



GRUPO CAHT
GRUPO COOPERATIVO ARGENTINO
DE HEMOSTASIA Y TROMBOSIS

Enfermedad de von Willebrand

TIPS DE INFORMACIÓN PARA LA COMUNIDAD

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



La enfermedad de von Willebrand (EVW) es una enfermedad sangrante usualmente hereditaria, frecuente y compleja, que ocurre por deficiencia o disfunción de una proteína (factor de von Willebrand) que participa en la hemostasia, es decir en los mecanismos que se desarrollan para evitar el sangrado. Existen distintos tipos y los pacientes pueden presentar una variedad de síntomas de sangrados entre los que se pueden mencionar: sangrado menstrual abundante (SMA), hemorragia posparto, sangrado articular, gastrointestinal, nasal, oral, y/o hematomas que ocurren con facilidad y sangrado después de las cirugías y procedimientos dentales. En la última década el desarrollo de nuevas terapias se ha quedado muy atrás, y muchas personas con EVW y SMA aún siguen teniendo una mala calidad de vida a pesar de los tratamientos actuales. Esto pone el foco en el problema que sigue enfrentando la comunidad de personas con EVW: si los tratamientos actuales son buenos ¿por qué los pacientes siguen sufriendo? Claramente, existe una necesidad urgente de terapias novedosas y estrategias de manejo optimizadas. El Factor de von Willebrand Recombinante (FVWr) es la nueva terapia más reciente disponible. A pesar de los buenos resultados, existe un ensayo en este tipo de pacientes que no mostró superioridad al ácido tranexámico y tampoco un control exitoso del sangrado de ambas terapias. Como consecuencia, se ha informado el uso off-label (no autorizado) del Emicizumab en la EVW tipo 3 con muy buenos resultados, y están en desarrollo nuevas terapias prometedoras como el BT200 (Rondoraptivon pegol), los anticuerpos VGO39, HMB-001, y terapias basadas en la nanotecnología como el KB-V13A12 y las nanopartículas plaquetarias sintéticas.

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.