## GEN-THERAPIE FÜR HÄMOPHILIE

Eine thematische Sammlung von Materialien zur Gen-Therapie zur gemeinsamen Entscheidungsfindung für die Hämophilie-Gemeinschaft

Die nachfolgende Auflistung von Links wurde in Absprache mit folgenden Patientenorganisationen für Blutungskrankheiten weltweit zusammengestellt. BioMarin ist nicht verantwortlich für den Inhalt der verlinkten Quellen und hat nicht bestätigt, ob die hier aufgelisteten Ressourcen vollständig, korrekt oder aktuell sind. Dieses Material ist nicht für werblich Zwecke gedacht und hat als einziges Ziel, wissenschaftliche Informationen über Krankheiten und/oder Gesundheit wiederzugeben. BioMarin gibt keine Garantie oder Zusicherungen bezüglich der hier aufgeführten Materialien. Der Inhalt sollte keine zusätzlichen Untersuchungen und/oder Beratung mit Ärzten ersetzen.

Diese Zusammenstellung wurde durch Mitglieder des BioMarin Patientenrats der folgenden Patientenorganisationen für Blutungskrankheiten weltweit entwickelt.

























Dieses Dokument wird von BioMarin finanziert und wurde gemeinsam mit Mitgliedern des BioMarin Patientenrats von Patientenorganisationen für Blutungskrankheiten weltweit entwickelt.

## WAS WERDEN SIE

### IN DIESEM DOKUMENT FINDEN?

Dieses Dokument ist eine Sammlung von circa 50 Materialien über Gen-Therapie und der gemeinsamen Entscheidungsfindung bei Hämophilie in Englisch und anderen Sprachen, falls verfügbar. Das Ziel dieser Sammlung ist es, dass alle verfügbaren Informationen zur Gen-Therapie bei Hämophilie leicht zu finden sind und Sie in Ihrer Lernreise zu unterstützen. Die Liste kann regelmäßig aktualisiert werden, um neue Materialien aufzunehmen.

# WIE SIND DIE MATERIALIEN KATEGORISIERT?

Die Materialien zur Gen-Therapie und zur gemeinsamen Entscheidungsfindung werden in folgende Kategorien eingeteilt:



#### Internationale/ Überregionale Patientenorganisationen

- World Federation of Hemophilia
- International Alliance of Patients' Organizations (IAPO)
- European Haemophilia Consortium

## Medizinische / Wissenschaftliche Organisationen\* und andere

- American Society of Gene & Cell Therapy (ASGCT)
- International Society on Thrombosis and Haemostasis (ISTH)
- Ottawa Hospital Research Institute & University of Ottawa
- HAEMNET (The Journal of Haemophilia Practice)
- HAEMTRACK
- Pubmed

#### Länderspezifische Patientenorganisationen



National Bleeding Disorders Foundation (formerly NHF)



IGH - Interessengemeinschaft Hämophiler e.V.



Haemophilia Foundation Australia



Canadian Hemophilia Society



Irish Haemophilia Society



Real Fundación Victoria Eugenia (RFVE) and Federación Española De Hemofilia (FEDHEMO)



Association Française des Hémophiles (AFH)



# GEN-THERAPIE ZUR GEMEINSAMEN ENTSCHEIDUNGSFINDUNG INTERNATIONALE / ÜBERREGIONALE

PATIE	ENTENORGANISATION	NEN			
	NAME	ZIELE	JAHR	FORMAT	LINK
EUROPÄISCHES KONSORTIUM FÜR HÄMOPHILIE	EHGespräche: eine Reihe von 5 Videos über Gentherapie	Informationen über Gentherapie und Hämophilie sowohl aus Patienten- als auch aus Expertensicht, die Folgendes abdeckt: 1. Was ist Gentherapie? 2. Ein Überblick über die Gentherapie bei Hämophilie A und B 3. Wie läuft eine klinische Studie zur Gentherapie bei der Hämophilie ab? 4. Sicherheit und Gentherapie 5. Gentherapie: Perspektive eines Patienten	2022	$\triangleright$	HIER KLICKEN
	Gentherapie: Ein praktischer Leitfaden	Unterstützung und Anleitung der nationalen Mitgliedsorganisationen (NMO, National Member Organizations) bei der Anwendung der Gentherapie als therapeutische Option in ihren Ländern	2022		HIER KLICKEN
	EHCucate-App	Bereitstellung von Informationen/Schulung zu seltenen Blutungserkrankungen und neuartigen Therapien	2021		HIER KLICKEN
IAPO/ IFPMA	Toolkit für Zell- und Gentherapien	Bereitstellung von wissenschaftlichen, technologischen, regulatorischen und sicherheitsrelevanten Informationen zur Zell- und Gentherapie sowie von Tipps zur Interessenvertretung	2020		HIER KLICKEN
	Gentherapie bei Hämophilie (auch in <u>Français</u> und <u>Español</u> verfügbar)	Kurze Einführung in die Gentherapie bei Hämophilie	2023	D	HIER KLICKEN
NOIL	Gentherapie bei der Hämophilie A: Informationsblatt (auch in <u>Français</u> und <u>Español</u> verfügbar)	Allgemeine Fragen zur Behandlung, Wirksamkeit, Sicherheit, Überwachung/ Nachbeobachtung und zum Leben nach der Gentherapie bei Hämophilie A	2023		HIER KLICKEN
FEDERA	Einführung in die Gentherapie bei Hämophilie	Kurzer Überblick über die Gentherapie bei Hämophilie	2023	$\triangleright$	HIER KLICKEN
ILIE (WORLD LIA, WFH)	Gemeinsame Entscheidungsfindung bei klinischen Studien zur Gentherapie der Hämophilie (Audio auf Englisch, Untertitel auf Spanisch/ Español und Englisch)	Erläuterung des Prozesses der gemeinsamen Entscheidungsfindung und Einwilligungserklärung zur Teilnahme an klinischen Studien zur Gentherapie	2023	$\bigcirc$	HIER KLICKEN
FÜR HÄMOPH OF HEMOPHI	WFH-Tool zur gemeinsamen Entscheidungsfindung (auch in <u>Français</u> und <u>Español</u> verfügbar)	Erleichterung von Gesprächen über Behandlungsmöglichkeiten zwischen Menschen mit Hämophilie, Betreuern und Gesundheitsteams durch ein interaktives Entscheidungshilfe-Tool	2023		HIER KLICKEN
WELTVERBAND FÜR HÄMOPHILIE (WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA, WFH)	Klinische Studien: Informationen zur eLearning-Plattform (auch in العربية, <u>Français, Русский</u> und <u>Español</u> verfügbar)	Aufklärung der Hämophilie-Gemeinschaft über den Ablauf klinischer Studien	2022	<u> </u>	HIER KLICKEN
	Klinische Studien zu Hämophilie (auch in العربية, <u>Français, Русский</u> und <u>Español</u> verfügbar)	Bereitstellung grundlegender Informationen über klinische Studien zur Hämophilie	2022		HIER KLICKEN
	Gentherapie: Informationen zur eLearning- Plattform (auch in العربية, <u>Français, Русский</u> und <u>Español</u> verfügbar)	Bereitstellung von Informationen zur Gentherapie	2022	<u> </u>	HIER KLICKEN
	Anwendung für				

FORMATE

Anwendung für mobile Endgeräte Online Weiterbildung









	NAME	ZIELE	JAHR	FORMAT	LINK
WELTVERBAND FÜR HÄMOPHILIE (WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA, WFH)	Gentherapie bei Hämophilie Pipeline-Tool für klinische Studien	Bereitstellung von Informationen über klinische Studien zur Gentherapie	2023		HIER KLICKEN
	Wie neue Therapien in klinischen Studien getestet werden (auch in لعربية, <u>Français</u> , <u>Русский</u> und <u>Español</u> verfügbar)	Informationen für jede Phase einer klinischen Studie (z. B. Zweck der Studie, Dauer)	2022		HIER KLICKEN
	Was ist Gentherapie? (auch in لعربية, <u>Français, Русский</u> und <u>Español</u> verfügbar)	Bereitstellung grundlegender Patienteninformationen über die Gentherapie bei Hämophilie	2022		HIER KLICKEN
	WFH-Register für Gentherapie – Grundlagen der Hämophilie, Gentherapie und langfristige Datenerfassung (auch in <u>Français</u> und <u>Español</u> verfügbar)	Einführung in das WFH-Register für Gentherapie	2022		HIER KLICKEN
	WFH-Register für Gentherapie – Benutzerhandbuch für Menschen mit Hämophilie (auch in <u>Français</u> und <u>Español</u> verfügbar)	Bereitstellung weiterer Informationen für Menschen mit Hämophilie, die sich dem WFH-Register für Gentherapie anschließen möchten	2022		HIER KLICKEN

FORMATE





## GEN-THERAPIE ZUR GEMEINSAMEN ENTSCHEIDUNGSFINDUNG

## ÄNDERSPEZIFISCHE PATIENTENORGANISATIONEN

	NAME	ZIELE	JAHR	FORMAT	LINK
IGH	Der Sommer & Gentherapie – beides zum Greifen nah! Aufzeichnung des 2. IGH- Gentherapie Web-Seminar (nur in German/Deutsch verfügbar)	Einblicke in die Theorie der Gentherapie, die Verabreichung, die Nachbeobachtung und die Personen, die davon profitieren könnten	2022	D	HEIR KLICKEN
STIFTUNG FÜR HÄMOPHILIE IN AUSTRALIEN	Gentherapie für Hämophilie	Beantwortung der Fragen der australischen Gerinnungsstörungen-Gemeinschafts- mitglieder zur Gentherapie und ihrer Relevanz für sie jetzt und in Zukunft	2019		HEIR KLICKEN
	Austausch von Wissen macht uns stärker	Diskussion über Gentherapiestudien und ihre Bedeutung für Menschen mit Hämophilie	2018		HEIR KLICKEN
RFVE UND FEDHEMO	Gentherapie bei Hämophilie (nur in Spanisch/Español verfügbar)	Aufklärung der Patienten über die Gentherapie und Unterstützung bei der Entscheidung, ob die Therapie für sie geeignet ist	2023		HEIR KLICKEN
	Gentherapie: Anspruchsberechtigung – FAQs	Aufklärung darüber, wer für eine Gentherapie in Frage kommt	2022	D	HIER KLICKEN
ÖRUNGEN	Gentherapie: Einschränkungen, Risiken und Unbekanntes – FAQs	Antworten auf die Gentherapie: Einschränkungen, Risiken und Unbekanntes	2022	D	HIER KLICKEN
ILUTUNGSST IHF)	Gentherapie: Grundlagen – FAQs	Antworten auf die Grundlagen der Gentherapie	2022	D	HIER KLICKEN
TIFTUNG FÜR BLUTUNGSSTÖRUNGEN (ehemals NHF)	Fortschritte bei der Behandlung der Hämophilie: Was Sie wissen müssen	Überblick über neue Behandlungsmöglichkeiten für Hämophilie	2020	D	HIER KLICKEN
NATIONALE ST	Gentherapie: Ein offenes Gespräch	Führung einer ausgewogenen, patientenzentrierten Diskussion über die Gentherapie aus verschiedenen Perspektiven	2020	<u></u>	HIER KLICKEN
	Gentherapie: Webinar zur Einführung in die Gentherapie	Präsentation von Informationen über Hämophilie und Gentherapie	2020	<u></u>	HIER KLICKEN
АҒН	Gentherapie für seltene hämorrhagische Krankheiten in 12 Fragen (nur in Französisch/Français verfügbar)	Beantwortung von 12 Schlüsselfragen, die 3 Hauptabschnitte umfassen: 1) die Grundlagen der Gentherapie, 2) die Anwendung der Gentherapie auf die Behandlung von Krankheiten, 3) Patientenfragen	2018		HIER KLICKEN









Webinar









## GEN-THERAPIE ZUR GEMEINSAMEN **ENTSCHEIDUNGSFINDUNG**

## LÄNDERSPEZIFISCHE PATIENTENORGANISATIONEN

	NAME	ZIELE	JAHR	FORMAT	LINK
NATIONALE STIFTUNG FÜR BLUTUNGSSTÖRUNGEN (ehemals NHF)	Gentherapie: Aktuelle Informationen und nächstes Webinar	Besprechung des aktuellen Status von Gentherapien in der Pipeline und anderen neuartigen Therapien	2020		HIER KLICKEN
	Was ist Gentherapie?	Erklärung von Genen / Gentherapie bei Hämophilie	2019	$\triangleright$	HIER KLICKEN
	Gentherapie: Fragen für Ihren Anbieter (auch in <u>Español</u> verfügbar)	Hilfe für Patienten, die ihrem Anbieter relevante Fragen zur Hämophilie-Gentherapie stellen wollen	n. z.		HIER KLICKEN
	Gentherapie 101 für Patienten und Familien	Aufklärung über Gentherapie und gemeinsame Entscheidungsfindung	n. z.	$\bigcirc$	HIER KLICKEN
IALE S	Gentherapie-Glossar von Begriffen	Überblick über die Terminologie der Gentherapie	n. z.	0	HIER KLICKEN
NATION	Häufig gestellte Fragen zur Gentherapie	Beantwortung der häufigsten Fragen zur Gentherapie bei Hämophilie	n. z.	07	HIER KLICKEN
PHILIE.	Alles über die Hämophilie-Gentherapie: ein Leitfaden für Patienten und Betreuer (auch in <u>Français</u> verfügbar)	Bereitstellung grundlegender Informationen über die Gentherapie, deren Nutzen und Risiken, was bekannt ist und was nicht, und welche Fragen der Hämophilie-Gemeinschaft weiterhin zu beantworten sind	2023		HIER KLICKEN
	Eine Reihe von 9 Podcast-Episoden mit bekannten Patienten- und Ärzteexperten, einschließlich Transkripten in Englisch und Französisch	<ul><li>Antworten auf wichtige Fragen:</li><li>1. Was ist eine Gentherapie bei Hämophilie?</li><li>2. Wer ist für eine Hämophilie-Gentherapie geeignet?</li></ul>		2	HIER KLICKEN HIER KLICKEN
KANADISCHE HÄMOPHILIE- GESELLSCHAFT	(Für Transkripte auf Französisch/Français, wählen Sie bitte "Français" oben rechts auf der Seite der gewählten Podcast-Episode)	<ul><li>3. Wie lauten die Ergebnisse klinischer Studien zur Gentherapie bei Hämophilie?</li><li>4. Wie ist der Ablauf einer Gentherapie?</li><li>5. Was wissen wir nicht über die Gentherapie</li></ul>	n. z.	÷ 6	4. HIER KLICKEN 5. HIER KLICKEN 6. HIER KLICKEN 7. HIER KLICKEN 8. HIER KLICKEN 9. HIER KLICKEN
KANADISC	* Podcasts sind auch auf regulären Podcast-Kanälen wie Apple Podcasts, Spotify und YouTube verfügbar.	<ul><li>bei Hämophilie?</li><li>6. Wie sieht der Prozess der gemeinsamen Entscheidungsfindung bei der Gentherapie bei Hämophilie aus?</li></ul>			
		<ul><li>7. Wie könnte eine Gentherapie finanziert werden?</li><li>8. Wie könnte eine Gentherapie in Kanada durchgeführt werden?</li></ul>			
		Welche weiteren Ansätze für eine Gentherapie bei Hämophilie gibt es noch?			
IRISCHE HÄMOPHILIE- GESELLSCHAFT	Neuartige Behandlungen bei Hämophilie und anderer Blutungsstörungen: eine periodische Überprüfung 2023 – Ausgabe 1	Bereitstellung aktueller Informationen für die nationalen Mitgliedsorganisationen (NMO) des Europäischen Konsortiums für Hämophilie sowie eines allgemeinen Überblicks und Verständnisses der sich rasch entwickelnden Landschaft von Arzneimittel-entwicklungen bei seltenen Blutungs-störungen, speziell bei Hämophilie A und B; Hemmstoffe bei Hämophilie, von-Willebrand-Krankheit und	2023	È	HIER KLICKEN



Konferenz



Handbuch





Webinar Internetseite











Video







## GEN-THERAPIE ZUR GEMEINSAMEN ENTSCHEIDUNGSFINDUNG MEDIZINISCHE / WISSENSCHAFTLICHE ORGANISATIONEN UND ANDERE

			NAME	ZIELE	JAHR	FORMAT	LINK
Medizinische/wissenschaftliche Organisationen		AMERIKANISCHE GESELLSCHAFT FÜR GEN- UND ZELLTHERAPIE (AMERICAN SOCIETY OF GENE & CELL THERAPY, ASGCT)	Hämophilie	Bereitstellung grundlegender Informationen über Hämophilie und Gentherapie	2023	Þ	HIER KLICKEN
		INTERNATIONALE GESELLSCHAFT FÜR THROMBOSE UND HÄMOSTASE (INTERNATIONAL SOCIETY ON THROMBOSIS AND HAEMOSTASIS, ISTH)	2 interaktive Videos über "gemeinsame Entscheidungsfindung: der Weg zur Gentherapie bei Hämophilie" mit einem Patientenvertreter und einem Hämophilie-Arzt	Erforschung und Diskussion der Gentherapie für Menschen mit Hämophilie und gemeinsame Entscheidungsfindung in zwei interaktiven Sitzungen	2023	$\triangleright$	1. HIER KLICKEN 2. HIER KLICKEN
			Gentherapie bei Hämophilie A und B im Vergleich zu verfügbaren Behandlungen	Diskutieren Sie aktuelle Informationen über die aktuellen und neuen Ansätze zur Behandlung der Hämophilie, einschließlich der verschiedenen Ansätze der Gentherapie. Besprechen Sie die Vor- und Nachteile der Gentherapie mit Patienten und Betreuern, einschließlich verfügbarer Ressourcen für die weitere Aufklärung	2021	₽	HIER KLICKEN
		PUBMED	Gentherapie bei Hämophilie: Ihre Fragen beantwortet	Bereitstellung von Antworten auf Fragen zu den 5 Phasen der Entscheidungsfindung von Patienten (als Teil der <u>Veröffentlichung</u> "Wang M, Negrier C, Driessler F, Goodman C, Skinner MW. The Hemophilia Gene Therapy Patient Journey: Questions and Answers for Shared Decision- Making. Patient Prefer Adherence. 2022")	2022	$\bigcirc$	HIER KLICKEN
Beratungsfirma		HAEMNET (DIE FACHZEITSCHRIFT FÜR HÄMOPHILIE)	Der Weg der Gentherapie bei Hämophilie – der Patient im Mittelpunkt des Naben- und Speichen- modells	Erörterung des Weges der Gentherapie bei Hämophilie aus der Sicht des Patienten	2023	<u>_</u>	HIER KLICKEN
			Personalisierung der Hämophiliebehandlung durch gemeinsame Entscheidungsfindung	Förderung des Konzepts der gemeinsamen Entscheidungsfindung (shared decision making, SDM) zwischen dem Hämophilie- Patienten und seinem Arzt	2021		HIER KLICKEN
(		HAEMTRACK	Haemtrack-App	Ermöglicht es den Patienten, alle Therapien aufzuzeichnen, sobald sie stattfinden, und ermöglicht es den Ärzten, aktuelle Therapieinformationen einzusehen, um die Patientenversorgung zu überwachen, zu optimieren und zu verbessern	n. z.		HIER KLICKEN
Akademien		OTTAWA HOSP. RESEARCH INSTITUTE & UNIVERSITY OF OTTAWA	Ottawa Leitfaden für persönliche Entscheidungen für Menschen, die Entscheidungen im Gesundheits- oder Sozialbereich treffen	Ermittlung der persönlichen Bedürfnisse, Planung der nächsten Schritte, Verfolgung der Fortschritte und Mitteilung der eigenen Ansichten an andere, die an der Ent- scheidung beteiligt sind. Die erlernten Fähigkeiten werden ihnen auch dabei helfen, in Zukunft andere Entscheidungen zu treffen	2015		HIER KLICKEN











## Kontaktinformationen

Kontaktinformationen von Patientenorganisationen, welche die Ressource mit verfasst haben und/oder eines der dargestellten Materialien herausgegeben haben.

#### BioMarin Pharmaceutical Inc.

Globale Medizinische Informationen

medinfo@bmrn.com

#### Association Française des Hémophiles

21 rue Georges Auric

75019 - Paris



01 45 67 77 67



accompagnement@afh.asso.fr

Website: https://afh.asso.fr/

#### **Canadian Hemophilia Society**

301-666 Sherbrooke Street West

Montreal, QC H3A 1E7



+1 514-848-0503

Gebührenfreie Nummer: 1-800-668-2686



chs@hemophilia.ca

Website: https://www.hemophilia.ca/

#### **European Haemophilia Consortium**

Rue de la Loi 28, 1040 Brussels, Belgium



office@ehc.eu

Website: https://www.ehc.eu/

#### Federación Española De Hemofilia

C/Sinesio Delgado, nº4. Pab.16 28029 Madrid



+34 913 146 508

fedhemo@fedhemo.com

Website: https://fedhemo.com/

#### Federazione delle Associazioni **Emofilici**

Via Veratti, 2 - 20155 Milano



+39 02 33004126

Gebührenfreie Nummer: 800178937

segreteria@fedemo.it Website: https://fedemo.it/

#### **Fondazione Paracelso**

Via Veratti, 2 - 20155 Milano



+39 02 33004126

info@fondazioneparacelso.it

Skype: fondazioneparacelso

Website: https://www.fondazioneparacelso.it/

#### Fundación de la Hemofilia

Soler 3485, CABA, Argentina



0800-555-4366 [HEMO]

info@hemofilia.org.ar

Website: https://www.hemofilia.org.ar/

#### Haemophilia Foundation Australia

Anschrift: PO BOX 1208 DARLING VIC 3145

ABN 89 443 537 189



Innerhalb Australiens: 03 9885 7800, International: +61 3 9885 7800



Innerhalb Australiens: 03 9885 1800, International: +61 3 9885 1800



Website: https://www.haemophilia.org.au/

#### International Alliance of Patients' **Organizations**

**CAN Mezzanine** 

49-51 East Road London

N1 6AH

United Kingdom



+44 20 7250 8280

info@iapo.org.uk

Website: https://www.iapo.org.uk/

#### Irish Haemophilia Society

First Floor, Cathedral Court, New Street

Dublin 8, DO8 VH64, Ireland



+353 (0) 1 657 99 00



+353 (0) 1 657 99 01

info@haemophilia.ie

Website: https://haemophilia.ie/

#### Israeli Hemophilia Association

Postfach: 9013

RAMAT EF'AL 52190



+972 (0)3 903 14 44

idit@hemophilia.org.il

Website: https://www.hemophilia.org.il/

#### IGH - Interessengemeinschaft Hämophiler e.V.

Remmingsheimer Str. 3

D-72108 Rottenburg am Neckar



+49 7472 22648



mail@igh.info

Website: https://www.igh.info/

#### **National Bleeding Disorders Foundation** (formerly NHF)

7 Penn Plaza Suite 1204,

New York, NY 10001, United States

212.328.3700



+1 212 328 3700

Gebührenfreie Nummer: 888 463 6643

info@hemophilia.org

Website: https://www.hemophilia.org/

#### Real Fundación Victoria Eugenia

C/ Sinesio Delgado, nº 4 - Pab. 4

28029 - MADRID - (España)



91 822 20 11

rfve@rfve.org Website: https://rfve.es/

#### The Haemophilia Society

52B Borough High Street,

London.

SF11XN



020 7939 0780

info@haemophilia.org.uk

#### Website: https://haemophilia.org.uk/ World Federation of Hemophilia

Allgemeine Anfragen

1425, boul. René-Lévesque Ouest

Bureau 1200

Montréal, Québec H3G 1T7 Canada



+1 514 875 7944

+1 514 875 8916

Website: https://wfh.org/