

# Ontwikkelingen in PNH

*Medicijnen en meer*

# Problemen bij PNH

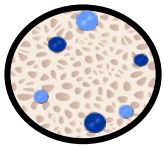
---



**Bloedafbraak**



**Trombose (stolsels)**



**Tekort aan bloedcellen**



## **Bloedafbraak**

vermoeidheid, hoofdpijn, hartkloppingen,  
buikpijn, spierpijn, donkere urine,  
slikklachten, erectieproblemen

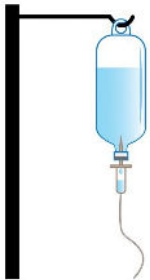
# Behandeling van PNH

---



## **Bloedafbraak**

vermoeidheid, hoofdpijn, hartkloppingen,  
buikpijn, spierpijn, donkere urine,  
slikklachten, erectieproblemen



Extra ijzer en foliumzuur  
Voldoende drinken!  
Bloedtransfusies  
Eculizumab/ravulizumab

# Behandeling van PNH

---



## **Trombose** (stolsels)

Dik/pijnlijk been, buikpijn, krachtsverlies,  
kortademigheid

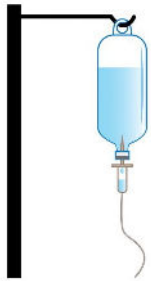
# Behandeling van PNH

---



## **Trombose** (stolsels)

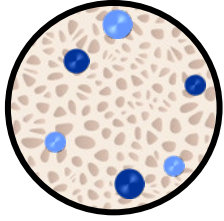
Dik/pijnlijk been, buikpijn, krachtsverlies,  
kortademigheid



Antistollende medicijnen  
(bv acenocoumarol, fragmin)  
Eculizumab/ravulizumab

# PNH: behandeling

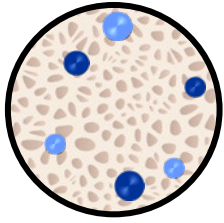
---



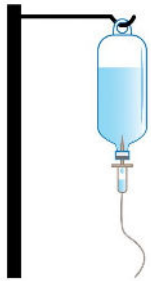
**Tekort aan bloedcellen**  
vermoeidheid, infecties, bloedingen

# PNH: behandeling

---



**Tekort aan bloedcellen**  
vermoeidheid, infecties, bloedingen



“epo”  
behandeling zoals bij aplastische anemie  
(bv ATG)  
Stamceltransplantatie

# Redenen om eculizumab/ravulizumab te starten

- als er zoveel bloedaafbraak is dat er bloedtransfusies nodig zijn
- bij een trombose
- problemen met de nieren of longen door de PNH
- zwangerschap (eculizumab)
- ernstige klachten door bloedaafbraak waardoor de kwaliteit van leven sterk verminderd is.

# bloedafbraak bij PNH: complement

complement

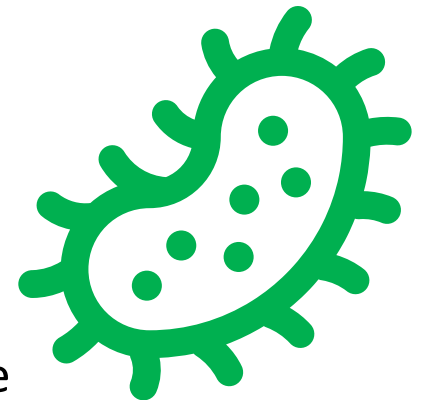


# bloedafbraak bij PNH: complement

complement

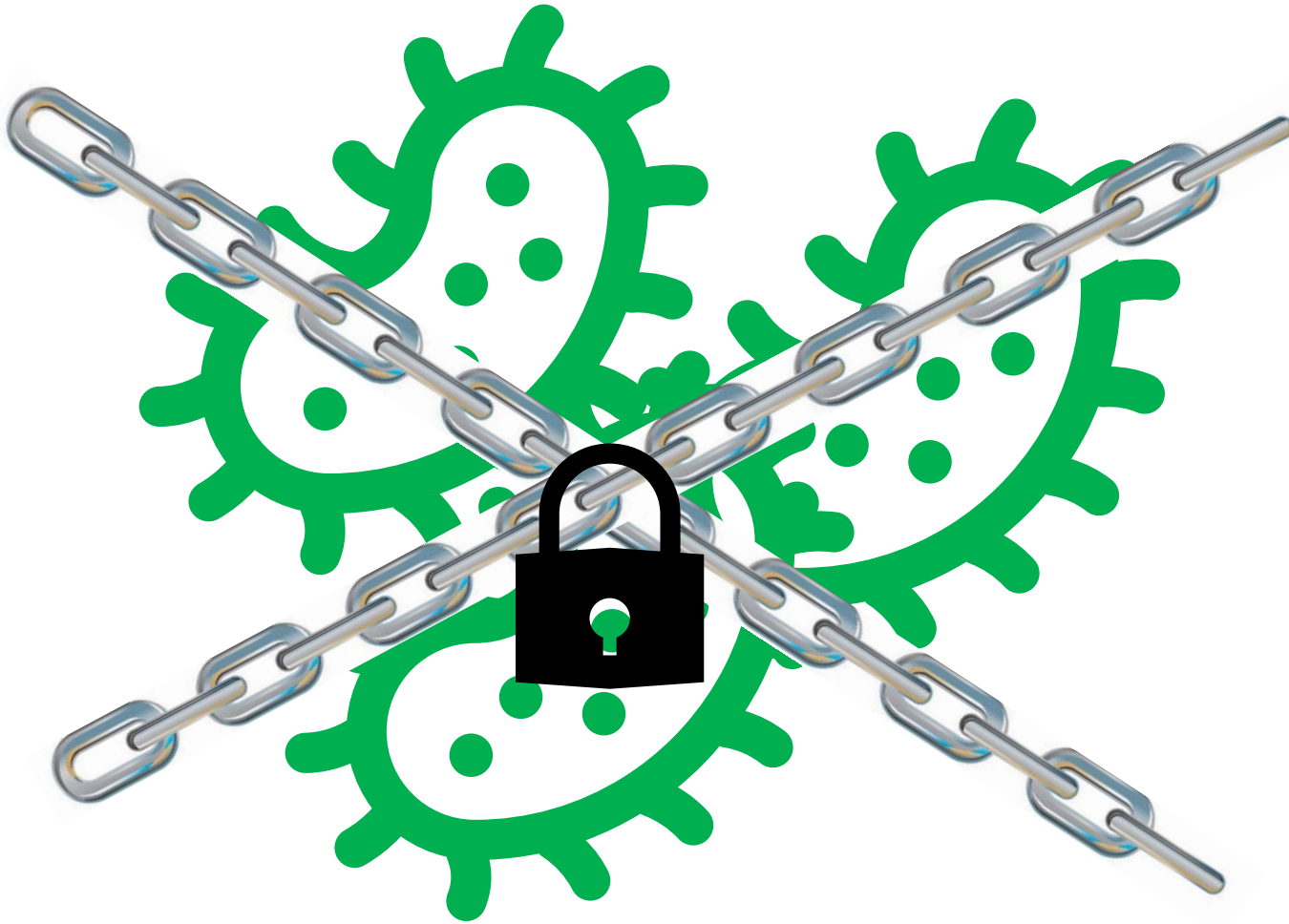


bacterie



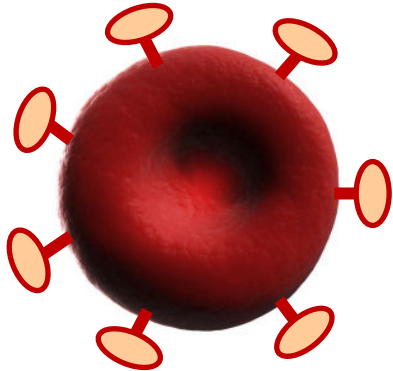
# bloedafbraak bij PNH: complement

---



# Hoe ontstaat PNH?

---



De rode bloedcel  
heeft een  
beschermlaag  
tegen het  
complement



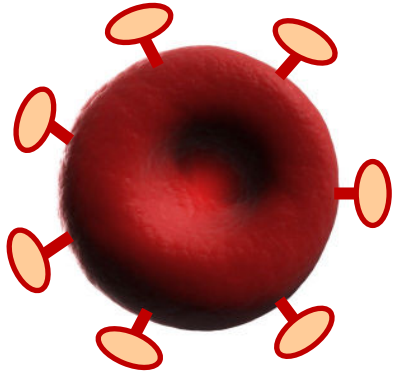
Bij PNH rode  
bloedcellen is deze  
beschermlaag er niet



Deze cellen worden  
aangevallen door het  
complement

# Hoe ontstaat PNH?

---



De rode bloedcel  
heeft een  
beschermlaag  
tegen het  
complement



Bij PNH rode  
bloedcellen is deze  
beschermlaag er niet

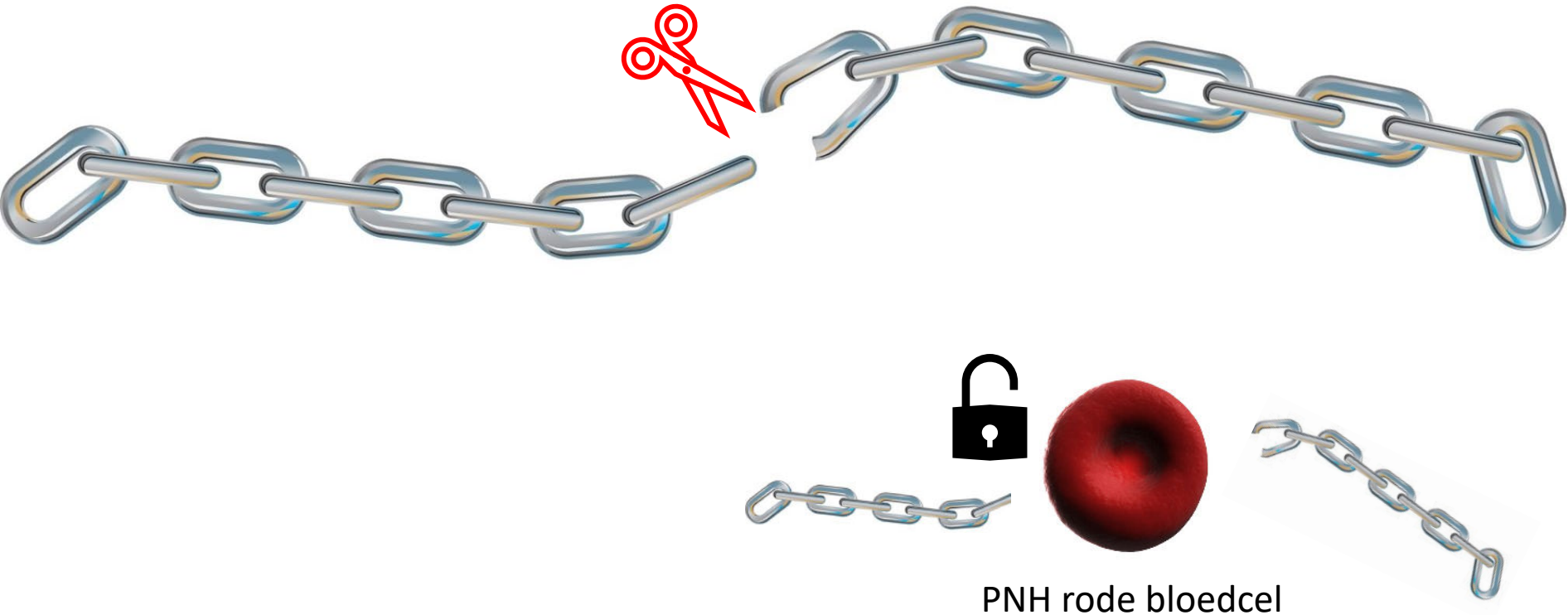


Deze cellen worden  
aangevallen door het  
complement

# Complementremmers

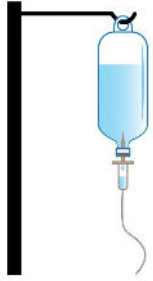
---

eculizumab/ravulizumab



# PNH: behandeling met eculizumab

---



## **Infuus**

Eerste 5 weken: 1 x per week. Daarna: 1 x per 2 weken

Na 3 maanden: thuistoediening



## **Voordelen**

Geen/minder transfusies, verbetering klachten,  
minder risico op trombose, veiliger zwangerschap



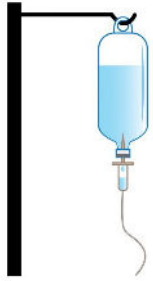
## **Bijwerkingen**

Hoofdpijn (vooral in het begin)

Infecties (vaccinaties tegen meningokokken)

# PNH: behandeling met ravulizumab

---



## **Infuus**

Eerste dosis en 2 weken nadien tweede dosis, daarna 1 x per 8 weken

Na 18 weken (na 4<sup>e</sup> dosis): thuistoediening



## **Voordelen**

Geen/minder transfusies, verbetering klachten,  
minder risico op trombose

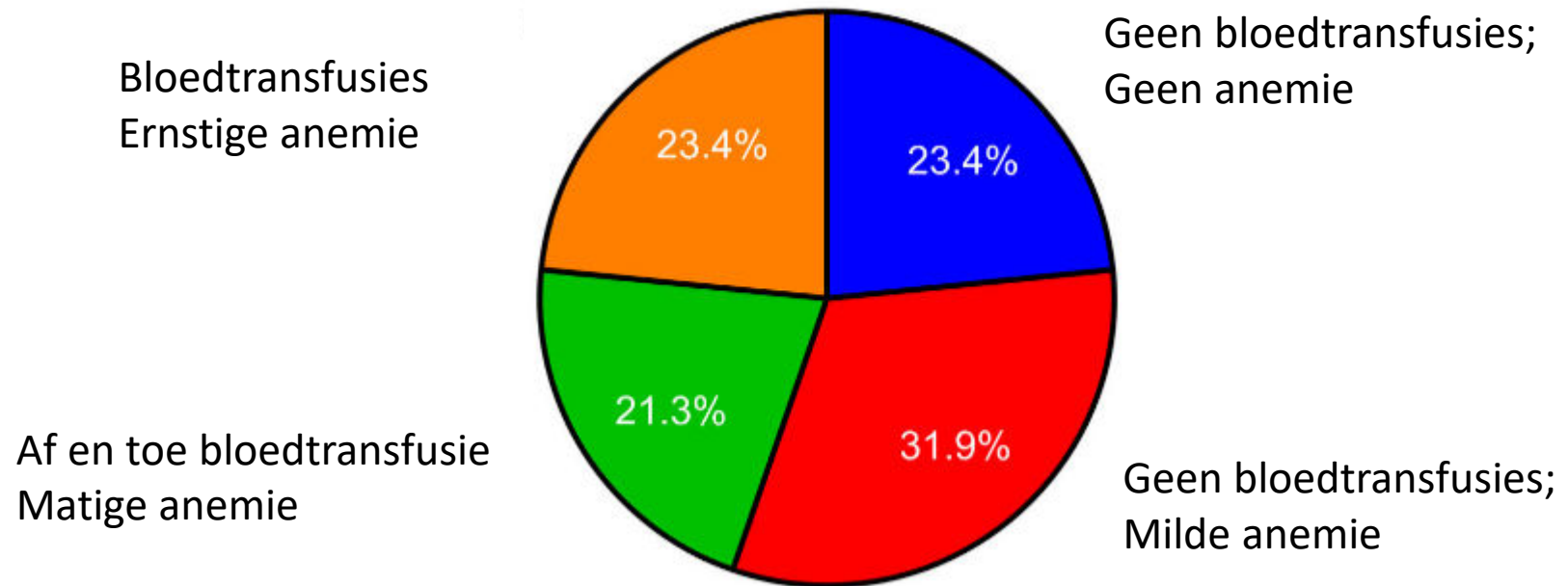


## **Bijwerkingen**

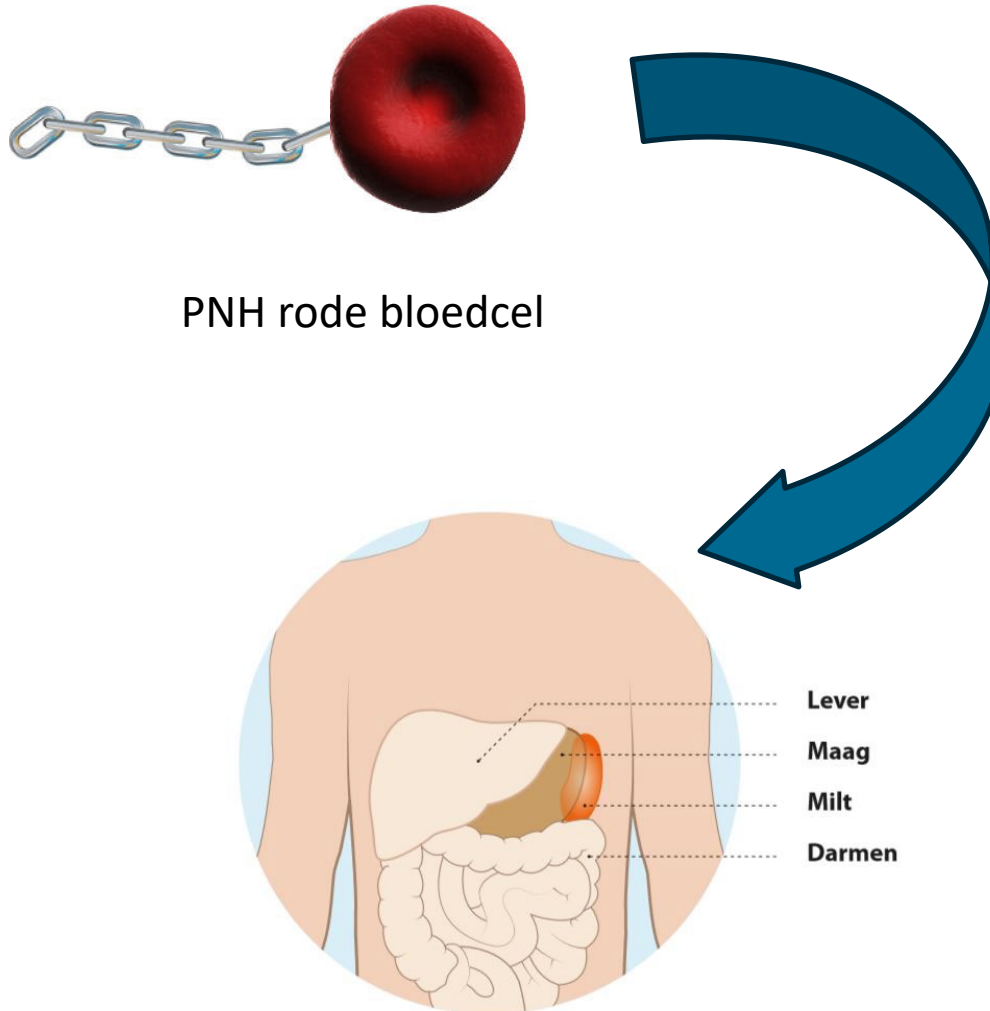
Hoofdpijn (vooral in het begin)  
Spierkrampen (vooral in het begin)  
Infecties (vaccinaties tegen meningokokken)  
NB: niet bij zwangerschap

# Deel van mensen houdt bloedarmoede

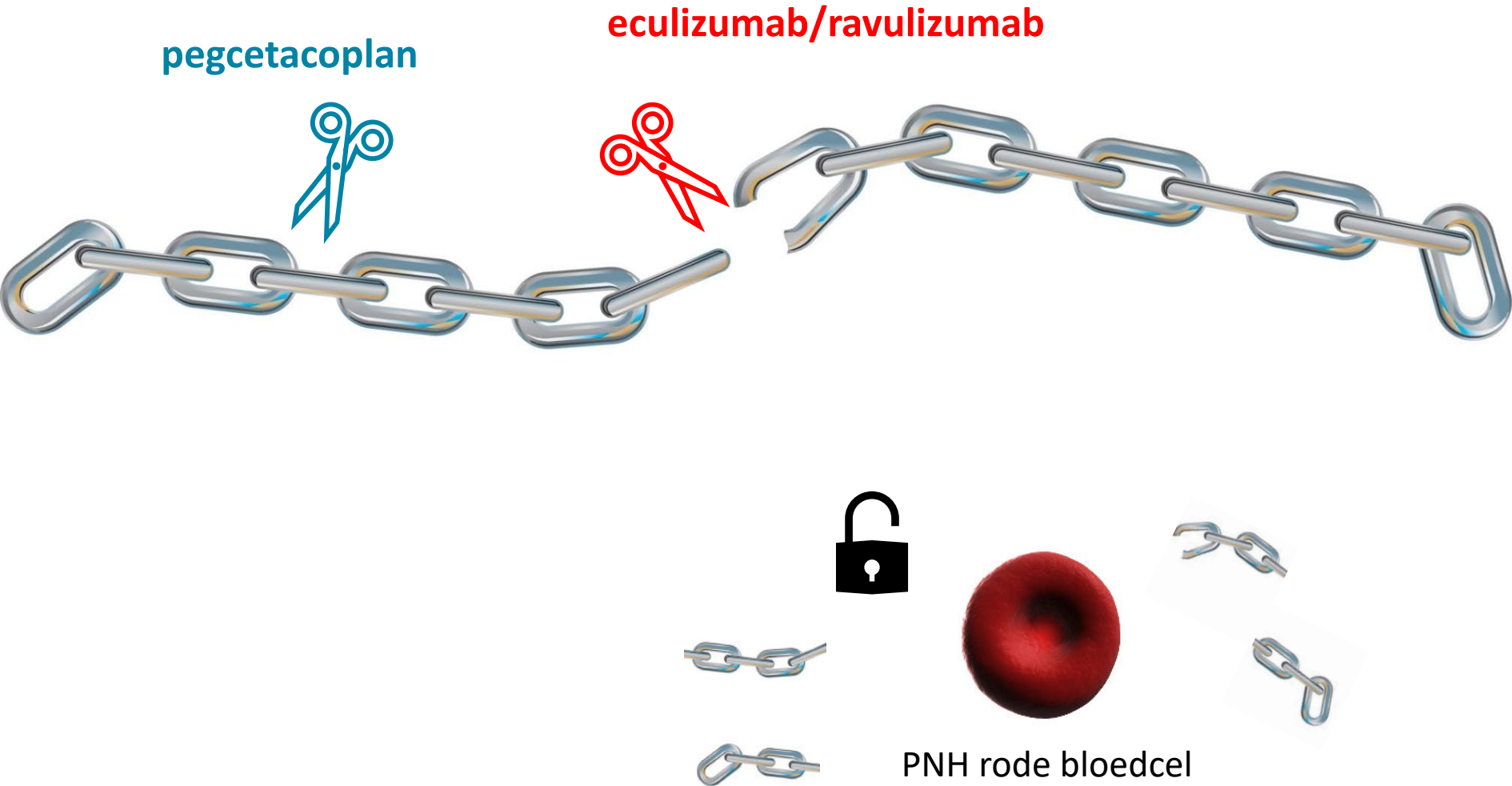
---



# Deel van mensen houdt bloedarmoede



# bloedafbraak bij PNH: complement



# PNH: behandeling met pegcetacoplan

---



## Onderhuidse injecties

2 x per week mbv pompsysteem

Zelftoediening (eerste keren in ziekenhuis, thuisverpleegkundige)



## Voordelen (ten opzichte van eculizumab/ravulizumab)

Verbetering bloedarmoede



## Bijwerkingen

Irritatie/ontsteking huid

Infecties (vaccinaties tegen meningokokken/pneumokokken/haemophilus)

Kans op forse bloedafbraak bv tijdens infectie

NB: niet bij zwangerschap

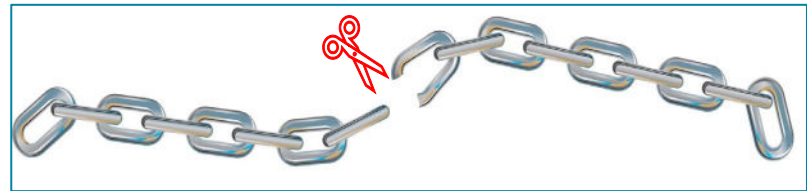
# Toekomst: medicijnen op maat?!

## Risotto studie

### Ravulizumab



Persoonlijke dosis



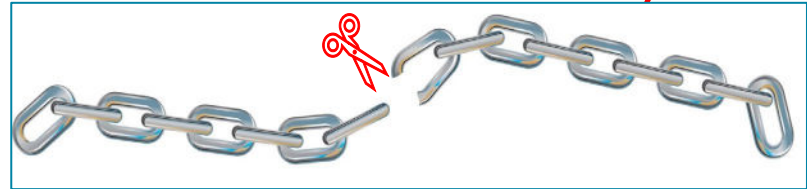
Van elke 8 naar elke 10 of 12 weken

# Toekomst: medicijnen op maat?!

Crovalimab (op dit moment niet beschikbaar)



1 x per 4 weken



# Toekomst: medicijnen op maat?!

Iptacopan (op dit moment niet beschikbaar)



2 x per dag



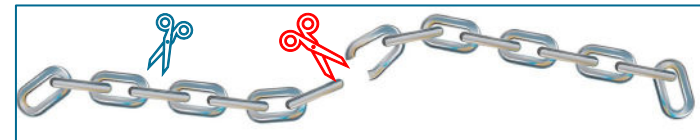
ravulizumab + danicopan (op dit moment niet beschikbaar)



3 x per dag



1 x per 8 weken





**What are the most important quality of life domains for patients with aplastic anemia and paroxysmal nocturnal hemoglobinuria?**

