

A large, semi-transparent red circle at the top of the page contains a close-up image of several hands of different skin tones reaching towards the center. Below this circle is a large, semi-transparent blue circle containing the event title and dates. The background of the entire page is a scenic view of the Eiffel Tower in Paris, France, at sunset or sunrise, with the tower's reflection visible in the water of the Seine River. The sky is filled with soft, colorful clouds in shades of blue, orange, and yellow.

SYMPOSIUMVERSLAG **ISTH 2026**

11-15 JULI 2026
PARIJS, FRANKRIJK

Starting Strong, Staying Strong: **Evidence for Sustained Protection for a Life with Haemophilia A**

Tijdens een door Roche en Chugai georganiseerd symposium op het ISTH-congres 2026 bespraken 4 deskundigen hoe vroege en effectieve profylaxe kan bijdragen aan niet alleen minder bloedingen maar ook het behoud van gewrichtsgezondheid en een actief leven voor mensen met hemofilie A.

Het symposium maakt duidelijk dat het succes van de behandeling van hemofilie A niet langer uitsluitend wordt afgemeten aan het aantal bloedingen. Vroege en langdurige profylaxe kan bijdragen aan behoud van gewrichtsgezondheid, meer lichamelijke activiteit en minder zorgen over bloedingen. Daarmee verschuift de aandacht steeds meer naar het uiteindelijke doel: mensen met hemofilie A in staat stellen een zo actief en volwaardig mogelijk leven te leiden.



Vroege profylaxe legt de basis voor een leven met minder bloedingen

De behandeldoelen bij hemofilie A zijn de afgelopen jaren aanzienlijk veranderd, stelde dr. Angela Weyand (University of Michigan, Ann Arbor, Verenigde Staten) tijdens haar presentatie. Waar de focus vroeger lag op het voorkómen van levensbedreigende bloedingen, wordt tegenwoordig gestreefd naar een leven zonder bloedingen, met behoud van gewrichtsgezondheid en een optimale kwaliteit van leven. Volgens Weyand vormt een zo vroeg mogelijke start met profylaxe de basis voor levenslange bescherming.

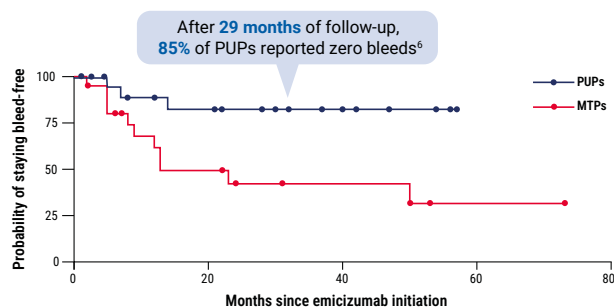
Juist de eerste levensmaanden vormen namelijk een kwetsbare periode. Bij zuigelingen met hemofilie A bedraagt de prevalentie van intracranieële bloedingen ongeveer 2-8%. Pasgeborenen met ernstige hemofilie A lopen daarbij het grootste risico: gedurende de eerste 28 levensdagen is de kans op een intracranieële bloeding ruim 11 keer hoger dan bij oudere zuigelingen.¹⁻³ Daarnaast kan onvoldoende bescherming tegen bloedingen al op jonge leeftijd leiden tot onomkeerbare gewrichtsschade. Om die reden adviseert zowel de World Federation of Hemophilia (WFH) als de National Bleeding Disorders Foundation (NBDF/MASAC) om zo vroeg mogelijk met profylaxe te starten.⁴

Evidence from real-world studies supports the use of emicizumab in infants⁶

Dual-centre study (UK and Israel)⁶

Overall, 19 PUPs (median [range] age: 8 months [1 week to 10 months]) and 22 MTPs (median [range] age: 5 months [10 days to 10 months]) treated with emicizumab were enrolled in the study⁶

All treated bleeds were **traumatic**⁶ Time to first bleed in PUPs and MTPs



MTPs, minimally treated patients; PUPs, previously untreated patients; UK, United Kingdom

Historisch gezien brengt vroege profylaxe met factor VIII verschillende praktische uitdagingen met zich mee. Door de korte halfwaardetijd zijn frequente intraveneuze toedieningen nodig, waarvoor bij jonge kinderen vaak een centraal veneuze katheter nodig is. Bovendien bestaat het risico op de ontwikkeling van factor VIII-remmers. Volgens Weyand kan subcutaan emicizumab veel van deze barrières wegnemen. Het middel kan wekelijks, tweewekelijks of vierwekelijks subcutaan worden toegediend. Ook is geen centraal veneuze toegang nodig. De MASAC-richtlijn adviseert daarom om emicizumab al kort na de geboorte als profylaxe te overwegen.⁴

De klinische onderbouwing hiervoor komt onder meer uit de fase 3b HAVEN 7-studie bij 55 zuigelingen met ernstige hemofilie A zonder factor VIII-remmers. De jongste deelnemer was slechts 9 dagen oud. Tijdens de tot nu toe beschikbare follow-up werden geen intracranieële bloedingen gerapporteerd en waren

alle behandelde bloedingen het gevolg van trauma. Bovendien werden geen nieuwe veiligheidssignalen gezien en hoefde geen enkele patiënt de behandeling vanwege bijwerkingen te onderbreken of te staken.⁵

Praktijkgegevens ondersteunen deze bevindingen. In een studie uit het Verenigd Koninkrijk en Israël had 85% van de previously untreated patients (PUP's) na een mediane follow-up van 29 maanden geen enkele bloeding doorgemaakt.⁶ In het PedNet-register, met gegevens van 80 jonge kinderen behandeld met emicizumab, bedroeg de modelmatige annualized bleeding rate (ABR) 0,6 en bleef 56% van de kinderen volledig vrij van behandelde bloedingen.⁷

Naast emicizumab besprak Weyand ook de resultaten van de fase 3 XTEND-Kids-studie met efanesoctocog alfa. Van de 74 behandelde kinderen bleef 64% gedurende 52 weken volledig bleedingsvrij; geen van de kinderen ontwikkelde factor VIII-remmers.⁸ Daarnaast zijn voor emicizumab langdurige gegevens beschikbaar uit HAVEN 2. In deze studie bedroeg de ABR voor behandelde bloedingen 0,3 en bleef 77% van de kinderen vrij van behandelde bloedingen gedurende de follow-up.^{9,10} Weyand verwees bovendien naar een tijdens ISTH 2026 gepresenteerde indirecte vergelijking tussen HAVEN 2 en XTEND-Kids, waarin emicizumab geassocieerd was met significant minder spontane en behandelde bloedingen dan efanesoctocog alfa, al benadrukte zij dat het om een indirecte vergelijking ging.¹¹

Tot slot wees Weyand op de groeiende hoeveelheid praktijkgegevens die de resultaten uit de HAVEN-studies ondersteunen. Ook een systematische review, het PedNet-register en de EMIL-studie bevestigen deze bevindingen.¹¹⁻¹³ Inmiddels is zelfs beschreven dat emicizumab veilig kon worden toegediend aan een prematuur geboren baby, al 26 uur na de geboorte.¹⁴





Gewrichtsgezondheid vraagt om bescherming vanaf het begin

Waar de eerste presentatie draaide om het voorkómen van bloedingen, richtte prof. Matteo Di Minno (Federico II University, Napels) zich op het behoud van gezonde gewrichten gedurende het hele leven. Volgens hem is gewrichtsgezondheid meer dan het uitblijven van bloedingen: ook subklinische bloedingen, ontsteking en bestaande gewrichtsschade bepalen uiteindelijk de mobiliteit, kwaliteit van leven en maatschappelijke participatie van mensen met hemofilie A.^{4,15-18}

Preventing acute and chronic joint pain can preserve¹⁹



Di Minno begon met gegevens uit de Joint Outcome Study (JOS) en de vervolgstudie JOS-C. Hieruit blijkt dat vroeg starten met profylaxe leidt tot betere gewrichtsuitkomsten op de lange termijn. Bij patiënten die vóór de leeftijd van 2,5 jaar begonnen, werd op 6-jarige leeftijd bij slechts 7% osteochondrale schade op MRI gezien, tegenover 50% bij een latere start. Op 18-jarige leeftijd was dit verschil opgelopen tot respectievelijk 35% en 77%. Deze bevindingen ondersteunen de huidige WFH-richtlijn om profylaxe al vóór de eerste gewrichtsbloeding te starten.^{19,20}

Volgens Di Minno heeft gewrichtsschade gevolgen die verder reiken dan het gewricht zelf. Gewrichtsbloedingen, subklinische bloedingen en chronische ontsteking kunnen leiden tot pijn, verminderde mobiliteit en beperkingen in school, werk, sport en andere dagelijkse activiteiten. Het behouden van gewrichtsgezondheid is daarom essentieel voor de kwaliteit van leven.^{4,15-18}

Vervolgens besprak Di Minno de lopende Japanse fase IV-studie AOZORA bij 30 kinderen jonger dan 12 jaar zonder factor VIII-remmers die werden behandeld met emicizumab. Tijdens een follow-up van bijna 3 jaar daalde de model-based annualized bleeding rate (ABR) voor behandelde bloedingen van 3,6 vóór de start van emicizumab naar 0,8 tijdens de behandeling. Daarnaast bleef de Hemophilia Joint Health Score (HJHS) stabiel of verbeterde deze gedurende de follow-up, zonder aanwijzingen voor een algemene verslechtering van de gewrichtsfunctie.²¹ MRI-gegevens uit AOZORA lieten verbetering zien van synoviale hypertrofie en hemosiderine-afzetting. Volgens Di Minno suggereert dit dat emicizumab niet alleen gewrichtsschade helpt voorkomen, maar ook bestaande afwijkingen van de weke delen kan verbeteren. Tijdens ISTH 2026 werd bovendien aangekondigd dat inmiddels 6-jarige follow-upgegevens uit AOZORA beschikbaar komen.^{21,22}

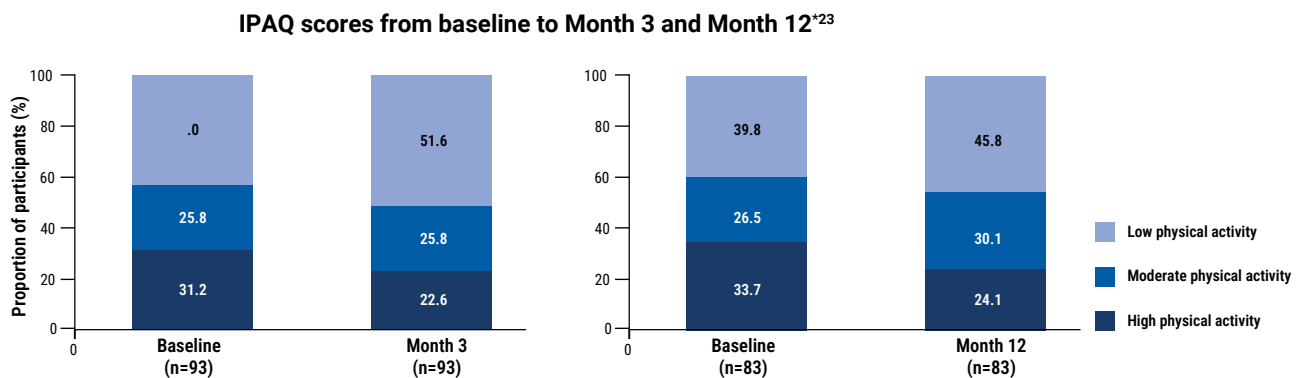
Ook bij adolescenten en volwassenen werden vergelijkbare resultaten gezien. In de lopende fase IV-studie BEYOND ABR verbeterde de gemiddelde HJHS na overstap van factor VIII-profylaxe naar emicizumab. Bij het merendeel van de patiënten bleef de gewrichtsscore stabiel of verbeterde deze, terwijl alle target joints na 1 jaar waren verdwenen bij de patiënten die deze bij aanvang hadden.^{23,24}

Tot slot liet Di Minno resultaten van de RESOLVE-studie zien, waarin met echografie (HEAD-US) veranderingen in synoviale hypertrofie werden onderzocht na overstap op emicizumab. Na minimaal 2 jaar behandeling bleef synoviale hypertrofie afwezig in het merendeel van de gewrichten zonder bestaande afwijkingen, terwijl bij meer dan de helft van de aangedane gewrichten verbetering werd gezien. Ook de HJHS- en HEAD-US-scores bleven bij de meeste patiënten stabiel of verbeterden. Volgens Di Minno laten deze resultaten zien dat emicizumab niet alleen bloedingen vermindert, maar ook kan bijdragen aan behoud of verbetering van de gewrichtsstructuur.²⁵

Bescherming tegen bloedingen als basis voor een actief leven

Volgens dr. Sébastien Lobet (Cliniques Universitaires Saint-Luc, Brussel) en prof. Christoph Königs (Universitätsklinikum Frankfurt, Duitsland) is effectieve profylaxe geen einddoel, maar een middel om mensen met hemofilie A een actief leven te laten leiden. Regelmatige lichaamsbeweging draagt bij aan een betere spierkracht, gewrichtsgezondheid, botsterkte en kwaliteit van leven en een beter sociaal en psychologisch welzijn. Tegelijkertijd blijkt uit onderzoek dat het bloedingsrisico niet automatisch samenhangt met de mate van lichamelijke activiteit. Het is daarom niet de vraag of mensen met hemofilie zouden moeten bewegen, maar hoe fysieke activiteit veilig kan worden afgestemd op het individuele bloedingsrisico.²⁶⁻²⁹

The BEYOND ABR interim analysis indicated that participants increased their overall physical activity after initiating emicizumab²³



IPAQ scores showed an overall shift towards higher physical activity levels during emicizumab treatment²³

*Scores are reported in all participants with data at both timepoints (i.e. baseline and Month 3, or baseline and Month 12). ABR, annualised bleeding rate; IPAQ, International Physical Activity Questionnaire.

Volgens de sprekers bestaat er daarom geen universeel advies voor sportdeelname. De benodigde hemostatische bescherming hangt af van het individu én van de gekozen activiteit. Niet alleen het type sport, maar ook het competitieniveau, de trainingsintensiteit, de ernst van de ziekte, de gewrichtsstatus, de aanwezigheid van remmers, de therapietrouw en de leeftijd bepalen welk bloedingsrisico iemand loopt. Daarom pleiten ze voor een holistische benadering, waarin gezamenlijke besluitvorming, goede voorlichting, fysieke voorbereiding, motivatie en een ondersteunende omgeving centraal staan.^{27,30-33}

Vervolgens besprak Lobet gegevens waaruit blijkt dat effectieve profylaxe patiënten ook daadwerkelijk stimuleert om lichamelijk actiever te worden. In de lopende fase IV-studie BEYOND ABR verschoof de International Physical Activity Questionnaire (IPAQ) gedurende 12 maanden richting hogere activiteitsniveaus na de start van emicizumab. Deze resultaten suggereren dat betere bescherming tegen bloedingen patiënten meer vertrouwen geeft om lichamelijk actief te zijn.²³

Vergelijkbare resultaten werden gezien in de Japanse observationele TSUBASA-studie. Tijdens 97 weken follow-up werden 968 sport- en beweegactiviteiten geregistreerd bij 73 deelnemers, waaronder 58 activiteiten met een hoog bloedingsrisico. Slechts 2 activiteiten (0,2%; basketbal en vissen) gingen gepaard met een bloeding. Ook in een subanalyse bij 19 kinderen bleef het aantal bloedingen beperkt:

bij 172 geregisteerde activiteiten, waaronder meer dan 25 verschillende sporten, werd slechts 1 traumatische bloeding gemeld. Dit laat volgens het tweetal zien dat mensen met hemofilie A die worden behandeld met emicizumab, een breed scala aan lichamelijke activiteiten kunnen uitvoeren zonder een duidelijke toename van het bloedingsrisico.³⁴⁻³⁶

Ook real-world gegevens ondersteunen deze bevindingen. Zowel in een cohort van het University of Colorado Hemophilia and Thrombosis Center als in de HEMO-ACT-studie rapporteerden patiënten vaker een actieve leefstijl na de start van emicizumab. Daarnaast gaf 79% van de deelnemers aan zich veiliger te voelen tijdens lichamelijke activiteit en ervoer 73% een lager bloedingsrisico. Tijdens ISTH 2026 werden bovendien nieuwe resultaten uit de HEMO-ACT- en STEP-studies gepresenteerd.^{35,37-41}

Tot slot benadrukte Lobet dat effectieve profylaxe alleen niet voldoende is om een actieve leefstijl te bereiken. Angst voor bloedingen of gewrichtsschade, onzekerheid over de mate van bescherming, lichamelijke beperkingen en restricties vanuit ouders, scholen of zorgverleners kunnen deelname aan sport en beweging blijven belemmeren. Volgens hem vraagt het stimuleren van een actieve leefstijl daarom niet alleen om effectieve behandeling, maar ook om begeleiding, educatie en een individuele benadering waarin patiënten voldoende vertrouwen krijgen om veilig te bewegen.³³

REFERENTIES:

1. Kulkarni R, et al. *Haemophilia*. 2017;23:207-14.
2. Andersson NG, et al. *Br J Haematol*. 2017;179:298-307.
3. Zwagemaker AF, et al. *Blood*. 2021;138:2853-73.
4. Srivastava A, et al. *Haemophilia*. 2020;26(Suppl 6):1-158.
5. Pipe S, et al. *Blood*. 2024;143:1355-64.
6. Levy-Mendelovich S, et al. *Pediatr Blood Cancer*. 2026;73:e32118.
7. de Kovel M, et al. *Blood*. 2025;146(Suppl 1):305.
8. Malec L, et al. *N Engl J Med*. 2024;391:235-46.
9. Young G, et al. *Blood*. 2019;134:2127-38.
10. Callaghan MU, et al. *Blood*. 2021;137:2231-42.
11. Bolou K, et al. *Haemophilia*. 2026;32:371-80.
12. Kenet G, et al. *Haemophilia*. 2026;32(Suppl. 2):49.
13. Albisetti M, et al. *SOHC 2025*;7063. (EMIL)
14. Hassan E, et al. *Res Pract Thromb Haemost*. 2026;10:103401.
15. Hassab HM, et al. *Egypt Rheumatology and Rehabilitation*. 2022;49:22.
16. Warren BB, et al. *Blood Advances*. 2020;4:2451-9.
17. Gualtierotti R, et al. *Journal of Thrombosis and Haemostasis*. 2021;19:2112-21.
18. Stromer W, et al. *Wiener Klinische Wochenschrift*. 2021;133:1042-56.
19. Skinner MW, et al. *Haemophilia*. 2020;26:17-24.
20. Kraft J, et al. *Journal of Thrombosis and Haemostasis*. 2012;10:2494-2502.
21. Shima M, et al. *Research and Practice in Thrombosis and Haemostasis*. 2025;9:103228.
22. Shima M, et al. *ISTH 2026*. PB3309.
23. Kruse-Jarres R, et al. *ASH 2025*. P1285.
24. Chowdary P, et al. *Haemophilia*. 2023;29:753-60.
25. Di Minno M, et al. *EAHAD 2026*. P0046.
26. Negrier C, et al. *Haemophilia*. 2013;19:487-98.
27. Biasoli C, et al. *Blood Transfusion*. 2022;20:66-77.
28. Kennedy M, et al. *Haemophilia*. 2021;27:544-62.
29. Bukkems LH, et al. *Thrombosis and Haemostasis*. 2023;123:317-25.
30. Lorio A, et al. *Haemophilia*. 2017;23:e170-e179.
31. Anderson A, Forsyth A. *Playing It Safe*. National Hemophilia Foundation; 2017.
32. Wang M, et al. *Blood Coagulation & Fibrinolysis*. 2016;27:737-44.
33. Lobet S. Opinion of the speaker.
34. Nogami K, et al. *International Journal of Hematology*. 2024;119:14-23.
35. Amano K, et al. *Haemophilia*. 2025;31:703-12.
36. Nogami K, et al. *TH Open*. 2026;10:a27818278.
37. Warren BB, et al. *Research and Practice in Thrombosis and Haemostasis*. 2021;5:e12571.
38. De La Corte H, et al. *Haemophilia*. 2026;31(Suppl. 1):71.
39. De La Corte H, et al. *ISTH 2026*. PB3346.
40. Chitlur M, et al. *ISTH 2026*. PB2105.
41. Fujii T, et al. *Research and Practice in Thrombosis and Haemostasis*. 2025;9:e102971.

COLOFON

Hoewel de inhoud van deze uitgave zorgvuldig en naar beste weten waarheidsgetrouw is samengesteld, aanvaarden auteur(s), redacteur(en), noch uitgever enige wettelijke aansprakelijkheid voor onjuistheden of omissies. De bijdragen in deze publicatie en alle advertenties vallen onder de verantwoordelijkheid van de samensteller(s) respectievelijk de adverteerder(s). Het vermelden van een product, dienst of therapie in een bijdrage mag niet worden opgevat als een aanbeveling. Gelieve de meest actuele productinformatie van de fabrikant te raadplegen alvorens enig product vermeld in deze publicatie voor te schrijven.

Tekst: drs. Mirjam Bedaf, wetenschapsjournalist **Vormgeving:** deindruk.nl **Fotografie:** Shutterstock

Deze uitgave is tot stand gekomen op initiatief van Roche Nederland bv.

© 2026 Springer Health+, an International Health division of Springer Nature

