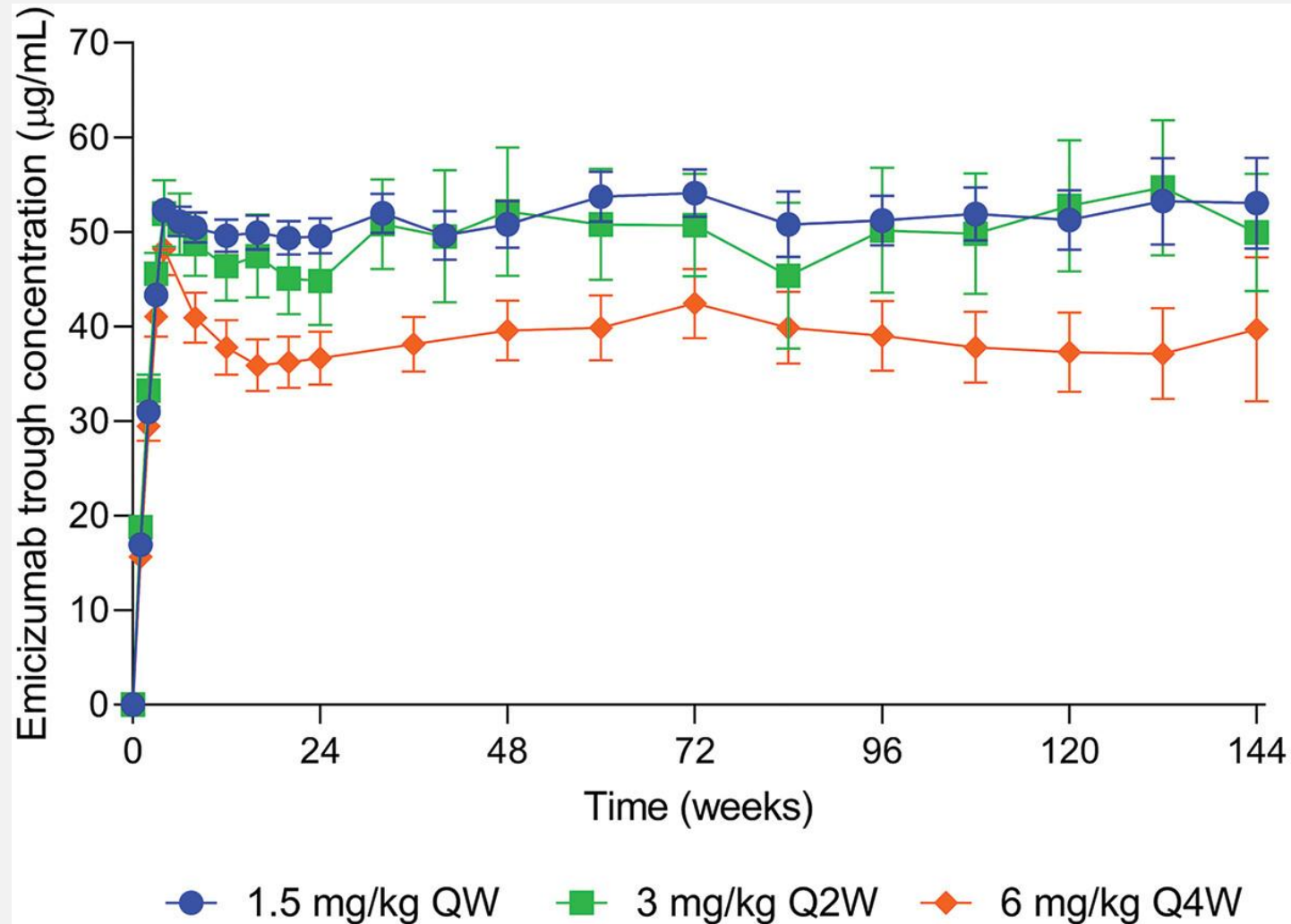


Percentages of participants with zero and 1–3 treated bleeds (%)



- With nearly 3 years of follow-up, low bleed rates were maintained with emicizumab prophylaxis
- After week 24, at least 97% of participants had ≤ 3 bleeds in each treatment interval
- Emicizumab remained well tolerated over long-term follow-up

Spiegel emicizumab 40-60, gemiddeld 50 ug/ml



DosEmi studie



- Multicenter (alle HBC's in Nld)
- 6 mnd standaard dosis
- 12 mnd spiegel gecontroleerde dosis
- Streven naar spiegel van 30 ug/ml (25-39)

Waar kijken we naar



Bleeding



Quality of life



Cost-effectiveness



Sport-participation



Performance of PK-model



Thrombin Generation



Joint health



Pain

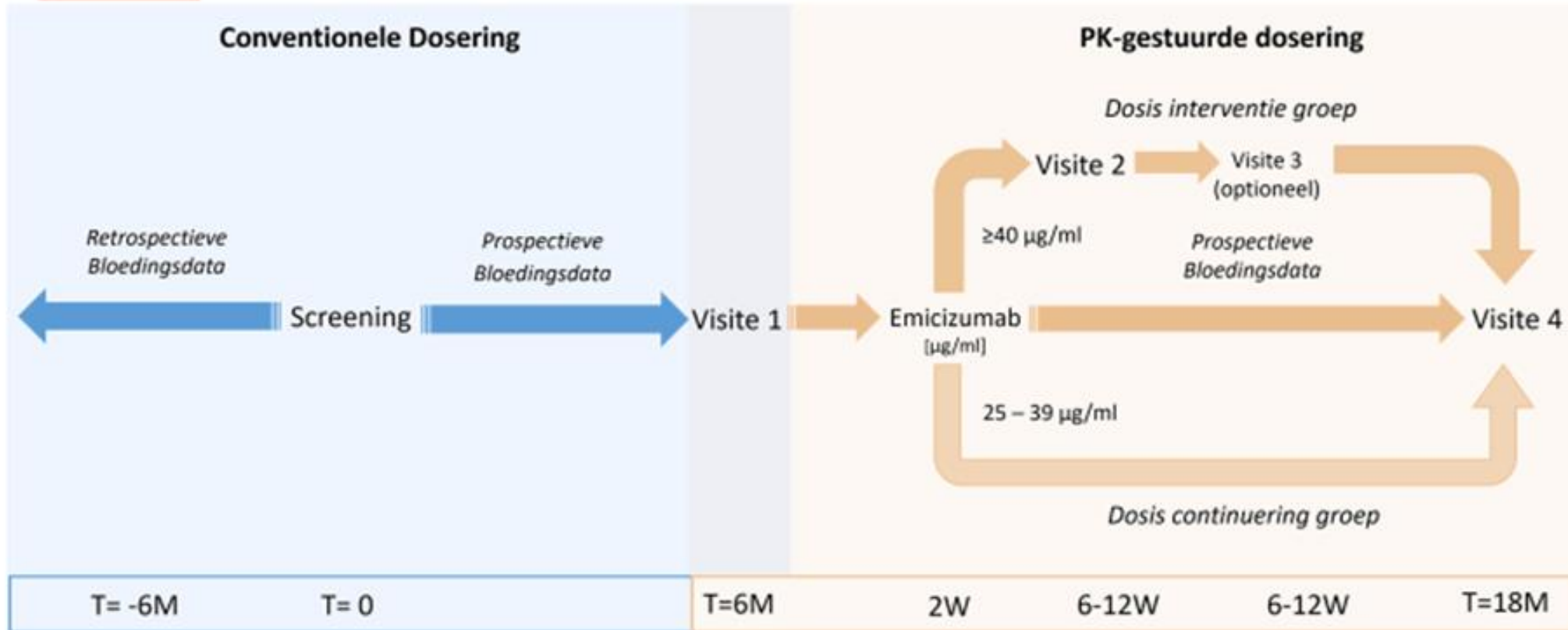
Wie kunnen er mee doen ?

- Iedereen met hemofilie A ≥ 12 mnd op emicizumab
- Bloedingen:
 - geen spontane bloedingen < 6 mnd voor start
 - Max 2 traumatische bloedingen < 6 mnd voor start
- Onderverdeling < 16 jr en ≥ 16 jaar

Voor-/Nadelen

- Mogelijk minder volume te spuiten, minder frequent
- 1-2x extra studie visite: emi-spiegel controle
- Maandelijks contact (telefonisch/mail)
- 3x vragenlijst invullen (10-15 min per keer)
- 3x bloed prikken
- 2x urine
- 2x gewrichtsscore

Study Design



Cohort 1 (Q3 2022- Q4 2024): Inclusion patients aged ≥ 16 years

Cohort 2 (Q1 2024- Q4 2024): Start inclusion children < 16 years



UMC Utrecht

Policontrôle



Blood and urine withdrawal



Questionnaires (N=5)



Physical Examination

PK-model

Adviezen – meerdere opties, patiënt kan kiezen

Doseeroptie #1: 60mg (0.4mL) 1x per 7 dagen (dalspiegel = 43 mg/L [39-51])

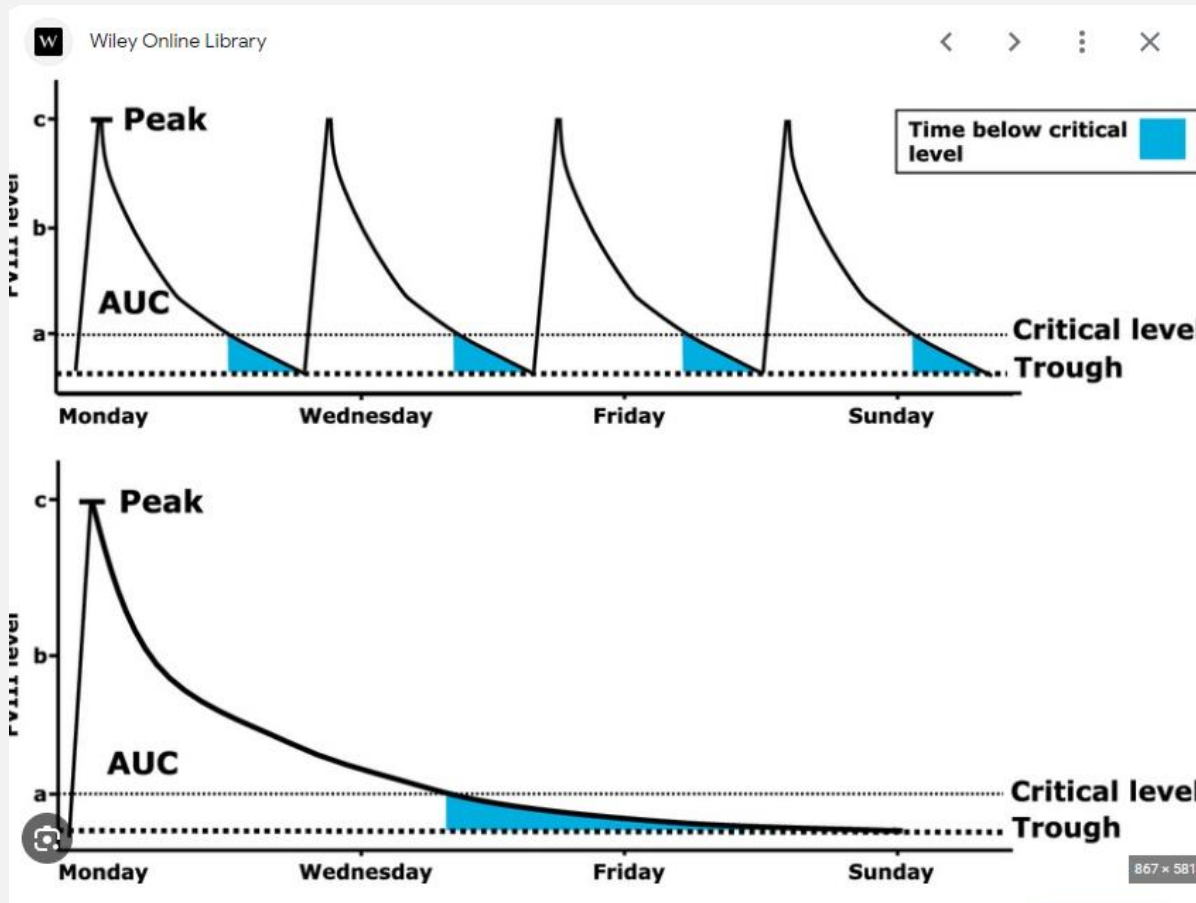
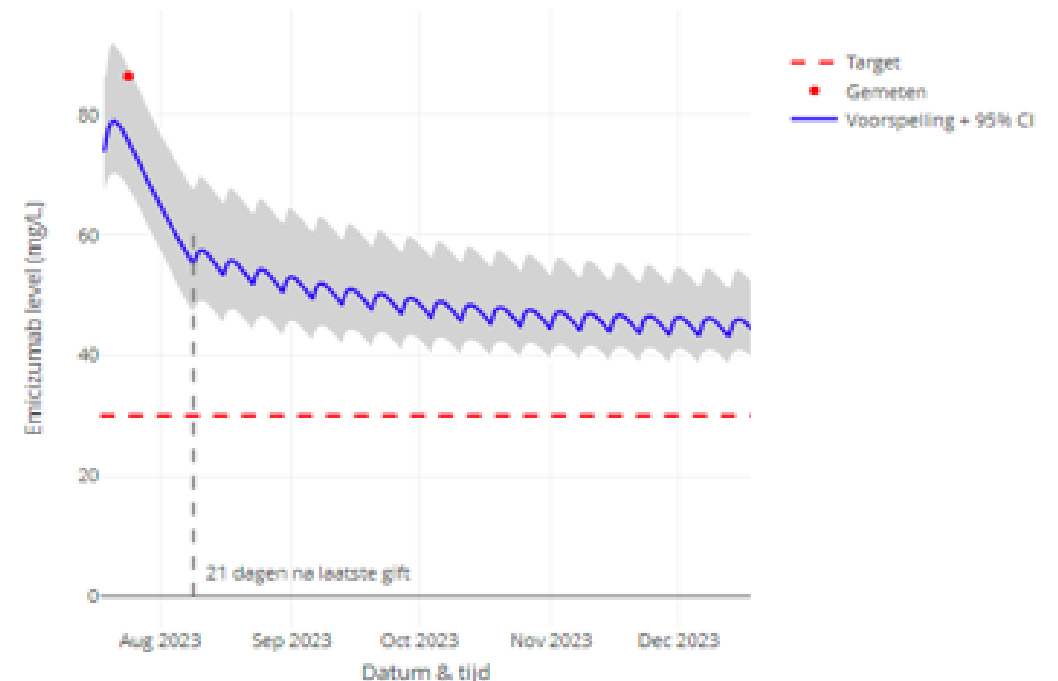
Doseeroptie #2: 105mg (1mL) 1x per 14 dagen (dalspiegel = 35 mg/L [31-43]).

Doseeroptie #3: 165mg (105mg + 60mg; 1.1mL) 1x per 21 dagen (dalspiegel = 34 mg/L [29-41]).

Nieuwe behandeling starten 21 dagen na laatste gift van de huidige behandeling.

Model – elke doseeroptie heeft een grafiek

Optie 1: 60 mg (0.4mL) elke 7 dagen:



Factor VIII intraveneus

Wanneer start?

- Vandaag!
 - > 16 jaar EN voldoen aan de studie-eisen kunnen starten in de komende tijd
 - <16 jaar waarschijnlijk zomer 2024