

curso de formación sobre HEMOFILIA



Dr. Juan Eduardo Megías Vericat

Farmacéutico especialista. Hospital Universitari i Politècnic La Fe. Valencia

Entrevistado:

Dr. Ramiro Núñez Vázquez

Jefe de la Unidad de Trombosis y Hemostasia. Hospital Universitario Virgen del Rocío. Sevilla

ABORDAJE TERAPÉUTICO

1

Con las mejoras clínicas obtenidas con la profilaxis, ¿qué objetivos plantea para mejorar el control de la hemofilia?

La profilaxis ha supuesto una evidente mejoría para las personas con hemofilia, especialmente para los niños, que reciben esta modalidad de tratamiento desde una época muy temprana de sus vidas. Pero también en los pacientes adultos, algunos de ellos con afectación articular, la profilaxis, ya sea secundaria o terciaria, ha supuesto una mejoría en la prevención de eventos hemorrágicos. Para optimizar el control de la profilaxis, precisamente, hay que tener muy presente de dónde partimos para ajustar los objetivos que deseamos conseguir. Diversos factores como la edad, el fenotipo hemorrágico, la situación articular y el estilo de vida, entre otros, van a ser determinantes para valorar las pautas de profilaxis. Disponemos de nuevas terapias que aumentan la protección y facilitan la adherencia al tratamiento, pruebas de imagen como la ecografía y escalas de salud articular que nos ayudan a identificar lesiones precoces en las articulaciones. También disponemos de herramientas fácilmente accesibles para valorar datos de farmacocinética que nos van a permitir ajustar estas pautas de profilaxis para conseguir los objetivos establecidos.

2

¿Es posible alcanzar el objetivo de ceros sangrados?

Aunque conseguir que los pacientes con hemofilia no presenten sangrados es un objetivo primario, sabemos que la profilaxis no es sinónimo de cero sangrados. Por eso, frente a pautas fijas, el concepto de personalización de la profilaxis implica el seguimiento del paciente y el ajuste de las pautas de profilaxis en función de los eventos hemorrágicos y de las circunstancias individuales. Las nuevas opciones de tratamiento, ya sea en forma de factores de vida media extendida o de fármacos no sustitutivos, facilitan un aumento del nivel de protección frente a los sangrados y, con ello, el número de pacientes que consiguen este anhelado objetivo del cero sangrados.

3

¿Qué importancia tiene la salud articular con el envejecimiento progresivo de los pacientes?

Sin duda, la afectación articular puede condicionar la vida de los pacientes con hemofilia. La limitación en la vida diaria se ve reflejada en las encuestas de calidad de vida, espe-

cialmente en aquellos adultos de cierta edad que no se beneficiaron de la profilaxis en su infancia y adolescencia. El dolor crónico que precisa de analgesia habitual, el frecuente absentismo laboral, las limitaciones para una actividad física regular y plena están presentes en pacientes con afectación articular, también conocida como artropatía hemofílica. Por todo ello, la preservación de la salud articular es uno de los objetivos prioritarios del tratamiento de los pacientes con hemofilia a través de la profilaxis.

4

¿Qué grado de colaboración existe con el servicio de farmacia en el tratamiento de los pacientes con hemofilia?

Se trata de una colaboración estrecha y fluida. No se puede entender la toma de decisiones en relación con los distintos tratamientos y pautas de profilaxis sin la participación de todos los actores implicados. El servicio de farmacia ocupa un papel relevante en la disponibilidad de las distintas opciones terapéuticas, mucho más numerosas en la actualidad, así como para el control de la dispensación de estos fármacos.

5

¿Cómo ha cambiado el abordaje terapéutico con las terapias incorporadas en los últimos años (factor VIII-IX de vida media extendida, emicizumab)?

Las nuevas opciones terapéuticas incorporadas en estos años han supuesto un avance importante en el tratamiento de los pacientes hemofílicos. Los factores de vida media extendida en hemofilia A, y especialmente en hemofilia B, han permitido conseguir una mayor protección frente a los sangrados, aumentando los niveles valle y contribuyendo a una mayor eficacia de la profilaxis; todo ello, incluso, con la posibilidad de disminuir el número de inyecciones semanales alargando el intervalo de administración, con la consiguiente ganancia en calidad de vida. De igual manera, fármacos como el emicizumab han aportado un gran control de los eventos hemorrágicos, salvando, además, la barrera que supone el tratamiento intravenoso, ya que se administra por vía subcutánea, lo que implica también una mejoría sustancial en la calidad de vida de los pacientes con hemofilia grave.

6

¿Cuál cree que es el mejor abordaje para los pacientes con hemofilia leve o moderada? ¿Cómo evitar la artropatía crónica en ellos?

Sabemos, a través de estudios focalizados en pacientes con hemofilia leve y moderada, que este grupo de pacientes también presenta eventos hemorrágicos, a veces con una incidencia muy parecida a la de los pacientes graves. Por ello, es importante tomar conciencia de la profilaxis como modalidad de tratamiento adecuada y necesaria para un grupo de estos pacientes. Además, en las últimas guías de la Federación Mundial del Hemofilia se recogen, entre otros, dos aspectos importantes. Por un lado, la recomendación de intentar conseguir niveles valle de factor más elevados (en torno al 3-5 %) amplía el grupo pacientes subsidiario de recibir profilaxis; por otro lado, la aspiración de que los pacientes hemofílicos tengan una calidad de vida similar a la de la población general convierte la profilaxis en la modalidad de tratamiento idónea para conseguir este objetivo en pacientes con hemofilia leve o moderada en los que hasta hace poco no se contemplaba esta posibilidad de tratamiento.

7

¿Cómo puede cambiar el manejo de la hemofilia con la introducción la terapia génica en los próximos años?

La llegada de la terapia génica puede revolucionar el tratamiento de los pacientes con hemofilia. La posibilidad de no requerir tratamiento con factor durante un periodo muy prolongado de tiempo, aún por determinar, supone un escenario muy atractivo para

pacientes dependientes crónicamente de la administración intravenosa del factor. Sin duda, esta estrategia terapéutica va a cambiar el concepto del tratamiento en hemofilia al conseguir, al menos, lo que podemos considerar una curación funcional de la enfermedad.

8

¿Y con los nuevos factores VIII de vida media extendida, tipo BIVV001?

Estas opciones terapéuticas vendrán a completar el arsenal terapéutico aportando factores en hemofilia A con un aumento sustancial de la vida media que, indudablemente, supondrá un beneficio para los pacientes al disminuir el número de administraciones, todo ello con la ventaja de tratarse de fármacos basados en los factores nativos, con más o menos modificaciones sobre la molécula original.

Con el patrocinio de:

CSL Behring
Biotherapies for Life™