PARA PROFESIONALES

SELECCIÓN DE TEMAS SOBRE FACTOR VON WILLEBRAND Y ENFERMEDAD DE VON WILLEBRAND (I)

-Nuevas opciones terapéuticas para tratamiento de la enfermedad de von Willebrand:

1. **KB-V13A12:** nano-anticuerpo biespecífico que combina anti-albúmina y anti-VWF, prolonga la vida media del VWF en plasma, administración s.c., baja inmunogenicidad y bajo costo de producción. Recomendado en VWD1 y bajo VWF.

2. **Aptámero BT200** (Rondoraptivon-pegol): versión pegilada del BT100, prolonga la vida media del VWF, aumenta niveles plasmáticos de VWF, FVIII en normales, pacientes con hemofilia y VWD2B. Aumenta el recuento de plaquetas en VWD2B. Recomendado en VWD1, bajo VWF y VWD2B.

3. **Synthoplates:** nano-partículas plaquetarias sintéticas decoradas con péptidos de unión al VWF, colágeno y fibrinógeno. Liofilizado, estable >6 meses a TA. Recomendado en VWD3 y VWD2B.

-Nuevo método diagnóstico: VWF:NRCo: utiliza un nano-anticuerpo que se une a la región AIM del dominio A1. Sensible a la disminución de los multímeros de alto PM, no se afecta por la presencia de p.Asp1472His.

-Nuevas mutaciones en los dominios C1 y C4 que promueven ganancia de función a alto shear rate, con pérdida de la estabilidad del VWF.

- Se puntualiza la necesidad de utilizar más de 1 método de secuenciación del VWF: tanto el método de Sanger como NGS pueden no detectar deleciones o duplicaciones de exones completos.

-Preparación de un nuevo estandard internacional de la WHO en reemplazo del actual, cuyas existencias se acaban.

Dra Adriana Inés Woods:
Laboratorio de Hemostasia y Trombosis IMEX- Academia Nacional de Medicina.