

De Samen Beslissen bij Hemofilie-tool van de 'World Federation of Hemophilia' (WFH): een keuzehulp voor gedeelde besluitvorming in de hemofiliezorg

The World Federation of Hemophilia (WFH) Shared Decision Making tool: a decision aid for shared decision-making in hemophilia care

A. Nootboom¹, drs. S.L.A. Meijer², A.S. Plat³, M. Beijleveld-van der Zande⁴, dr. L.F.D. van Vulpen⁵, dr. M.H.E. Driessens⁶

SAMENVATTING

De afgelopen jaren zijn er diverse nieuwe klassen geneesmiddelen voor de stollingsstoornis hemofilie beschikbaar gekomen. Nieuwe geneesmiddelen bieden meer behandelkeuzes, die kunnen worden gewogen op patiëntvoorkeuren, een belangrijk onderwerp bij deze aangeboren ziekte met levenslange behandeling. De 'World Federation of Hemophilia' (WFH) heeft samen met patiënten met hemofilie, patiëntenorganisaties en zorgverleners een educatieve tool ontwikkeld voor patiënten en hun naasten. Deze tool is nu ook beschikbaar in het Nederlands. De doelstellingen zijn 1) patiënten kennis bij te brengen over de beschikbare (profylactische) behandelingen en 2) gesprekken tussen patiënten en hun behandelteam te vergemakkelijken en gedeelde besluitvor-

ming te ondersteunen. De tool is te gebruiken bij het beschikbaar komen van een nieuwe behandeling of als een verandering zich voordoet, bijvoorbeeld de wens tot actievere leefstijl of moeilijkheden bij zelf intraveneus prikken. Deze interactieve tool helpt patiënten bij het maken van behandelkeuzes door op waarden gebaseerde vragen te stellen en behandelopties te tonen. Patiënten bespreken de antwoorden en de samenvatting met hun behandelteam voor geïnformeerde gedeelde besluitvorming.

(NED TIJDSCHR HEMATOL 2025;22:247-52)

SUMMARY

In recent years, several new classes of drugs for the bleeding disorder hemophilia have become available. New drugs offer more treatment choices, which can

¹communicatieadviseur, NVHP voor iedereen met een erfelijke stollingsstoornis, ²bestuurslid, NVHP voor iedereen met een erfelijke stollingsstoornis, ³voorzitter, NVHP voor iedereen met een erfelijke stollingsstoornis, ⁴verpleegkundig specialist, Amsterdam UMC, ⁵internist-hematoloog, Centrum voor Benigne Hematologie, Trombose en Hemostase, Van Creveldkliniek, UMC Utrecht, Universiteit Utrecht, ⁶beleidsmedewerker, NVHP voor iedereen met een erfelijke stollingsstoornis.

Correspondentie graag richten aan mw. dr. M.H.E. Driessens, beleidsmedewerker, NVHP voor iedereen met een erfelijke stollingsstoornis, Beurtschipper 9b, 3861 SB Nijkerk, tel.: 033 247 10 49, e-mailadres: m.driessens@nvhp.nl

Belangenconflict: geen gemeld. Financiële ondersteuning: L. van Vulpen meldt financiële ondersteuning door 'research grant' van NovoNordisk en sprekersvergoeding van Roche en CSL Behring; alle betaald aan het UMC Utrecht; A. Plat meldt sprekersvergoeding van Novo Nordisk betaald aan de NVHP voor iedereen met een erfelijke stollingsstoornis; M. Beijleveld meldt bijdrage vergoeding van Roche en NVHV voor congresbezoek. De WFH-SDM-tool wordt ondersteund door financiering van BioMarin Pharmaceutical Inc., CSL Behring, Novo Nordisk, Pfizer en Roche. De werkzaamheden van de NVHP aan de Nederlandse versie werden mede mogelijk gemaakt door de Hemophilia Youth Support-beurs van Pfizer.

Trefwoorden: behandelkeuzes, bloedingsziekten, gedeelde besluitvorming, hemofilie

Keywords: bleeding disorders, hemophilia, shared decision-making, treatment choices

Dankwoord: de auteurs bedanken Julia Chadwick en Donna Coffin (WFH) voor hulp bij het vertalen van de tool.

ONTVANGEN 15 APRIL 2025, GEACCEPTEERD 12 JUNI 2025.

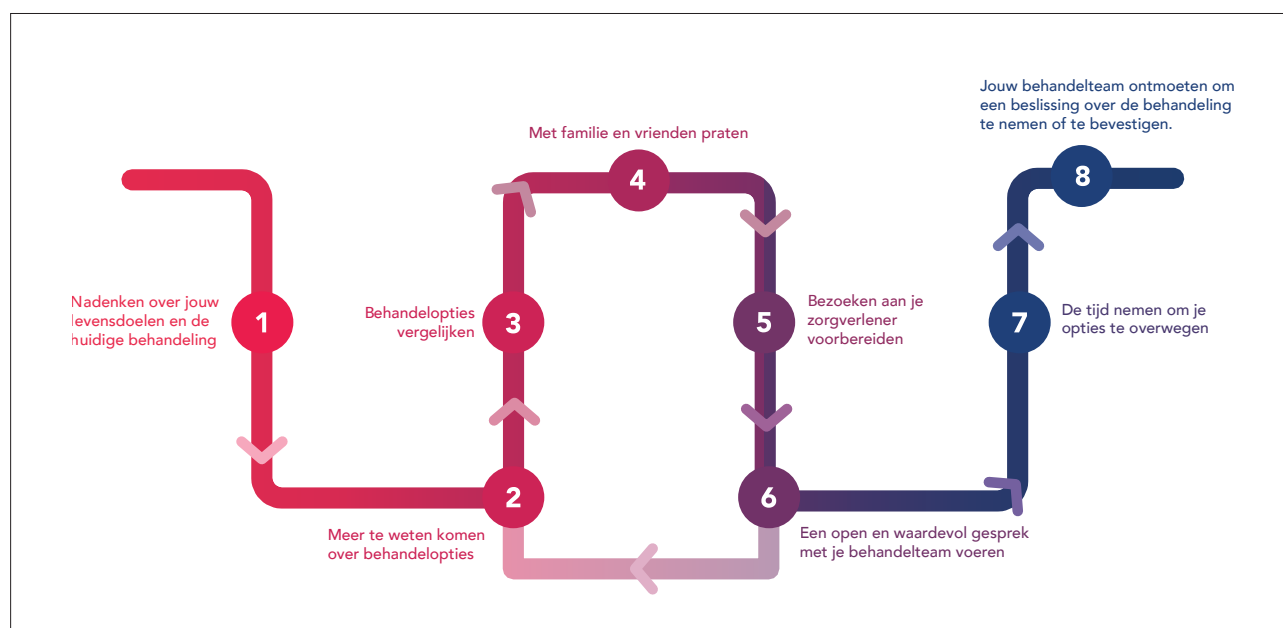
be weighted by patient preferences, a key topic in this congenital disease requiring lifelong treatment. The World Federation of Hemophilia (WFH), together with patients with hemophilia (PWH), patient organizations, and healthcare providers, has developed an educational tool for patients and their caregivers. This tool is now available in Dutch. The objectives are 1) to provide patients with knowledge about the available (prophylactic) treatments and 2) to facilitate conversations between patients and their healthcare

team and to support shared decision-making. The tool can be used when a new treatment becomes available or if a change occurs, for example the desire for a more active lifestyle or difficulties with intravenous injections. This interactive tool helps patients navigate the complexity of the current treatment choices by asking value-based questions and showing treatment options. Patients discuss the answers and the summary with their healthcare team leading to informed shared decision-making.

HET VERANDERENDE BEHANDEL- LANDSCHAP VOOR HEMOFILIE

Profylactische behandeling van hemofilie bestaat van oudsher uit intraveneuze suppletie met stollingsfactoren. In 2016 kwamen producten met verlengde halfwaardetijd op de markt, waardoor de toedieningsfrequentie vermindert. In de afgelopen jaren kwamen er zogenoemde 'non-factor'-middelen beschikbaar. Als eerste was dit in 2018 voor hemofilie A de introductie van emicizumab, een bispecifiek antilichaam dat de functie van factor VIII simuleert. Het andere werkingsmechanisme, de subcutane toediening en lange halfwaardetijd heeft voor substantiële veranderingen in behandeling geleid. Meer recent zijn ook ultralange halfwaardetijd factor VIII, gentherapie en hemostatisch evenwicht aanpassende therapieën ('hemostatic

rebalancing agents') goedgekeurd voor de behandeling van hemofilie.¹ Al zijn niet alle behandelopties ook al beschikbaar in Nederland, wel maakt het groeiende aantal behandelopties het mogelijk om behandelplannen af te stemmen op de persoonlijke voorkeuren en waarden van de patiënt. Nederlandse patiënten gaven aan dat zij behoefte hadden aan betere informatie over behandelingen.² Zeker bij het besluiten over een ingrijpende eenmalige behandeling, zoals bijvoorbeeld gentherapie, is het maken van een weloverwogen keuze heel belangrijk. De keuzehulp die hier wordt besproken, helpt bij de besluitvorming bij het beschikbaar komen van een nieuwe behandeling of als zich een verandering voordoet in het leven van een patiënt, zoals de wens tot een actievere leefstijl of achteruitgang van visus die hindert bij het intraveneus prikken.



FIGUUR 1. Een stapsgewijze gids door de patiëntreis voor gedeelde besluitvorming.

Bron: WFH Shared Decision Making Tool (Nederlands)© 2023 World Federation of Hemophilia; <https://sdm.wfh.org/nl/welkom>



FIGUUR 2. Uitspraken om over na te denken gebaseerd op de CoreHEM-vragenlijst.

Bron: WFH Shared Decision Making Tool (Nederlands)© 2023 World Federation of Hemophilia; <https://sdm.wfh.org/nl/welkom>

DE NEDERLANDSE VERSIE VAN DE WFH-SDM-TOOL

De 'WFH shared decision-making tool' werd op 1 augustus 2023 in gebruik genomen en was beschikbaar in het Engels, Frans en Spaans. De WFH heeft een uitgebreide beschrijving over de ontwikkeling van de tool gepubliceerd.³ In 2024 vertaalde de WFH, op verzoek van de NVHP voor iedereen met een erfelijke stollingsstoornis, de 'Samen Beslissen bij Hemofilie' (SBH)-tool voor gedeelde besluitvorming, naar het Nederlands. De NVHP beoordeelde de vertalingen en zorgde - zo veel mogelijk - voor woordgebruik op B1-niveau, om de soms complexe materie begrijpelijk te maken voor patiënten. Twee verpleegkundig specialisten hebben feedback gegeven op terminologie en de gids voor het behandelteam beoordeeld. De tool is bedoeld voor volwassenen en beschikbaar voor smartphone, tablet of computer. Voor toegang tot de Nederlandstalige WFH-SBH-tool voor gedeelde besluitvorming, zie de website <https://sdm.wfh.org/nl/welkom>

BESCHRIJVING VAN DE SAMEN BESLISSEN BIJ HEMOFILIE-TOOL VOOR GEDEELDE BESLUITVORMING

De SBH-tool is onderverdeeld in vier onderdelen: Welkom en Inleiding, Nadenken, Informatie en Samenvatting.

WELKOM EN INLEIDING

In deze sectie wordt in een korte overzichtsvideo het concept van geïnformeerde gedeelde besluitvorming uitgelegd: het waarom, de doelstellingen en hoe dit kan worden ingezet in de zorg. Deze uitleg gebeurt aan de hand van de patiëntreis voor gedeelde besluitvorming (zie *Figuur 1*, pagina 248).

NADENKEN

In de Nadenken-sectie worden patiënten aangezet tot nadenken over hun doelen, wensen, waarden en voorkeuren met betrekking tot hun hemofilie en huidige behandeling. Ze geven antwoorden op vier vragen.

- Hoe zou je de invloed van hemofilie op het bereiken van jouw doelen beschrijven? Bijvoorbeeld doelen op het gebied van werk, opleiding, familie, hobby's enzovoort.
- Wat zijn jouw behandelvoorkeuren? Bijvoorbeeld duur en wijze van toediening, aantal injecties, gebruiksgemak, betere werkzaamheid enzovoort.
- Waarom denk je na over een verandering in je behandeling?
- Is er nog iets wat jouw behandelteam moet weten over hoe je met hemofilie omgaat?

Daarna wordt aan de hand van acht uitspraken gevraagd na te denken over het leven met hemofilie (zie *Figuur 2*). Deze uitspraken zijn overgenomen uit een langere gevalideerde vragenlijst, de 'CoreHEM Mental Health Outlook questionnaire'.⁴

Antwoorden op deze vragen en uitspraken worden opgenomen in de samenvatting die wordt gegenereerd aan het einde van de tool.

INFORMATIE

In de SBH-tool wordt belangrijke informatie over de vier behandelklassen gepresenteerd:

- Stollingsfactoren, onderverdeeld in de standaard halfwaardetijd (bijvoorbeeld NovoEight, Advate, Benefix), verlengde halfwaardetijd (bijvoorbeeld Elocta, Jivi, Alprolix) en voor hemofilie A ook ultralange halfwaardetijd (Altuvect).
- Bispecifieke antilichamen (emicizumab) (voor hemofilie A).
- Hemostatisch evenwicht aanpassende therapieën (Nederlandse term voor 'hemostatic rebalancing agents') (conicizumab, marstacimab).
- Gentherapie (valoctogene roxaparvovec, etranacogene dezeparvovec, fidanacogene elaparvovec).

Deze informatie behandelt het werkingsmechanisme, de populatie waarvoor het middel is goedgekeurd, toediening, monitoring en opvolgschema, werkzaamheid, veiligheidsrisico's en invloed op kwaliteit van leven. De informatie wordt op drie manieren gepresenteerd:

1. Een korte overzichtsvideo van elke behandelklasse.
2. Informatiebladen per klasse met gedetailleerde antwoorden op veelgestelde vragen.
3. Een tabel om de behandelopties te vergelijken op verschillende kenmerken (zie *Tabel 1*).

Als laatste worden de behandelingen gelegd langs de meetlat van een 'hemophilia free mind', ontwikkeld om de mentale belasting van patiënten wat betreft ziektebelasting en behandelbelasting inzichtelijk te maken. Dit concept laat zien dat de behandeling van hemofilie met de huidige behandel-

TABEL 1. Kenmerken waarop behandelopties worden vergeleken.

Domein	Kenmerk
Geschiktheid	Goedkeuringsstatus Goedgekeurde populatie
Management	Wijze van toediening Frequentie van toediening Jaarlijks opvolgschema
Werkzaamheid	Jaarlijks aantal bloedingen Invloed op factorniveau
Veiligheids-overwegingen	Jaar van goedkeuring Bijwerkingen
Potentiële veiligheidsrisico's	Overgevoelighedsreacties Remmers Trombo-embolische voorvallen Verhoogde leverenzymen
Kwaliteit van leven	Psychosociale belasting

opties verschuift van het doel 'bloedingsvrij' naar 'hemofilievrij' waarin ook behandelbelasting en andere hemofilie-gerelateerde zorgen en bezwaren worden meegewogen in de behandelkeuze (zie *Figuur 3* pagina 251).⁵ De meetlat geeft patiënten inzicht in de impact van de ziekte én behandelbelasting op de kwaliteit van leven. Dit gaat over onderwerpen als risico op bloedingen door fysieke activiteit, sport, op reis gaan, werk/studie, chronische pijn aan de gewrichten, sociaal en fysiek functioneren. Deze onderwerpen worden gepresenteerd door symbolen en de weging wordt weergegeven in de stoplichtkleuren groen, geel en rood (zie *Figuur 3*).

SAMENVATTING

Aan het einde van de tool kan de gebruiker de behandelingen kiezen waar hij of zij het meest in geïnteresseerd is. Bovendien wordt een voorzet gedaan van vragen die de gebruiker kan stellen aan het behandelteam. Er wordt een samenvatting gegenereerd in PDF-formaat die een overzicht bevat van behandelvoorkeuren, impact van hemofilie, de geselecteerde behandelopties en vragen die de gebruiker wil stellen aan het team. De samenvatting wordt niet centraal opgeslagen, de gebruiker doet dit zelf lokaal op zijn eigen device of print deze uit voor het gesprek met naasten en het behandelteam.



FIGUUR 3. Invloed van bispecifieke antilichaamtherapie op de kwaliteit van leven met betrekking tot ziekte- en behandellast voor patiënten volgens het 'hemophilia free mind'-concept.

Bron: WFH Shared Decision Making Tool (Nederlands)© 2023 World Federation of Hemophilia; <https://sdm.wfh.org/nl/welkom>

ONDERHOUD VAN DE TOOL

Om accurate informatie te geven, zorgt de WFH dat twee keer per jaar veranderingen worden doorgevoerd. Sinds het gereedkomen van de tool in het Nederlands in 2024 zijn drie nieuwe geneesmiddelen geregistreerd in de Europese Unie. Het betreft efanesoctocog alfa (Altuvoc), een factor VIII-product met een 3-4 keer langere halfwaardetijd, dat een nieuwe categorie van ultra-langwerkende stollingsfactor toebedeeld kreeg. Verder zijn twee nieuwe non-factor-therapieën geregistreerd, de hemostatisch evenwicht aanpassende therapieën marstacimab (Hypmavzi) en concizumab (Alhemo), beide anti-TFPI-antilichamen. Deze middelen zijn toegevoegd aan de SBH-tool. Heel recentelijk heeft de FDA fitusiran, een 'small interfering'-RNA gericht tegen antitrombine, goedgekeurd. Hoewel nog niet in de EU beschikbaar, is dit middel al wel opgenomen in de SBH-tool.

ERVARING MET GEÏNFORMEERDE GEDEELDE BESLUITVORMING IN DE HEMOFILIEZORG

Geïnformeerde gedeelde besluitvorming is uiteraard niet nieuw in de hemofiliezorg. In het verleden werden de risico's op bloedoverdraagbare infecties ook besproken om tot gedeelde besluitvorming te komen in de keuze om profylactisch of 'on demand' te behandelen. Bij het starten van de behandeling bij naïeve patiënten wordt met ouders het risico van remmervorming besproken ('anti-drug-antibodies') en meegewogen in de keuze voor een recombinant of plasma factor VIII dan wel emicizumab, een combinatie-therapie van factor VIII met emicizumab, evenals het moment van starten, gezien de intensiteit van de behandeling.^{6,7}

WAT BRENGT DEZE INNOVATIEVE TOOL IN DE HEMOFILIEZORG?

Het behandelandschap voor hemofilie is in de laatste jaren enorm uitgebreid, waardoor patiënten en hun behandelaren voor soms complexe keuzes worden gesteld. Alle behandelopties zijn effectief in het voorkomen van bloedingen, maar het verschil in werkingsmechanisme en farmacokinetiek beïnvloedt de toediening en het behandelschema en daarmee behandellast en eventueel therapietrouw, maar ook mogelijke trombotische risico's, effect op zelfredzaamheid in geval van bloedingen enzovoort. Ook zijn er bij de nieuwe behandelklassen nog onbekende effecten, zoals het risico op remmervorming bij non-factor-therapieën en langetermijneffecten van gentherapie. Hoe deze factoren moeten worden meegewogen in de besluitvorming verschilt per patiënt. De SBH-tool is erop gericht patiënten te ondersteunen om samen met hun behandelteam een gedegeen behandelbeslissing te kunnen nemen, door op een gestructureerde manier inzicht te geven in de eigen behandelvoorkeuren, zorgen en verwachtingen en hen te informeren over de eigenschappen van de verschillende behandelingen. Dit draagt bij aan een constructief gesprek tussen patiënt en behandelteam over de behandeling van hemofilie.

IMPLEMENTATIE IN DE NEDERLANDSE ZORGPRAKTIJK

De patiëntenorganisatie NVHP besteedt op verschillende manieren aandacht aan de tool op hun website en in informatiematerialen. Er is nog aandacht nodig voor mensen die niet gebruikmaken van internet en mensen met lage gezondheidsvaardigheden, zoals migranten of mensen met

AANWIJZINGEN VOOR DE PRAKTIJK

- 1** Het verander(en)de behandellandschap voor hemofilie creëert keuze in behandelingen waarbij persoonlijke voorkeuren van personen met hemofilie belangrijker worden.
- 2** Door de verschillende behandelklassen met hun eigen voor- en nadelen en onzekerheden is een individuele afweging per patiënt essentieel, zeker in de besluitvorming voor een eenmalige behandeling, zoals gentherapie.
- 3** De WFH Samen Beslissen bij Hemofilie-tool voor gedeelde besluitvorming biedt mensen met hemofilie handvatten voor de gespreksvoering met hun naasten en behandelteam.

een lage opleiding, voor wie de informatie in de tool waarschijnlijk nog moeilijk te begrijpen is. De WFH heeft ook een papieren werkboek gemaakt van de tool voor mensen die niet digitaal vaardig zijn of het internet niet gebruiken. Dit werkboek is nog niet in het Nederlands beschikbaar. De NVHP heeft in 2024 een drietal webinars georganiseerd over de nieuwe behandelklassen waar zorgverleners presentaties verzorgden over gentherapie, factortherapie met ultra-lange halfwaardetijd en bi-specifieke antilichaamtherapie, en over de nieuwste klasse, de hemostatisch evenwicht aanpassende therapieën. Deze webinars complementeren de informatie in de tool en zijn terug te kijken op de mediabank op de NVHP-website. Ook worden daar ervaringsverhalen van patiënten gepubliceerd die zijn overgestapt naar een andere behandeling.

De voorlichting over een ingrijpende behandeling, zoals gentherapie, vereist nog meer gedetailleerde informatie over risico's, intensiteit in nazorg en 'compliance' bij de opvolging en leefstijlaanpassingen, zoals gebruik van anti-conceptie en afzien van alcoholinname.⁸

Waar samen beslissen in het veranderde behandellandschap voor hemofilie uiteraard in alle Nederlandse hemofiliebehandelcentra wordt gedaan, is gebruik van de SBH-tool hierbij nog niet overal gerealiseerd.

CONCLUSIE

De Samen Beslissen bij Hemofilie-tool voor gedeelde besluitvorming brengt patiënten met hemofilie kennis bij over de beschikbare profylactische behandelingen, geeft de mogelijkheid alle behandelopties met familie en/of vrienden te bespreken en vergemakkelijkt gesprekken tussen patiënten en hun behandelteam om zo gedeelde besluitvorming te

ondersteunen. De tool is op elk moment te gebruiken, maar zeker als voorbereiding op een poliklinische controle, bij het beschikbaar komen van een nieuwe behandeling of als een verandering zich voordoet in het leven van een patiënt zoals de wens tot actievere leefstijl of bemoeilijkte intraveneuze toegang. De SBH-tool zet aan tot nadenken over behandelvoorkeuren, zorgen en verwachtingen en geeft informatie over de eigenschappen van de verschillende behandelingen voor hemofilie. De tool stelt de patiënt zo in staat om meer regie over zijn behandeling te ervaren.

REFERENTIES

1. Mannucci PM. Hemophilia treatment innovation: 50 years of progress and more to come. *J Thromb Haemost* 2023;21:403-12.
2. Brands MR, Haverman L, Muis J, et al. Patients' and health care providers' perspectives on quality of hemophilia care in the Netherlands: a questionnaire and interview study. *Res Pract Throm Haem* 2023;7:e100159.
3. Coffin D, Skinner MW, Thornburg CD, et al. Development of the World Federation of Hemophilia Shared Decision-Making Tool. *Haemophilia* 2024;30:1298-308.
4. Clearfield E, Chang H, Janssen EM, et al. Development of the coreHEM mental health patient-reported outcome measure – a novel mental health outlook measure for people with haemophilia. *Haemophilia* 2024;30:1309-20.
5. Krumb E, Hermans C. Living with a 'hemophilia-free mind' – the new ambition of hemophilia care? *Res Pract Thromb Haemost* 2021;5:e12567.
6. Nederlandse Vereniging voor Hematologie. Richtlijn hemofilie. 2022. <https://publicatie.hematologienederland.nl/richtlijnen/hemofilie>
7. Fischer K, Lassila R, Peyvandi F, et al. Trends in treatment of severe haemophilia and impact on inhibitor assessment by the EUHASS Registry. *Haemophilia* 2025 [Online ahead of print].
8. Wang M, Negrier C, Driessler F, et al. The hemophilia gene therapy patient journey: questions and answers for shared decision-making. *Patient Preference Adherence* 2022;16:1439-47.