

FERNANDA MARTÍNEZ GARCÍA, HEMATÓLOGA DEL HOSPITAL VALL D'HEBRON (Nº COLEGIADA: 54257)

EL PACIENTE CON UNA HEMOFILIA GRAVE TIENE LA MISMA ESPERANZA DE VIDA QUE LA POBLACIÓN GENERAL



Las nuevas estrategias de tratamiento están permitiendo, en muchos casos, a los pacientes hemofílicos olvidarse de su diagnóstico y de su enfermedad, aunque sea al menos por unos días.

Es inevitable preguntar a **Fernanda Martínez García**, *hematóloga del Hospital Vall d'Hebron*, cómo ha influido la pandemia del Covid-19 en el manejo del paciente con hemofilia en su centro. Comenta que, cuando se declaró el estado de alerta, inmediatamente se priorizó su atención telemática. Identificaron a quienes se les podía informar de resultados de pruebas y otras cuestiones por teléfono, qué otras consultas tenían que ser reprogramadas para más adelante o cuáles tenían que ser mantenidas de forma presencial. Casi el 90% de las consultas se llevaron a cabo de manera telemática. La mayoría de las visitas presenciales fueron urgencias o seguimientos de algún sangrado o postcirugía. Independientemente del Covid-19, abordamos con ella que, en los últimos cinco años, se ha producido un boom de nuevos fármacos aprobados para la hemofilia. *“Han aparecido muchas novedades y buenas oportunidades para los pacientes con hemofilia en cuanto a su tratamiento”,* dice. Añade que *“los factores de vida media extendida han permitido espaciar el tratamiento de los pacientes con hemofilia*

con el objetivo de que requieran menos infusiones endovenosas a la semana”. En algunos casos, han podido lograr también una mejor cobertura hemostática y, por tanto, evitar muchos sangrados, especialmente los espontáneos. En el equipo de hemofilia de su hospital, consideran que sus pacientes se pueden beneficiar de un producto de vida media extendida, o sea, un EHL, especialmente si tienen una patología grave. En su centro, el primer EHL que tuvieron disponible fue Elocta®, hace unos tres años. Describe que empezaron cambiando a pacientes adultos con hemofilia A grave previamente tratados que requerían o dosis muy altas o muy frecuentes o que tenían problemas de sangrado a pesar de ser adherentes al tratamiento. *“Vimos que en la gran mayoría de estos pacientes se lograba disminuir tanto el consumo de factor como el número de infusiones mensuales”,* expone. Indica que se redujo en muchos casos la cantidad de sangrados totales. Los pacientes se contaban unos a otros su experiencia, que les había ido bien con Elocta® y les llamaban para pedirles un cambio de tratamiento. Comprobaron que el 73% de los pacientes que pasaron de una profilaxis con factor VIII estándar a profilaxis con Elocta® redujo sus infusiones mensuales y que éstos también reportaron un 50% menos de hemorragias que con su tratamiento previo. Respecto a la farmacoeconomía, vieron que, gracias a este cambio, pudieron ahorrar en el coste de la profilaxis un 32% mensualmente.

Enfermedades parecidas

La Hemofilia A (HA) y la Hemofilia B (HB) siempre se explican juntas porque son enfermedades parecidas. Se transmiten genéticamente, por una herencia recesiva ligada al cromosoma X. La HA es el déficit del factor VIII, mientras que la HB es el déficit del factor IX. Otra diferencia es que la HA es mucho más frecuente que la HB, a pesar de ser las dos enfermedades raras. La prevalencia de la primera es de 1:5.000 varones nacidos, mientras que la de la HB es de 1:30.000 varones nacidos. La manifestación clínica es la misma,

predisposición al sangrado o el sangrado prolongado. En las dos hay grado leve, moderado y severo. Esto va a depender del nivel de factor deficitario en plasma lo cual viene "codificado" por la mutación genética de cada paciente. Las diferencias más significativas son las propias de los factores. El factor VIII tiene una función de coenzima o de cofactor. Es una molécula grande de 280 kDa. Por su parte, el factor IX es más pequeño, de 55 kDa, con una función enzimática y un gran volumen de distribución. El factor VIII se queda en el espacio intravascular, mientras que el factor IX pasa al espacio extravascular, pudiendo actuar como reservorio, y ahí se une a las proteínas de la matriz extracelular como es el colágeno tipo IV en el caso de Alprolix® por ejemplo. Debido a estas características, los factores VIII y IX tienen unas formas de distribución diferentes. A pesar de tener una clínica prácticamente igual, "el mecanismo o la dinámica de cada factor es muy diferente". Esto es lo que va a diferenciar las pautas de tratamientos para la HA o la HB y el seguimiento de los mismos: "En la HA la clínica hemorrágica está más fuertemente relacionada con los niveles de factor, sin embargo en HB, como tenemos este "reservorio" en el extravascular, que no lo vamos a medir con una analítica, decimos que los niveles valle en la HB no lo son todo". La ventaja de Alprolix® como tratamiento para la HB es que tiene un volumen de distribución extravascular alto imitando el comportamiento del factor IX endógeno. Es decir, es "el que se parece más al factor IX fisiológico". Como es sabido,

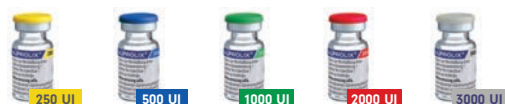
los pacientes con hemofilia suelen tener muchos problemas articulares, derivados de los sangrados a este nivel; una posible ventaja que menciona Martínez García del factor IX de Alprolix® es que "se depositaría en las articulaciones y eso podría brindar una mejor protección hemostática a ese nivel". Con todo; "los pacientes con hemofilia, ya sea leve, moderada o severa, tienen un futuro que va a ser bueno". Hace unos años; se hablaba del pasado y del presente, pero el futuro era algo más incierto. Hoy por hoy, son realidad o están a la vuelta de la esquina moléculas y tratamientos que sonaban a ciencia ficción hace unos años. Esta hematóloga subraya que "el paciente con una hemofilia grave tiene la misma esperanza de vida que la población general". En un pasado no tan lejano, los pacientes fallecían en la cuarta década de vida por problemas hemorrágicos o por complicaciones crónicas de la enfermedad. Con las nuevas moléculas de tratamiento, incluidos los factores de vida media extendida, los pacientes no sólo van a vivir la misma cantidad de años, "sino que van a poder gozar de una buena calidad de vida". Martínez García sostiene que la medicina personalizada asegura un mejor tratamiento y manejo integral al paciente con hemofilia. Actualmente, hay muchas herramientas que permiten dicha medicina personalizada; con una profilaxis personalizada, con un seguimiento de adherencia personalizado y una educación sanitaria personalizada. +

*Las opiniones manifestadas en este documento corresponden en exclusiva a la profesional entrevistada



ALPROLIX® está indicado en el **tratamiento y profilaxis de las hemorragias en pacientes con hemofilia B** (deficiencia congénita de factor IX).¹

ALPROLIX® se puede usar en todos los grupos de edad.¹



Ficha Técnica disponible

1. Ficha técnica de ALPROLIX®. Última revisión Mayo 2019.

▼ Este medicamento está sujeto a seguimiento adicional. Es prioritaria la notificación de sospechas de reacciones adversas asociadas a este medicamento.



Su futuro. Ahora

ELOCTA® Factor VIII recombinante de vida media extendida (EHL) aprobado para todos los grupos de edad^{1,2}



Nuevas presentaciones disponibles:¹



Ficha Técnica disponible

1. Ficha Técnica ELOCTA®. Última revisión Agosto 2020. 2. McCue J, et al. Manufacturing process used to produce long-acting recombinant factor VIII Fc fusion protein. Biologicals. 2015;43(4):213-9.