



GRUPO CAHT
GRUPO COOPERATIVO ARGENTINO
DE HEMOSTASIA Y TROMBOSIS



Hemofilia

TIPS DE INFORMACIÓN

PARA PROFESIONALES

UNIENDO EL ESLABÓN PERDIDO CON UN ANTICUERPO BIESPECÍFICO PARA EL TRATAMIENTO DE HEMOFILIA A



La hemofilia A es una enfermedad hemorrágica hereditaria causada por la deficiencia del Factor VIII y afecta entre el 80 y 85% de la población hemofílica. Estos pacientes tienen un mayor riesgo de presentar hemorragias espontáneas o desencadenadas por lesiones y pueden sufrir daño de órgano. La terapia estándar actual todavía implica el reemplazo del Factor VIII, ya sea como profilaxis o tratamiento del sangrado y está determinado por factores relacionados a cada paciente. Sin embargo esta terapia es costosa, de aplicación endovenosa, presenta una variabilidad farmacocinética individual, riesgo de infecciones virales en el caso del uso de concentrados de Factor VIII derivados del plasma y además con el tiempo pueden aparecer inhibidores contra el Factor VIII. En este último caso, se necesita de un tratamiento alternativo como la inducción de la inmunotolerancia, o el uso de agentes bypassantes como Factor VIIa recombinante (rFVIIa) y el concentrado de complejo de protrombina activado (CCPa). Estos agentes no son tan efectivos como la terapia de reemplazo y es difícil su uso a largo plazo por el alto costo, vida media corta y riesgo de eventos tromboembólicos.

Por todos estos motivos, se ha desarrollado una terapia alternativa e innovadora: el primer anticuerpo monoclonal biespecífico humanizado que imita la función del Factor VIII uniéndose simultáneamente con alta selectividad a los Factores IXa y X activando la cascada de la coagulación, con una vida media prolongada y baja inmunogenicidad, mostrando que reduce significativamente el número de eventos de sangrado, y ser efectivo y seguro tanto en la profilaxis como en el tratamiento del sangrado, en pacientes con y sin inhibidores.

En los últimos años se han comercializado distintos productos novedosos disponibles del Factor VIII, con mejoras en la farmacocinética pero aun muestran resultados variables en cuanto a la inmunogenicidad.

Desarrollado por el grupo de sangrado.

Bibliografía:

Gelbenegger G y col. Bridging the Missing Link with Emicizumab: A Bispecific Antibody for Treatment of Hemophilia A. *Thromb Haemost* 2020;120(10): 1357-70.