

Indtryk fra Verdenskongressen WFH 2012

Af Theis Bacher

Langtidsvirkende faktorpræparater

Novo Nordisk var meget langt fremme med at promovere deres kommende produkter, og havde bl.a. 12 posters og mindst 3 sessioner, hvor præparaterne blev præsenteret. I 2013 forventer Novo Nordisk at sende et "almindeligt" faktor VIII produkt på markedet, hvor molekylet er modificeret på den måde, at man har fjernet det meste af det såkaldte beta-domæne, som ikke har nogen betydning for funktionen. Det, som er tilbage, er netop den del, som PEG binder sig til og gør det langtidsvirkende. Det almindelige faktorpræparat er ude i fase-3 afprøvninger, dvs. til mange patienter, og hvis der ikke opstår uventede problemer, forventes det godkendt til almindeligt brug i 2013. Hele formålet er, at Novo derved får afprøvet og godkendt det modificerede faktor VIII, og det vil herefter være meget nemmere for dem at få godkendt det langtidsvirkende, som er bundet til PEG, fordi PEG allerede er godkendt i andre sammenhænge i medicin.

Novo er også langt fremme med afprøvningen af langtidsvirkende faktor VIII, men virkningstiden har ikke været helt så lang som håbet, med en halveringstid på ca. 1,7 gange de nuværende præparater. Det fungerer altså ca. dobbelt så længe, men udsigten til at kunne nøjes med en injektion hver anden uge er fjern. Det gælder til gengæld ikke for faktor IX præparater, hvor man har set effekt af en enkelt injektion i helt op til en måned, og disse data er meget lovende.

Individuel behandling

Der var flere præsentationer, hvor man talte om, at behandlingen bør tilpasses den enkelte patient, i stedet for faste regimer, især forebyggende, hvor man i dag bruger "standarddoseringer" 2-3 gange om ugen. Alle patienter har forskellig genfinding, forskellig halveringstid, og blødningstendensen svarer ikke altid til faktorniveauet i blodet. Ved at måle på genfinding, halveringstider og registrere blødninger kan man justere behandlingen bedre ind til den enkelte patient. Det bruger man f.eks. i Holland og Canada, hvor man starter med relativt lave doser forebyggende behandling til børn – ned til en gang ugentlig – og så gradvist justerer op, hvis behandlingen ikke er tilstrækkelig. Det er selvfølgelig også at spare på præparaterne.

Hvor meget er nok?

I en tidligere meget omtalt undersøgelse så man, at børn, som var i forebyggende behandling, alligevel fik ledforandringer, som kunne påvises med MR-scanning. Det får nu nogen til at argumentere for, at det ikke er nok at undgå mærkbare blødninger med "minimal" behandling, men at man i fremtiden skal gå rundt med et faktorniveau som er over 15 %, hvor man nu bare siger over 1 %. Det er jo indlysende, at faktorforbruget vil stige helt vanvittigt, hvis man skal følge disse anbefalinger.

EHC

EHC har to nye projekter på bedding. Det ene drejer sig om at få etableret en klassificering af centre i ekspertcentre og behandlingscentre, dvs. nogle minimumskrav, som en afdeling skal opfylde for at kalde sig et center. Det er f.eks. et krav, at man har mindst 30 patienter i behandling. Det er tanken, at det skal bero på en frivillig tilmelding, og vurderingen skal foretages ud fra nogle indberetninger. Man vil starte med 125 centre (hvorfra?) og indberetningerne skal vurderes af læger, patienter og sygeplejersker (hvem?). Dette skal ske inden for 12 måneder. Der er nedsat en arbejdsgruppe, som skal udarbejde standarder og guidelines for, hvordan man bliver certificeret. Personligt tror jeg ikke meget på projektet i den form, det

blev præsenteret, papir er taknemligt, det er nemt at pynte på data, og det er ikke uvildigt. Problemet er også, at landene har forskellige kvalitetskrav til deres sygehuse og forskellige standarder, og der må jo ikke være uoverensstemmelse mellem myndighedskrav og EHC's standarder. Måske skulle man overveje nogle i forvejen godkendte kvalitetssystemer (f.eks. ISO9000), eller en simpel smiley-ordning, hvor det også kunne være patienterne, som bedømte deres behandlingssted ligesom Tripadvisor.

Det andet projekt drejer sig om etableringen af et "European Haemophilia Network", som vi netværket skal informere om standarder, kliniske afprøvninger, forskellige behandlinger og forskellige mobilapplikationer, så man f.eks. hurtigt kan finde nærmeste behandlingscenter, uanset hvor man opholder sig. Man forventer også at etablere et system til telemedicin og styring af hjemmebehandling.

WFH

Det europæiske regionale møde var – igen – fokuseret på årets tema "Close the Gap". Det er tankevækkende, at man også for 20 år siden talte om, at 75 % af verdens blødere får ingen eller utilstrækkelig behandling, og det har ikke ændret sig spor, selvom der nu er dobbelt så meget medicin på markedet, dvs. de rige lande bruger mere, de fattige lande har stadig ikke råd.

Det står samtidig i skærende kontrast til, at man vil anbefale at bruge langtidsvirkende præparater til alle blødninger, for at undgå de 11 % af behandlingerne, hvor én infusion ikke er nok. Det bliver altså dobbelt så dyrt at behandle en enkelt blødning. Samtidig mener nogen, at der skal bruges meget mere medicin til forebyggende behandling. Jeg så ikke et eneste sted nogen, der talte om at udvikle eller markedsføre billigere præparater, og tanken om "Close the Gap" ligger fjernt, når medicinalindustrien ikke er med for alvor.

Erik Berntorp præsenterede et større studie, hvor det konkluderes, at profylaktisk behandling aldrig vil blive "cost/benefit" fordelagtigt, med mindre priserne på faktor falder drastisk.

Det blev nævnt, at man planlagde en eller anden form for event i København den 26. juni 2013 på selve dagen for dannelsen af WFH for 50 år siden. Vi var hurtige til at bakke op om dette, og Tine fik kontakt med deres pressechef med det samme og aftalt, at DBF bliver involveret fra starten. Mon ikke vi kan finde nogle sponsorer til et sådant arrangement?

Bayer Apps

Bayer viste på deres stand en ganske interessant og gratis app til iPhone, som kunne anvendes til registrering af faktorforbrug, forebyggende og ved blødning, scanne stregkoder, registrere årsag til anvendelse og sende automatiske rapporter som e-mail. Hvis nogen har en iPhone, så prøv at søge på "factorTrack" Bayer.

Hepatitis C

Vi har tidligere hørt, at der var nye præparater på vej til behandling af hepatitis C. Dette blev bekræftet på kongressen, hvor nye og mere specifikke produkter (protease inhibitor) har vist sig yderst effektive. Lige nu har man mest erfaring med behandling af type-1 virus, hvor man i et enkelt studie har opnået 100 % succes, dvs. alle patienter blev virus-negative. Det forventes, at der inden for 2-3 år vil komme mange nye præparater, og der er også resultater, som tyder på, at man kan behandle med succes uden interferon, som er årsag til de fleste bivirkninger.

Quality of Life

Emnet blev præsenteret ved flere forelæsninger og posters, bl.a. Novo Nordisk's HERO-projekt. Man kan vel ikke sige, at der var noget som helst overraskende i nogle af undersøgelseerne. Mindre behandling = dårligere livskvalitet. 50 % af blødere har nedsat mobilitet og kroniske smerter. De fleste blødere er gode til at håndtere deres situation. Der er efterhånden udviklet flere spørgeskemaer, som er direkte beregnet til blødere, nogle af dem findes endog på dansk. Mon ikke vi skulle overveje at tilpasse os de eksisterende metoder ud i fremtiden. Der var ret meget fokus på bedre/forbedret QoL ved at starte sekundær profylakse op hos voksne blødere med flere blødninger eller ledskader, hvilket kunne reducere blødningsfrekvensen betydeligt. Generelt var tendensen vel, at der er flere, som nu peger på forebyggende behandling gennem hele livet.

Gen-terapi

Data for behandling med gen-terapi af de første 6 patienter med hæmofili B blev præsenteret. De fire patienter har haft langvarig og tilstrækkelig stigning i faktor IX, og der var lejlighed til at høre (og se!) en af patienterne. Eneste væsentlige bivirkning har været tegn på en kortvarig leverinfektion med påvirkede levertal, men dette har i alle tilfælde kunne behandles med binyrebarkhormon. Der var flere diskussioner om genterapi, men tendensen var vel, at man nu anser det for en accepteret behandling af hæmofili B, men mangler noget mere erfaring, specielt om langtidsvirkningen. Man ser stadig muligheden for også at behandle hæmofili A, men tidsperspektivet er nok 10 år ud i fremtiden.

Derudover

Overrækkelsen af medicin til inderne var et hit. Vi var nu noget betænkelige, både for at blive standset i tolden undervejs, og dels fordi overdragelsen som sådan nok ikke var helt lovlig. Derfor afviste WFH at bringe nogen omtale i deres dagsavis, og tanken om at holde lav profil er nok delvis fordultet, efter at inderne har lagt billeder ud på Facebook.

Gallamiddagen var ikke nogen festforestilling, selvom vi var lovet "an evening to remember" med underholdning og overraskelser. Det øsede ned, folk lignede druknede mus og busserne var op til en time forsinkede. Overraskelsen var en nøglering fra Australien med form som en boomerang (så kommer nøglerne tilbage, hvis man smider dem væk?) og underholdningen et standard party-diskotek, lige noget for os gamle blødere. Maden var vel ok, - men alt for lidt, og tjenerne var i den grad sløve, og undlod f.eks. fuldstændig at skænke vin op – vi måtte selv ud og stjæle, når de ikke var i nærheden – tsk. Billetterne til drinks kunne vi ikke indløse, for baren var ikke åben. Overvejer seriøst at kræve pengene retur!

Theis, 22. juli 2012