



GRUPO CAHT
GRUPO COOPERATIVO ARGENTINO
DE HEMOSTASIA Y TROMBOSIS

Enfermedad de von Willebrand

TIPS DE INFORMACIÓN

PARA PROFESIONALES

TERAPIAS NUEVAS Y EMERGENTES PARA MUJERES, NIÑAS Y PERSONAS CON MENSTRUACIONES ABUNDANTES CON EVW



Los pacientes con enfermedad de von Willebrand (EVW) presentan una variedad de síntomas hemorrágicos que incluyen el sangrado menstrual abundante (SMA) y la hemorragia posparto, pero también síntomas no relacionados al sexo. En la última década, en contraste con la hemofilia, el desarrollo de nuevas terapias para la EVW se ha quedado muy atrás. A pesar de considerarse eficaces y seguros los tratamientos que existen en la actualidad, múltiples estudios informan una mala calidad de vida de estos pacientes, especialmente en aquellas mujeres con SMA. Por este motivo se describen nuevas y emergentes terapias. El Factor de von Willebrand Recombinante (FVWr) es la nueva terapia más reciente que está disponible. Si bien existen estudios que describen su seguridad y eficacia, se desarrolló un ensayo VWD (MIN) cruzado, aleatorio, abierto y de fase 3 exclusivamente en pacientes femeninas con EVW y SMA, que a pesar de ciertas limitaciones, mostró que el FVWr no fue superior al ácido tranexámico y que ninguna de las dos terapias resultó completamente exitosa en el control del sangrado. Como consecuencia, se ha informado el uso off-label del Emicizumab en la EVW tipo 3 con buenos resultados como el reporte de un caso de una niña de 11 años con EVW y SMA refractario. El BT200 (Rondoraptivon pegol) es un aptámero pegilado que mostró buenos resultados en la EVW tipo 2. También se mencionan otras terapias en estudio como los anticuerpos VGA039, HMB-001, y terapias basadas en la nanotecnología como el KB-V13A12 y las nanopartículas plaquetarias sintéticas, estas últimas con buenos resultados en ratones con EVW. Probablemente sea un desafío a futuro desarrollar nuevos ensayos que permitan tomar decisiones correctas respecto al tratamiento en pacientes con EVW y SMA.

Bibliografía:

Casari C, Leung J, James PD. New and emerging therapies for women, girls, and people with the potential to menstruate with VWD. *Blood Adv.* 2023 Dec 26;7(24):7501-7505. doi: 10.1182/bloodadvances.2023010716. PMID: 37967378; PMCID: PMC10758707.