Hemofilie A

Je praktische gids naar zelfmanagement

sobi
rare strength

www.AHVH.be

Dit boekje is van:

Naam: .....

Telefoonnummer: .....

Referentiecentrum: .....

Behandelaar: .....

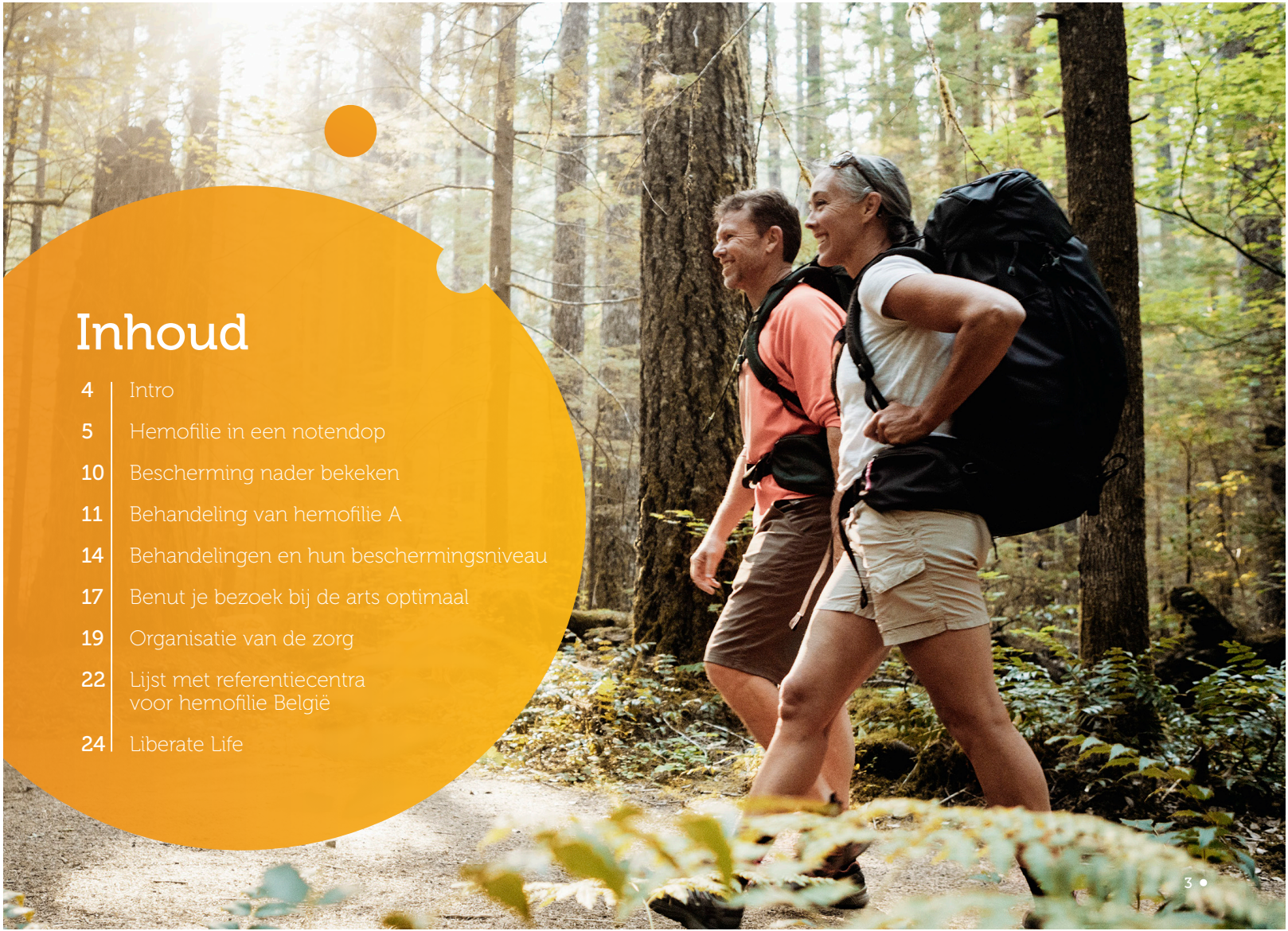
Telefoonnummer: .....

Type bloedstollingsstoornis: Hemofilie A ☐ Hemofilie B ☐

Ernstig ☐ Matig ☐ Licht ☐

Remmer: Ja ☐ Nee ☐ (Indien ja: ..... BU/ml)

Informatie voor de hulpverlener die dit boekje raadpleegt in geval van een noodsituatie, zoals een ongeval.



Inhoud

4 Intro

5 Hemofilie in een notendop

10 Bescherming nader bekeken

11 Behandeling van hemofilie A

14 Behandelingen en hun beschermingsniveau

17 Benut je bezoek bij de arts optimaal

19 Organisatie van de zorg

22 Lijst met referentiecentra voor hemofilie België

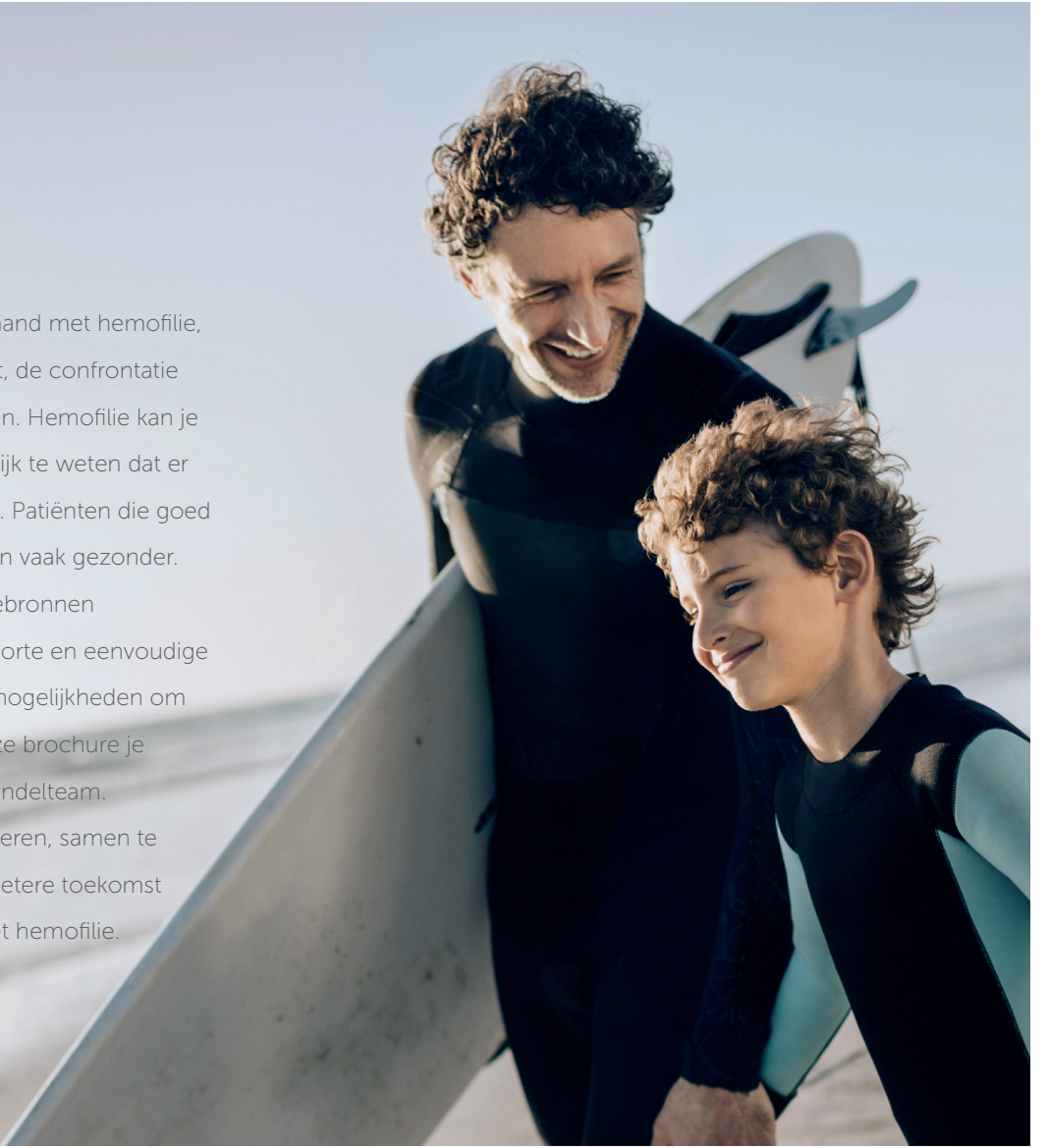
24 Liberate Life

Intro

Elke ziekte roept vragen op

Of je nu zelf hemofilie hebt, zorgt voor iemand met hemofilie, of iemand kent die hiermee te maken heeft, de confrontatie met hemofilie kan overweldigend aanvoelen. Hemofilie kan je isoleren, maar dat hoeft niet. Het is belangrijk te weten dat er mensen zijn die jou hierbij kunnen steunen. Patiënten die goed geïnformeerd zijn over hun aandoening, zijn vaak gezonder. Over hemofilie zijn verschillende informatiebronnen beschikbaar. Deze brochure geeft op een korte en eenvoudige manier een overzicht van de beschikbare mogelijkheden om hemofilie aan te pakken. Daarnaast kan deze brochure je helpen bij je gesprek met jouw arts of behandelteam.
Wij geloven dat we door naar elkaar te luisteren, samen te werken en unieke inzichten te delen, een betere toekomst kunnen creëren voor mensen die leven met hemofilie.

Veel leesplezier!



Hemofilie in een **notendop**

Over hemofilie

Hemofilie is een bloedingsstoornis waarbij je bloed niet juist stolt. Als je een wond hebt en je bloedt, duurt het langer dan normaal voordat het bloeden weer stopt. Dit komt doordat je een belangrijk eiwit niet voldoende produceert. Dit specifieke eiwit helpt om het bloed te stollen en wordt ook wel 'stollingsfactor' genoemd. Hemofilie is een zeldzame erfelijke ziekte, die vooral bij mannen voorkomt. Als de ziekte op de juiste manier wordt behandeld, kun je een volwaardig, gezond en actief leven leiden. Hoe meer je weet over hemofilie, hoe beter je gesprekken kunt voeren met je arts. Zo kun je samen met je omgeving het vertrouwen opbouwen om met hemofilie om te gaan en een zo normaal mogelijk leven te leiden.

Twee soorten hemofilie

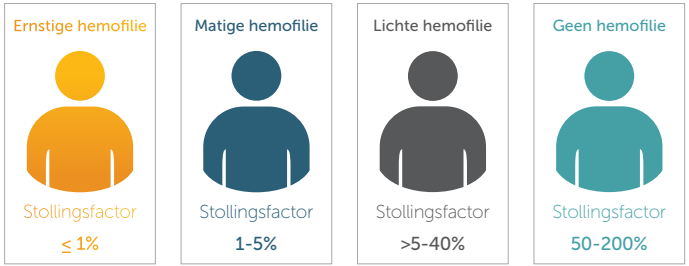
Er bestaan twee soorten hemofilie: **hemofilie A en hemofilie B.** Hoewel beide soorten voornamelijk voorkomen bij mannen, kunnen ze ook vrouwen treffen. Vrouwen die draagster zijn van het hemofilie-gen kunnen namelijk ook symptomen van hemofilie vertonen, zoals zware menstruatiebloedingen en andere bloedingsproblemen.[1] Bij hemofilie A is er een gebrek aan stollingsfactor VIII (acht). Bij hemofilie B is er een gebrek aan stollingsfactor IX (negen). Hemofilie A komt voor bij 1.7 op 10.000 mannen. Hemofilie B komt minder vaak voor, namelijk bij iets minder dan 1 op de 25.000 mannen.[2]

Hemofilie A en B worden in twee derde van de gevallen van ouder op kind doorgegeven. Soms kan hemofilie ook voorkomen zonder dat dit eerder in de familie is voorgekomen. In één derde van de gevallen komt hemofilie noch bij de moeder noch bij de vader voor, maar is de ziekte ontstaan tijdens de bevruchting, of later bij de ontwikkeling van het ongeboren kind.

1. Hermans et al. Haemophilia. 2024;30(Suppl. 3):45–51. 2. World Federation of Hemophilia, 2023; Report on the annual global survey of 2022, p3

Niveaus

De ernst van hemofilie hangt af van de hoeveelheid stollingsfactor in het bloed.[1]



Bij mensen zonder hemofilie neemt het factor VIII-gehalte toe bij stress, infecties, zwangerschap en door het innemen van de anticonceptiepil.

Bij ernstige hemofilie kunnen regelmatig bloedingen optreden, vaak zonder duidelijke aanleiding. Dit staat ook wel bekend als 'spontaan bloeden' en komt het meest voor in de gewrichten, maar ook, in mindere mate, in de spieren.

Bij matige hemofilie bloed je over het algemeen minder vaak dan bij ernstige hemofilie. Ook treden bloedingen meestal niet spontaan op. Je bloedt wel langer als je gewond bent geraakt, na een operatie, of na een behandeling bij de tandarts.

Bij lichte hemofilie bloed je over het algemeen alleen langer na een ernstige verwonding of operatie, en bloed je bijna nooit spontaan.

Overerving van hemofilie in gezinnen

Hemofilie ontstaat meestal doordat je een beschadigd gen van je ouders erft. Dit beschadigde gen zorgt ervoor dat je lichaam zelf niet voldoende stollingsfactor kan aanmaken.

Het gen dat zorgt voor het aanmaken van de stollingsfactor bevindt zich op het X-chromosoom. Mannen hebben een X-chromosoom en een Y-chromosoom, vrouwen hebben twee X-chromosomen. Dit betekent dat mannen die het beschadigde gen erven altijd hemofilie krijgen. Als een vrouw het beschadigde gen erft wordt ze 'draagster', ze heeft dan één beschadigde en één normale kopie van het gen. Als draagster heb je meestal geen hemofilie, maar kun je wel verschijnselen van lichte hemofilie krijgen. Als je draagster bent, kun je het beschadigde gen doorgeven aan je kinderen.

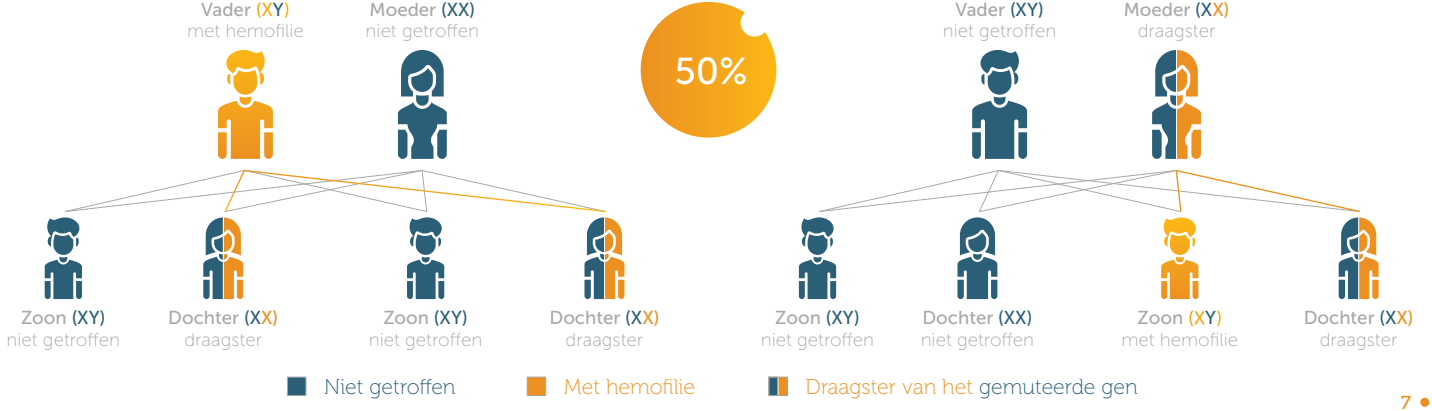
Als een moeder draagster is en de vader geen hemofilie heeft, is de kans 50% dat iedere zoon die ze krijgen hemofilie krijgt,

1. Srivastava, et al, Haemophilia 2020;00:1-158

en 50% kans dat iedere dochter die ze krijgen draagster is.
Als een vader hemofilie heeft en de moeder is geen draagster, dan krijgen de zonen geen hemofilie, maar alle dochters worden wel draagsters van het beschadigde gen.
In extreem zeldzame gevallen is het mogelijk dat een dochter hemofilie krijgt. Dit gebeurt alleen wanneer de vader hemofilie heeft en de moeder draagster is. De dochter erft dan van beide ouders het X-chromosoom waarop het beschadigde gen zich bevindt.

Hoe wordt de diagnose hemofilie gesteld?

De meeste mensen met hemofilie weten dat de ziekte in hun familie voorkomt. Bij een nieuwe geboorte is er dan een vermoeden dat hemofilie aanwezig kan zijn. Dit wordt tijdens of vlak na de geboorte vastgesteld. Als hemofilie niet in de familie voorkomt, kan het langer duren voordat hemofilie wordt vastgesteld.
Soms weten mensen niet dat hemofilie in hun familie voorkomt, bijvoorbeeld als vorige generaties alleen dochters hadden die wel draagster waren, maar geen verschijnselen van hemofilie hadden.
Ernstige hemofilie wordt meestal in de eerste paar maanden van het leven vastgesteld, omdat dit vanaf de geboorte kan



zorgen voor ernstige bloedingsproblemen. Matige tot lichte hemofilie wordt soms pas na een paar jaar ontdekt of zelfs pas op volwassen leeftijd.
Om hemofilie vast te stellen wordt bloedonderzoek gedaan die de activiteit van de stollingsfactor in het bloed meet. Als bekend is dat hemofilie in de familie voorkomt, kan deze bloedtest al tijdens de zwangerschap worden uitgevoerd. Ook kan er genetisch onderzoek worden gedaan om te kijken naar het beschadigde gen dat hemofilie veroorzaakt.

Wat gebeurt er als je bloedt?

Als je een bloeding hebt, zorgt je lichaam er normaal gesproken voor dat je bloed gaat stollen, zodat het bloeden stopt. Bij het stollen van je bloed zijn stollingsfactoren heel belangrijk. Als je hemofilie hebt dan mis je een stollingsfactor, waardoor er een probleem ontstaat bij het stollen van je bloed. Bij hemofilie A mis je stollingsfactor VIII (acht) en bij hemofilie B mis je stollingsfactor IX (negen). Om het stollen van je bloed te herstellen zijn er medicijnen die de ontbrekende factor toedienen, of die op een andere manier de ontbrekende factor in je bloedstolling aanpassen (non-factor behandelingen). Daarnaast zijn er ook genetische behandelingen. Meer informatie hierover vind je verderop in deze brochure.

Soorten bloedingen

Bij hemofilie A kunnen bloedingen overal in je lichaam optreden. De meest voorkomende bloedingen zijn die in spieren en gewrichten, en deze kunnen soms spontaan optreden, vooral bij ernstige hemofilie.
Wanneer een bloeding in je gewrichten optreedt, is dit meestal in de enkels, ellebogen of knieën, vaak vanaf de leeftijd van één jaar wanneer een kind begint te kruipen en lopen.
Een **gewrichtsbloeding** herken je aan pijn, stijfheid, warmte en zwelling.
Spierbloedingen zijn moeilijker te zien omdat spieren diep onder de huid liggen. Veelvoorkomende klachten hierbij zijn pijn en beperkte mobiliteit. **Subklinische bloedingen**, ook wel **microbloedingen** genoemd, blijven vaak onopgemerkt omdat ze geen duidelijke symptomen veroorzaken. Ze kunnen echter bijdragen aan chronische gewrichtsschade en pijn op

lange termijn. Regelmatige medische controles, met eventueel beeldvormingstechnieken zoals echografie (ultrasound) of beeldvorming met magnetische resonantie (MRI) zijn daarom belangrijk om vroege veranderingen in gewrichtsfunctie te detecteren.

Huid- en weefselbloedingen omvatten blauwe plekken en oppervlakkige bloedingen onder de huid. **Mond- en tandvleesbloedingen** kunnen spontaan of na tandheelkundige ingreep optreden. Hoewel deze bloedingen meestal minder ernstig zijn, is het belangrijk om je arts te raadplegen als ze frequent optreden of niet vanzelf stoppen.

Inwendige bloedingen, zoals die in het hart of de hersenen, zijn zeldzaam maar zeer ernstig en kunnen beroertes of verlamming veroorzaken. Signalen hiervan zijn ernstige hoofdpijn, stijve nek, overgeven en verwardheid. Ook symptomen als bloed in de urine of ontlasting, pijn in de borst of buik, dienen ernstig genomen te worden. Neem direct contact op met de spoeddienst en je behandelend arts als je vermoedt dat je een dergelijke bloeding hebt. Ook na een zware klap op je hoofd dien je contact op te nemen met een arts.

Bij twijfel over een bloeding, vooral als je niet goed bekend bent met de signalen, kun je het beste altijd advies vragen aan je behandelend arts of aan de verpleegkundige van je referentiecentrum.

Bloedingen bij hemofilie kun je onder controle krijgen of voorkomen met een gepaste behandeling. Dit kun je doen tijdens een bloeding *(on demand)* of op regelmatige basis om bloedingen zoveel mogelijk te voorkomen *(profylaxe),* zodat je een compleet en normaal leven kan leiden.

Bescherming nader bekeken

Leven met hemofilie

Als je leeft met hemofilie, is het belangrijk om gezond te leven en om zo goed mogelijk mee te kunnen doen aan verschillende activiteiten in het leven. Dit betekent niet alleen sporten, maar ook **dagelijkse activiteiten** zoals werken en naar school gaan, zonder dat je je druk hoeft te maken of je een bloeding krijgt. Als je leeft met hemofilie krijg je meestal een behandeling die het bloeden tegengaat, maar dit betekent niet dat je behandeling centraal moet staan in je leven. Ook als je hemofilie hebt, kun je reizen, sporten en **genieten** van alle kansen die het leven te bieden heeft.

Je behandeling zou zo min mogelijk een last moeten zijn. Door een behandeling die bloedingen voorkómt, worden je gewrichten maximaal beschermd en het risico op bloedingen verlaagd.

Van basisbescherming naar bijna-normale en genormaliseerde factorniveaus

Een kind dat vandaag de dag gediagnosticeerd wordt met hemofilie A, zal vanaf het begin een totaal andere bescherming kunnen hebben dan iemand die al enkele decennia met hemofilie leeft.

Historisch lag de behandeldoelstelling op 1% FVIII activiteit. Vandaag moedigt WFH wereldwijd aan om te streven naar >3-5% FVIII activiteit.[1] Uit de literatuur worden FVIII niveaus van 15-50% geassocieerd met bijna geen gewrichtsbloedingen.[2] **FVIII activiteitsniveaus >40%-<50% worden gedefinieerd als bijna gelijk aan de factorniveaus van mensen zonder hemofilie**.

De constante innovatie en evolutie in het behandellandschap maken dat bijna-normale en genormaliseerde factorniveaus binnen handbereik zijn.

WFH: World Federation of Haemophilia FVIII: stollingsfactor acht.
1. Srivastava, et al, Haemophilia 2020;00:1-158
2. Malec et al, Haemophilia. 2023;29:1419–1429.

Behandeling van hemofilie A

Of je nu regelmatig een hemofiliebehandeling nodig hebt om bloedingen te voorkomen *(**profylaxe**)*, of juist een behandeling nodig hebt op het moment dat een bloeding optreedt *(**on-demand**)*, je hebt toegang tot **verschillende behandelopties**.[1] De behandelingen variëren onder meer in productiewijze, beschermingsniveau, toedieningsfrequentie en -weg.

Plasma-afgeleide factorconcentraten worden uit gedoneerd bloedplasma gezuiverd en bieden natuurlijke stollingsfactoren met minimale infectierisico's door strenge screenings.

Recombinante factorconcentraten worden in laboratoria geproduceerd, wat zorgt voor een consistent en zuiver product met minder risico op besmetting. Beiden zijn intraveneus toe te dienen en zijn gebaseerd op het eenvoudig vervangen van wat er ontbreekt, namelijk natuurlijke FVIII. Er is een kleine kans op het ontwikkelen van antistoffen (inhibitoren) tegen de behandeling.

Niet-factor therapieën gebruiken andere methoden om bloed te laten stollen en worden onderhuids toegediend. Ze werken door de functie van de stollingsfactor na te bootsen, of zorgen dat eiwitten die normaal de stolling afremmen, minder actief zijn. Ze hebben een geplafoneerd beschermingsniveau, waardoor ze geregeld gecombineerd worden met recombinante factoren voor extra bescherming. Doordat ze de ontbrekende factor niet vervangen is er minder kans op het ontwikkelen van antistoffen tegen de behandeling.

Gentherapie introduceert een functionele kopie van het stollingsfactorgen in de cellen van de patiënt, waardoor het lichaam zelf de ontbrekende stollingsfactor kan produceren, wat een langdurige correctie kan bieden.

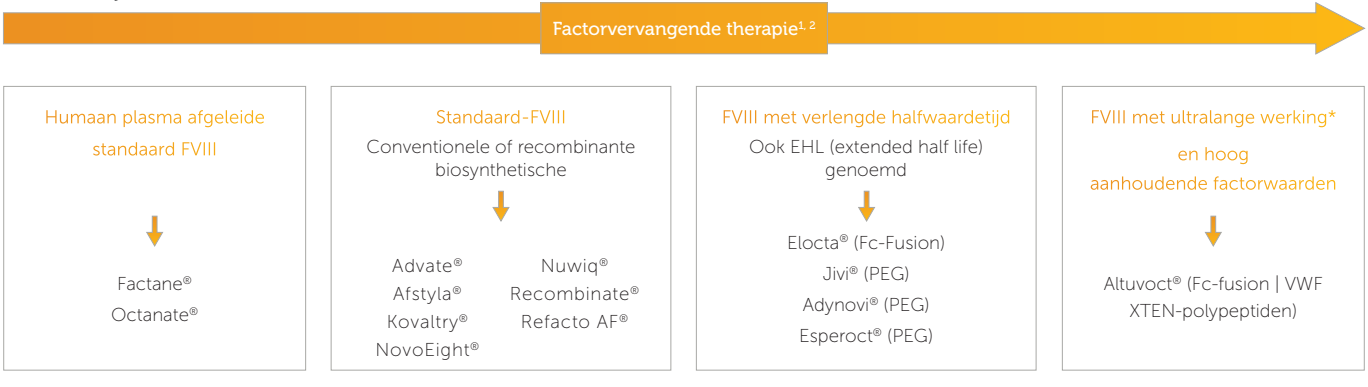
Elke therapie heeft voor- en nadelen. Bespreek met je arts welke therapie jou de beste bescherming biedt en je levenskwaliteit maximaliseert.

1. Srivastava, et al, Haemophilia 2020;00:1-158

Figuur 1 Overzicht van factorvervangende behandelingen en middelen.

Van links naar rechts is een tijdslijn van de behandelingen weergegeven. Aan de linkerkant zie je de oudere plasmabehandeling, gezuiverd uit donorplasma. In het midden staan de behandelingen die zijn gemaakt van kunstmatige producten, afkomstig van aangepaste dierlijke of menselijke cellen.

Rechts daarvan zie je de recent ontwikkelde behandelingen met verlengde en ultraverlengde halfwaardetijd. Deze begrippen worden verderop in deze brochure uitgelegd.



PEG: pegylatie productietechnologie met als doel de molecule te vergroten en deze zo langer in het lichaam te houden.
Fc-Fusion: productietechnologie waarbij factor VIII gefuseerd wordt met een ander eiwit zoals het Fc-fragment van immunoglobuline, wat het elimineren van factor VIII vertraagt.
* verschillende geavanceerde kenmerken helpen FVIII te stabiliseren . Zo zijn de polypeptiden (aminozuurketens) toegevoegd om de circulatietijd te helpen verlengen en is de molecule losgekoppeld van de lichaamseigen von Willebrand factor (VWF), waardoor de natuurlijke halfwaardetijdbeperking opgelegd door VWF wordt overwonnen. Deze structuur leidt tot een meer voorspelbaar en duurzaam hoog FVIII-activiteitsniveau en tot een veel langere halfwaardetijd dan alleen met Fc-Fusion of PEG technologie kan bekomen worden.

1. BCFI, Producten in hemofilie A op de Belgische markt. 2. WFH tool voor gedeelde besluitvorming: https://sdm.wfh.org/nl/education-nl/education-compare-treatment-classes-nl/

Wat kan 'halfwaardetijd' voor jou betekenen?

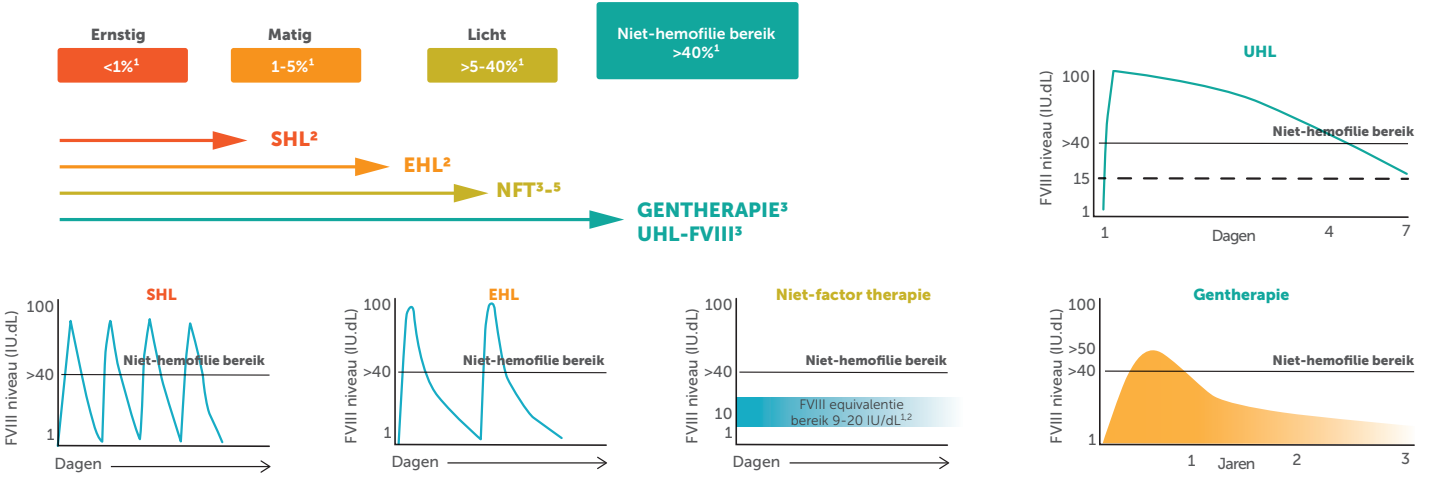
Laat ons eerst kijken naar factorvervangende producten (zie figuur 1). **Plasmaconcentraten** hebben een standaard halfwaardetijd. **Recombinante concentraten** kunnen een standaard halfwaardetijd (SHL) of een verlengde halfwaardetijd (EHL) hebben. De nieuwste generatie heeft een ultra verlengde halfwaardetijd (UHL). **EHL-factoren** verlengen de tijd dat FVIII in het bloed aanwezig blijft, wat betekent dat ze minder vaak moeten worden toegediend dan SHL-factoren (bijvoorbeeld twee injecties per week in plaats van drie). **UHL-factor** gaat nog langer mee en zorgt voor hoge aanhoudende factorwaarden, waardoor het FVIII niveau het grootste deel van de week binnen het niet-hemofilie bereik blijft met een wekelijkse injectie. **Niet-factorvervangende therapieën** (zie figuur 3) hebben halfwaardetijden die variëren en toedieningen tot veertiendaags of maandelijks toelaten. Hun beschermingsniveau is geplafoneerd, waardoor een combinatie met recombinante concentraten geregeld nodig kan blijken om voldoende bescherming te bieden. **Gentherapie** bestaat uit een eenmalige toediening, voorafgegaan door een voorbereidend schema zoals corticosteroïden, en kan een langdurige oplossing bieden. De mate en duur van de expressie (hoe goed het werkt) van factor VIII kan variëren tussen patiënten. Dit vergt een regelmatige opvolging. Gentherapie kan ook aanpassingen in de levensstijl vereisen.

Algemeen genomen kunnen minder frequente injecties het dagelijkse leven minder belastend maken en het mogelijk maken de toediening in te plannen op een rustig moment. Hoe hoger en hoe stabieler de factorconcentratie in het bloed, hoe beter je beschermt bent tegen (micro-)bloedingen en gewrichtsschade. Hoe voorspelbaarder en duurzamer het FVIII activiteitsniveau, hoe meer de algemene kwaliteit van leven en gezondheidsresultaten kunnen verbeteren. Ga het gesprek aan met je arts en ontdek welke therapieën momenteel beschikbaar zijn en welke jou de beste bescherming biedt.

Behandelingen en hun beschermingsniveau

Verschillende behandelingen bieden vandaag verschillende beschermingsniveau's, zoals aangegeven op p.6 van deze brochure. In functie van het gewenste beschermingsniveau, bestaan er vandaag dus verschillende behandelstrategieën.

Samen met andere criteria, zoals onder andere gebruiksgemak en de impact op pijn en levenskwaliteit kan je de nodige overwegingen maken, samen met je arts.



Figuur 2: Dit zijn illustraties die de algemene principes visualiseren. De curves zijn niet specifiek aan een geneesmiddel.

EHL, extendet half-life; FVIII, factor VIII; NH niet-hemofilie; NFT , non factor replacement therapy, UHL: ultra long half-life

1. Srivastava, et al, Haemophilia 2020;00:1-158 2. Coppola et al. J Clin med. 2022 3. Hermans, Pierce. J Thromb Haemost. 2024 4. Hermans, Pierce. Res Pract Thromb Haemost 2023 5. Swan et al. EJHaem. 2022

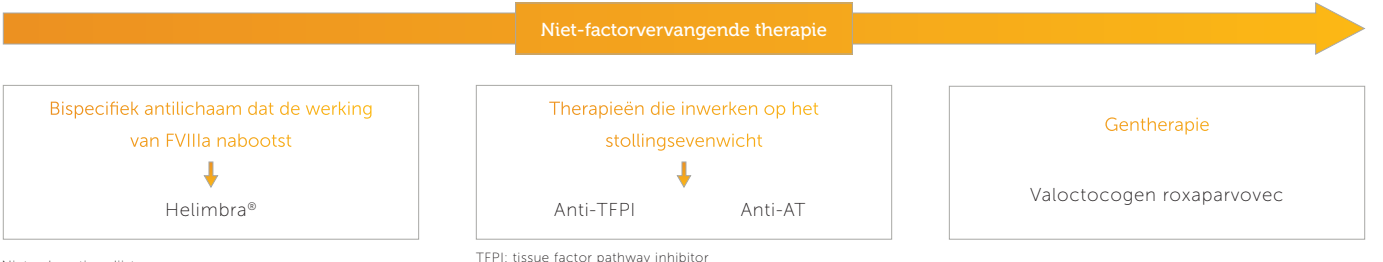
Hoe zit het met remmers?

Remmers of inhibitoren zijn antilichamen (eiwitten) die in plaats van infecties te bestrijden, jouw hemofiliebehandeling kunnen verstoren.

Er bestaat een perceptie waarin het overschakelen tussen factorbehandelingen het risico op het ontwikkelen van remmers kan verhogen. In werkelijkheid is het risico op het ontwikkelen van remmers afhankelijk van verschillende factoren, sommige factoren zijn helemaal niet gerelateerd aan je behandeling.[1] Veel mensen met hemofilie zijn veranderd van factorconcentraat in de loop van hun behandeling.[1] Voor de overgrote meerderheid van de patiënten leidt het overschakelen op andere factorconcentraten niet tot ontwikkeling van remmers.[2]

De Wereldfederatie Hemofilie (WFH) adviseert dat mensen met hemofilie die overschakelen op nieuwe stollingsfactoren, gecontroleerd moeten worden op de ontwikkeling van remmers.[2] Dit is slechts een voorzorgsmaatregel, er is geen reden om bang te zijn. Speciale aandacht is vereist voor patiënten die behandeld worden met niet-factorvervangende producten en voor het eerst of sinds lange tijd FVIII gebruiken. Praat met je arts als je zorgen of vragen hebt over het ontwikkelen van remmers wanneer je overschakelt op een andere behandeling. Je behandelend arts weet hier alles over.

Figuur 3 Overzicht van niet-factorvervangende behandelingen en middelen*.



Niet-exhaustieve lijst

TFPI: tissue factor pathway inhibitor
AT: antitrombine

1. Iorio, et al. Blood. 2012 Jul 26;120(4):720–727. 2. Srivastava, et al, Haemophilia 2020;00:1-158
* Check met je arts welke therapieën beschikbaar zijn in België.

Om de kansen te grijpen die het leven je te bieden heeft, is het belangrijk dat je je veilig en comfortabel voelt met je behandelingsplan. Als je van plan bent om van behandeling te veranderen, is het een goed idee om zo snel mogelijk naar je behandelingscentrum te gaan. Daar zal je behandelteam je persoonlijke en klinische informatie beoordelen om te zien of overschakelen een goed idee is.[1] Ook kunnen ze ervoor zorgen dat het proces van overschakelen zo veilig en vlot mogelijk verloopt.

Hoe ziet je behandeling er in de praktijk uit?

Het kan handig zijn om een kalender te gebruiken om je injecties met stollingsfactor in te plannen.
Je kunt ook reminders instellen op je mobiele telefoon en er bestaan ook digitale oplossingen, zoals apps die je kunnen ondersteunen, informeren en die je als digitaal dagboek kan gebruiken.

Benut je bezoek bij de arts optimaal

Voor elke patiënt met hemofilie zijn de verwachtingen en situatie anders. De medische wereld verandert snel, en met de nieuwste behandelingen kun je je leven aanzienlijk verbeteren. Door te streven naar bijna-normale tot genormaliseerde factorniveaus, verminder je de kans op bloedingen, gewrichtsschade en andere complicaties op de lange termijn. Dit helpt je om actiever en bevredigender te leven, zonder constante zorgen over bloedingen.
We houden vaak vast aan oude gewoonten en behandelingen, zelfs als er andere opties zijn. Het is belangrijk om je verwachtingen aan te passen aan de nieuwe realiteit.
Wat vroeger de beste optie was, is dat nu misschien niet meer. De evolutie in behandelingen stelt je in staat je doelen bij te stellen en te genieten van optimale bescherming.

1. Harrington C,et al. Journal of Haemophilia Practice 2014 May;1:24–29.

Werk samen met je arts aan een behandelplan voor jou. Praat over je doelen met je arts. Hij/zij kan je helpen met de praktische kant van de zaken, zodat jij je kunt concentreren op andere zaken. Wil je bijvoorbeeld:

Minder bloedingen op jaarbasis?

Minder frequent injecteren?

De best mogelijke bescherming?

Een actievere levensstijl?

Eén geneesmiddel voor alle situaties?

Minder pijnlijke gewrichten?

Verbeterde therapietrouw?

Zelfredzaamheid in alle situaties?

Flexibiliteit?

Stel vragen over je behandeling

Jij bent de manager van je eigen situatie. Ga daarom bij elk bezoek proactief het gesprek aan met je arts. Hierbij kun je vragen stellen als:

- Is mijn behandeling nog steeds optimaal of is er nog ruimte voor verbetering?
- Is mijn huidige behandeling nog steeds de beste behandeling voor mij?
- Zijn mijn omstandigheden veranderd? (bijvoorbeeld meer sporten of een geplande reis)
- En zijn deze omstandigheden reden om mijn behandeling aan te passen? (in dosis en/of frequentie, in aard van therapie)
- Wat is voor mij belangrijker: minder injecties of een betere bescherming tegen bloedingen?
- Hoe kan ik een behandeling inpassen in de routine van mijn leven zodat mijn therapietrouw optimaal is?
- Welke activiteiten wil ik graag doen zonder me zorgen te maken over bloedingen?
- Welke nevenwerkingen, ongemakken of risico's ben ik bereid te accepteren in ruil voor een betere bescherming?
- Wat zijn mijn langetermijndoelen voor mijn gezondheid en hoe kunnen nieuwe behandelingen daarbij helpen?
- Wat betekent gebruiksgemak voor mij?
- Hoe ziet 'onder controle' zijn eruit voor mij?
- Wanneer vertel ik aan mijn arts over een bloeding? Welke type bloedingen meld ik en welke niet?
- Welke informatie en ondersteuning heb ik nodig om een keuze te maken?

Heb je moeite met het realiseren van een ambitie? Praat hierover met je arts, verpleegkundige, kinesist, psycholoog of maatschappelijk werker van je referentiecentrum. Met hen kan je de haalbaarheid van je droom evalueren en zij kunnen jou helpen om zowel kleine als grote hindernissen te overwinnen. Bespreek waar jij jezelf in vijf jaar (of twee of tien jaar) ziet. Denk na over je werk, studie, reizen, relaties, sport en alles wat je belangrijk vindt. Samen met het multidisciplinaire team van je referentiecentrum kun je een strategie creëren die je helpt om jouw doel te bereiken. Vraag naar je behandelopties. Het maakt niet uit of je grote ambities hebt, zoals een

sportieve uitdaging, of kleine ambities die jouw dagelijks leven een stuk aangenamer kunnen maken. Door dit te bespreken kun je mogelijk met kleine aanpassingen een grote stap vooruit zetten in het waarmaken van je wens. Zijn je plasmawaarden goed maar heb je nog steeds bloedingen? Meld dit aan je arts. Misschien is verdere verbetering van je behandeling mogelijk.

Organisatie van de zorg

Als je aan hemofilie lijdt, kun je terecht in een gespecialiseerd hemofiliebehandelcentrum. Dit centrum helpt je om zo goed mogelijk met hemofilie en je behandeling om te gaan. Je kunt er bijvoorbeeld een revalidatieprogramma volgen. Je kunt naar een referentiecentrum of naar het nationaal coördinatiecentrum gaan, een overzicht van deze centra vind je verderop in deze brochure. Je ziekteverzekering kan je mogelijk tegemoetkomen in de kosten.

Wat kan een gespecialiseerd centrum voor hemofilie doen?

De zorgprogramma's van een referentiecentrum voor hemofilie hebben enkele belangrijke doelstellingen:

- De gevolgen van je ziekte en de effecten ervan op je leven zoveel mogelijk beperken
- Een optimaal gebruik van de bloedstollingsfactoren mogelijk maken

De referentiecentra bieden geïndividualiseerde zorgprogramma's aan.

- Het opstellen van een volledig overzicht van je aandoening en de gevolgen ervan
- Informatie bieden aan jou en je naasten over de ziekte hemofilie, voorzorgsmaatregelen en de behandeling. Hierbij wordt bijvoorbeeld het voorkómen van bloedingen besproken, het vroegtijdig herkennen van symptomen van een interne bloeding, en het zelf toedienen van bloedstollingsfactoren
- Het coördineren van de volledige gespecialiseerde verzorging
- Gespecialiseerde verzorging, zoals bewegingstherapeuten, verpleegkundigen en psychologen
- Het voorschrijven van bloedstollingsfactoren, beheer van de getuigschriften, en behandeloverzicht voor de terugbetaling van de bloedstollingsfactoren
- De toediening van de bloedstollingsfactoren opvolgen
- Voorschrift en opvolging van de behandelmethode, in het geval je remmers of resistentie voor bloedstollingsfactoren hebt ontwikkeld

Afhankelijk van de ernst van je hemofilie en je persoonlijke behoeften kan zo'n zorgprogramma uit verschillende onderdelen bestaan:
Het nationaal coördinatiecentrum biedt dezelfde programma's aan als de referentiecentra. Daarnaast vangt het nationaal coördinatiecentrum patiënten op waarvan de situatie zeer ingewikkeld is (bijvoorbeeld resistentie voor de

Kijk voor meer informatie op www.riziv.fgov.be/nl.

Hoe kom je in contact met een gespecialiseerd centrum?

Je lijdt aan ernstige hemofilie.

1. Neem contact op met een centrum dat is opgenomen op de lijst van gespecialiseerde centra voor hemofilie.
2. Het centrum gaat na of je aan de voorwaarden voldoet. Zij versturen het aanvraagformulier voor de tegemoetkoming van revalidatieverstrekking en het medisch verslag naar je ziekenfonds.
3. Om ervoor te zorgen dat je ziekenfonds je jaarlijkse opvolging als ernstige hemofiliepatiënt kan vergoeden, dien je **elk jaar minimaal één keer** naar het centrum te gaan en daar minstens twee leden van het therapeutisch team te zien.

Je lijdt aan een matige of lichte vorm van hemofilie.

1. Voordat je je tot een gespecialiseerd centrum richt, dien je advies te vragen aan je behandelend arts.
2. Je kunt de zorg krijgen die je nodig hebt zonder formaliteiten bij het ziekenfonds te vervullen.

bloedstollingsfactoren, meervoudige complicaties). Tot slot vervult het coördinatie-opdrachten voor de behandeling van hemofilie in België.

Lotgenoten aan je zijde

AHVH, is een organisatie van en voor patiënten. Samen komen ze op voor de levenskwaliteit van mensen met hemofilie, de ziekte van Von Willebrand en andere erfelijke en zeldzame bloedstollingsaandoeningen. Zij staan garant voor informatie en steun, maar zijn ook de stem van hemofiliepatiënten op verschillende vlakken, zoals de ziekteverzekering, publieke instanties, artsen en andere zorgverleners.

Aarzel niet om contact met hen op te nemen:

Bukenstraat 7

1910 Buken

+32 (0)460 35 23 02

info@ahvh.be

Meer informatie is te vinden op de website: www.ahvh.be.

https://sdm.wfh.org

De WFH Shared Decision Making Tool is speciaal voor jou ontworpen door de Wereldfederatie van Hemofilie (WFH). Deze interactieve tool helpt je om samen met je zorgverleners en medisch team weloverwogen beslissingen te nemen over je behandeling. Met deze tool kun je klinisch bewijs, risico's, verwachte uitkomsten en je persoonlijke voorkeuren en waarden afwegen. Zo kun je je beter voorbereid voelen in het besluitvormingsproces en samen met je arts de beste behandelingsopties kiezen die bij jou passen.

https://florio.com/nl/

florio® HAEMO is een app voor mensen met hemofilie en hun artsen, ontwikkeld door Florio GmbH, een Duits softwarebedrijf voor medische hulpmiddelen. Florio GmbH en Sobi werken samen om het leven van mensen met zeldzame ziekten te transformeren.

Lijst met referentiecentra voor hemofilie België

UZ Antwerpen

Referentiecentrum voor hemofilie

Wilrijkstraat 10 - 2650 Edegem
03/821.32.50

UCL Bruxelles Saint-Luc

Centre de référence de l'hémophilie

Avenue Hippocrate 10 - 1200 Bruxelles
(Woluwe-Saint-Lambert)
02/764.16.82

UZ Leu

Nationaal Co
centrum voor

Herestraat 49 - 3
016/34.3

euven

Coördinatie-
oor Hemofilie

9 - 3000 Leuven
34.34.91

UZ Gent

Referentiecentrum voor
hemofilie

C. Heymanslaan 10 - 9000 Gent
09/332.89.80

HemoWaB*

Centre de référence de
l'hémophilie

J.J. Crocqlaan 15 - 1020
Bruxelles (Laeken)
02/477.33.11

Een samenwerking tussen HUDERF, Brugmann en de ziekenhuizen van Luik (CHU, CHR Citadelle, CHC),
met als hoofdadres het HUDERF in het Universitair Kinderziekenhuis Koningin Fabiola.

Liberate Life

Liberate Life is Sobi's visie op de toekomst van hemofilie. De visie van Liberate Life is om mensen met hemofilie zo goed mogelijk te ondersteunen en ze daarnaast een stem te geven. Door naar elkaar te luisteren en samen te werken wil Liberate Life mensen met hemofilie laten zien dat ze zichzelf kunnen uitdagen en een leven vol mogelijkheden na kunnen streven.

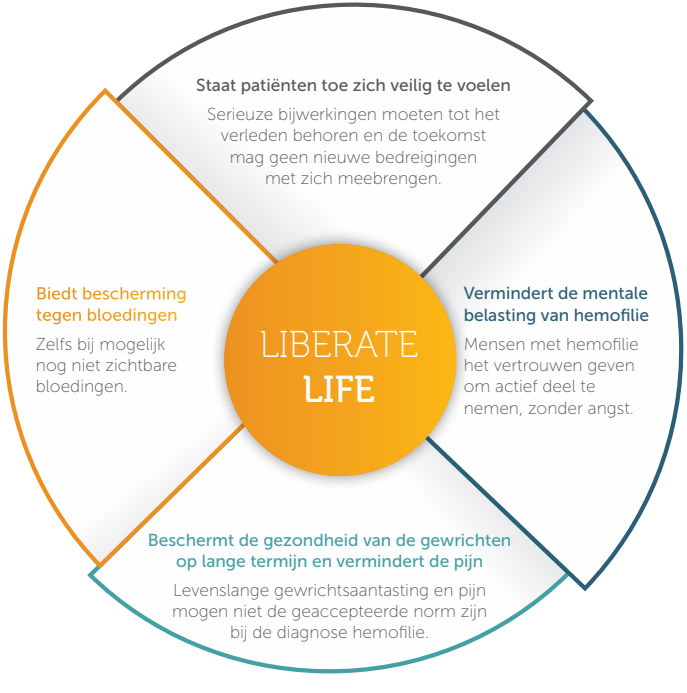
Liberate Life staat voor de toewijding om de bescherming van mensen met hemofilie te optimaliseren en ze een leven zonder compromissen te kunnen bieden. Dit wordt gerealiseerd door vijf belangrijke aandachtsgebieden:

1. Het vormgeven van nieuwe normen
2. Een geoptimaliseerde behandeling
3. Het verzamelen van bewijs
4. Duurzame toegang
5. Ondersteuning van de gemeenschap

Behandeling

Liberate Life vindt dat mensen met hemofilie zich altijd veilig moeten voelen, beschermd moeten zijn tegen bloedingen, langdurige gewrichtsbescherming moeten hebben en zich onbelast horen te voelen door hemofilie. Deze visie kan mensen met hemofilie bevrijden en ze zoveel mogelijk laten genieten van een leven buiten hemofilie.

Om de visie van Liberate Life te realiseren is het belangrijk dat de behandelaanpak aan vier eisen voldoet. Als aan deze eisen wordt voldaan, kan de behandeling mensen met hemofilie in staat stellen om een vol, actief en gezond leven te leiden.



Etnografische studie

Eind 2018 is een grootschalige, pan-Europese etnografische studie uitgevoerd waarbij het leven van 51 mensen met hemofilie is onderzocht. Deze mensen, evenals hun families, werden allemaal 1 tot 2 dagen gevolgd in hun dagelijkse activiteiten. Daarnaast werden achttien zorgverleners en vijf hemofiliedeskundigen geïnterviewd om een nog beter beeld te krijgen van hemofilie.

Een van de resultaten van deze studie is dat er vandaag de dag nog veel mensen zijn die leven met hemofilie en tevreden zijn met een stabiel leven. Ze accepteren de behandelkeuzes en de lange termijngevolgen daarvan. Liberate Life streeft naar meer dan alleen stabiliteit en zet zich in om mensen met hemofilie een vol, actief en gezond leven te kunnen laten leiden.
De studie heeft vier belangrijke inzichten opgeleverd die de huidige situatie in de hemofiliezorg beschrijven.

1

Normaal

Mensen met hemofilie ervaren hun leven vaak als 'normaal', ondanks regelmatige bloedingen, pijn en beperkingen. Dit weerhoudt hen ervan het leven te leiden dat ze willen.

2

Onzekerheid

Het begrijpen van bescherming bij hemofilie is ingewikkeld. Mensen met hemofilie ontwikkelen vaak een eigen manier om zichzelf te beschermen.

3

Stabiliteit

De huidige behandeling geeft een gevoel van stabiliteit, maar het staat mensen niet toe om een leven vol mogelijkheden na te streven.

4

Uitdagingen

Mensen met hemofilie worden geconfronteerd met bepaalde uitdagingen. Deze uitdagingen vragen om een meer persoonlijke behandeling.

© 2025 Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) – All rights reserved

Verantwoordelijke uitgever: Swedish Orphan Biovitrum (Belgium) BV
Hermeslaan 11, 1932 Zaventem

NP-37282 - juli 2025