

La SEHH, la SETH y la RFVE han organizado la jornada “¿Cómo elegir e individualizar el tratamiento en la era de las nuevas terapias?”, por el Día Mundial de la Hemofilia

Paciente con hemofilia grave y vida activa, candidato óptimo a terapia génica

- **Estos pacientes precisan un alto nivel de protección frente a los sangrados**
- **Por su parte, los fármacos de vida media extendida del factor IX también han marcado un antes y un después en el abordaje de esta enfermedad**
- **Reforzar la seguridad de los nuevos tratamientos, en cuanto al riesgo de producir eventos trombóticos, es uno de los principales retos**
- **Se estima que en España existen alrededor de 3.000 personas diagnosticadas de hemofilia, una enfermedad rara y hereditaria**

Madrid, 12 de abril de 2023. La Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia (SEHH), la Sociedad Española de Trombosis y Hemostasia (SETH) y la Real Fundación Victoria Eugenia (RFVE) han organizado la jornada “¿Cómo elegir e individualizar el tratamiento en la era de las nuevas terapias?”, en el marco del Día Mundial de la Hemofilia, que se conmemora el próximo 17 de abril.

Ramiro Núñez Vázquez, hematólogo del Hospital Universitario Virgen del Rocío (Sevilla) y vicepresidente de la Comisión Científica de la RFVE, ha centrado su exposición en la llegada de la terapia génica a la hemofilia. “Supone una oportunidad realmente interesante para los pacientes, sin necesidad de administración periódica del factor y con un nivel de protección adecuado para llevar a cabo una vida muy similar a la de la población general”, comenta. Tras la reciente aprobación de dos tratamientos de estas características, por parte de la Agencia Europea del Medicamento, “parece razonable pensar que, dentro de unos meses, en España podamos disponer de esta novedosa estrategia terapéutica”, explica.

“Un candidato óptimo a ser tratado con terapia génica podría ser un paciente (mayor de 18 años) con hemofilia grave, que precise un alto nivel de protección frente a los sangrados, generalmente, con una vida activa y reacios a la administración periódica del factor asociada a las pautas del tratamiento profiláctico”.

No obstante, la aparición de la terapia génica acarrea una serie de desafíos y algunas incertidumbres, “como la durabilidad de la expresión del factor, la necesidad de controlar los efectos adversos mediante corticoides durante un tiempo nada despreciable o la posibilidad de recibir una nueva dosis en el futuro, que por ahora no

se contempla”. Todo ello, “junto con la existencia de alternativas terapéuticas eficaces y seguras, y el previsible alto coste de dicha terapia, suponen un reto a la hora de considerarla como una opción de tratamiento”, añade el doctor Núñez.

Retos y oportunidades de los nuevos tratamientos

Durante la jornada, María Teresa Álvarez Román, hematóloga del Hospital Universitario La Paz (Madrid) y presidenta de la Comisión Científica de la RFVE, ha expuesto los retos y oportunidades de los nuevos tratamientos en hemofilia. De las terapias ya disponibles, la experta ha destacado los fármacos de vida media extendida del factor IX, que “han marcado un antes y un después en el abordaje de esta enfermedad hematológica. En cuanto a los fármacos miméticos del factor VIII, pongo de relieve el emicizumab, que ya podemos utilizar, y los de segunda generación, como el mim8, que suponen una auténtica revolución. Son mucho más eficaces, y reducen la carga de la enfermedad al disminuir el número de infusiones y tener una administración subcutánea (hasta ahora todos los tratamientos se administraban por vía intravenosa)”.

Otras terapias no sustitutivas, como el concizumab, marstacimab o fitusiran, “representan una oportunidad muy buena para los pacientes con hemofilia B con inhibidor u otros trastornos de la coagulación sin tratamiento hasta ahora”, añade la doctora Álvarez Román.

Además, la FDA ha aprobado recientemente un concentrado de vida media extendida del factor VIII (BIVV001), “con el que se consigue una normalización de la hemostasia, de tal forma que los pacientes alcanzan un nivel de factor superior al 40% durante los primeros cuatro días de la semana, pudiendo llevar a cabo una vida rigurosamente normal”.

Con relación a los retos, la experta destaca la necesidad de reforzar la seguridad de los nuevos tratamientos en cuanto al riesgo de producir eventos trombóticos. “Por ello, es clave seguir trabajando en mejorar el conocimiento sobre los mismos, su monitorización y el ajuste de dosis para evitar las trombosis”, concluye.

El moderador del encuentro ha sido Víctor Jiménez Yuste, vicepresidente 2º de la SEHH, quien ha inaugurado la sesión junto a Joan Carles Reverter, David Silva y César Garrido, presidentes de la SETH, la RFVE y la Federación Mundial de Hemofilia, respectivamente.

La incidencia de la hemofilia A y B

La hemofilia es una enfermedad rara y hereditaria que afecta a 1 de cada 5.000 varones vivos en el caso de la hemofilia A, y 1 de cada 30.000 en el caso de la B. Se estima que en España hay alrededor de 3.000 personas diagnosticadas de esta enfermedad.

La hemofilia se produce por el déficit de una proteína clave en el proceso de coagulación, factor VIII en la hemofilia A y factor IX en la B. Esta carencia conlleva un riesgo importante de sangrado, que se correlaciona con los niveles plasmáticos del factor deficitario. Hasta un 80% de los sangrados se producen a nivel articular y

muscular, y producen una gran discapacidad. Otras hemorragias frecuentes en pacientes sin tratamiento profiláctico son las hemorragias intracraneales o retroperitoneales.

Sobre la Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia (SEHH)

La SEHH es una sociedad científica cuyo fin es la promoción, desarrollo y divulgación de la integridad y contenido de la especialidad de Hematología y Hemoterapia en sus aspectos médicos, científicos, organizativos, asistenciales, docentes y de investigación. La Hematología como especialidad abarca todos los aspectos relacionados con la fisiología de la sangre y los órganos hematopoyéticos, el diagnóstico y tratamiento de las enfermedades benignas y malignas de la sangre, el estudio del sistema de hemostasia y coagulación, y todos los aspectos relacionados con la medicina transfusional, incluyendo el trasplante de progenitores hematopoyéticos y las terapias celulares. La función profesional del hematólogo cubre todas las vertientes del ejercicio de la especialidad.

Con 63 años de historia, la SEHH es hoy día una organización con importante repercusión científica. Muchos de los cerca de 3.000 profesionales que la forman son figuras internacionalmente reconocidas y contribuyen a que la hematología sea una de las partes de la medicina española con más prestigio en el exterior. La Sociedad considera que para una óptima atención de los pacientes es imprescindible contar con acceso a los avances médicos, fomentar la investigación y disponer de especialistas bien formados y altamente cualificados en el manejo de las enfermedades hematológicas.

Sobre la Real Fundación Victoria Eugenia (RFVE)

La RFVE es una entidad sin ánimo de lucro de carácter benéfico asistencial y científico de carácter particular y privado, constituida el 14 de febrero de 1989. Su finalidad es proteger la salud y remediar aquellas situaciones precarias de las personas con hemofilia u otras coagulopatías congénitas, y sus familiares.

Los objetivos de la RFVE son promover la investigación, dotar de becas de investigación, promocionar cursos, congresos, seminarios, mesas redondas y conferencias relacionadas con las coagulopatías congénitas. Del mismo modo promueve la edición de publicaciones y la creación de fondos documentales, preparando campañas de sensibilización que favorezcan la inserción social y la rehabilitación psíquica de los afectados por coagulopatías congénitas o enfermedades asociadas.

Sobre la Sociedad Española de Trombosis y Hemostasia (SETH)

La Sociedad Española de Trombosis y Hemostasia (SETH) es una sociedad científica que tiene por objeto agrupar a profesionales de la salud e investigadores que trabajan en el campo de la trombosis y hemostasia, así como su diagnóstico, tratamiento y profilaxis. Es una sociedad de carácter multidisciplinar sin ánimo de lucro que promueve la investigación sobre estos temas, así como la participación y comunicación entre sus miembros. Nuestra pretensión es conseguir un progreso en las siguientes facetas de la patología trombótica y de la hemostasia: etiopatogenia, prevención, diagnóstico y tratamiento.

La SETH organiza habitualmente cursos, conferencias, reuniones, así como diferentes actividades para conseguir su principal objetivo y seguir avanzando en un mayor conocimiento científico de las enfermedades relacionadas con la especialidad. Además, promueve el trabajo cooperativo entre sus socios a través de Grupos de Trabajo para así avanzar en el conocimiento desde una visión multidisciplinar. La sociedad cuenta con más de 700 profesionales de reconocido prestigio en este campo a nivel nacional e internacional, que tienen como objetivo sensibilizar a la población y dotar de más información sobre las enfermedades trombóticas y hemostásicas.

Para más información y gestión de entrevistas:

Jorge Sánchez Franco

Móvil: 667 675 476

E-mail: jorge.sanchez@sehh.es

Alba Corrada de la Fuente

Móvil: 620 534 620

E-mail: alba.corrada@sehh.es

Tel.: 91 319 19 98

Web: www.sehh.es

Twitter: [@sehh_es](https://twitter.com/sehh_es)

IG: [@sociedad_espanoladehematologia](https://www.instagram.com/sociedad_espanoladehematologia)

Canal YouTube: [HemoTube](https://www.youtube.com/HemoTube)

LinkedIn: www.linkedin.com/company/sehh/