

La Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia ha organizado su reunión de conclusiones del 65º Congreso de la Asociación Americana de Hematología (*ASH* en sus siglas inglesas)

La terapia génica consigue la cura potencial de la drepanocitosis y de la talasemia dependiente de transfusiones

- Coincidiendo con *ASH 2023*, la Administración de Alimentos y Medicamentos de Estados Unidos ha aprobado dos productos de terapia génica para el tratamiento de la drepanocitosis, una enfermedad genética grave que se caracteriza por episodios agudos de dolor muy intenso, entre otras manifestaciones
- Se han dado a conocer los resultados de una terapia génica en talasemia mayor o dependiente de transfusiones, que muestran cómo todos los pacientes tratados con esta terapia consiguen la independencia transfusional
- En *ASH 2023* se han expuesto los resultados del estudio HOPE-B, donde más del 87% de los pacientes con hemofilia B tratados con terapia génica alcanzan una normalización de la hemostasia o formas leves de la enfermedad
- También se han presentado prometedores resultados de modelos pre-clínicos acerca de la posible utilidad de las terapias CAR-T en el tratamiento de la trombocitopenia inmune o PTI
- Los inhibidores del factor XI son una nueva generación de anticoagulantes que supondrá una revolución en la práctica clínica y, muy especialmente, en el tratamiento de pacientes complejos, ancianos, con insuficiencia renal y/o riesgo hemorrágico

Zaragoza, 18 de enero de 2024. En la reunión nacional de conclusiones del 65º Congreso Anual de la Asociación Americana de Hematología (*ASH* en sus siglas inglesas), organizada por la Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia (SEHH) y celebrada en el Palacio de Congresos de Zaragoza, se han expuesto y analizado los principales avances de la especialidad de Hematología y Hemoterapia, en lo relativo tanto a enfermedades hematológicas malignas (o cáncer de la sangre) como a enfermedades hematológicas no malignas (coagulopatías como la hemofilia u otras, trombosis, anemias, patologías de los glóbulos rojos, fallo medular, etc.).

Es en el ámbito de la Eritropatología (área dedicada al abordaje de las alteraciones de los glóbulos rojos) donde se han presentado avances muy relevantes en el

tratamiento de la drepanocitosis y de la talasemia dependiente de transfusiones, dos enfermedades genéticas de la hemoglobina. “La primera de ellas se caracteriza por episodios agudos de dolor muy intenso que aparecen de forma imprevista, además de otras complicaciones agudas, anemia y un daño crónico en todos los órganos. En la segunda, estos pacientes necesitan recibir transfusiones de sangre cada mes para poder sobrevivir, produciendo una sobrecarga de hierro y, en consecuencia, también un daño potencial sobre muchos órganos”, explica Salvador Payán, hematólogo del Hospital Universitario Virgen del Rocío, de Sevilla.

“La llegada de la terapia génica a estas enfermedades supone un tratamiento disruptivo y una cura potencial de las mismas”, señala el especialista. De hecho, “la ‘joya de la corona’ de la Eritropatología en el último congreso de *ASH* ha sido la terapia génica, al haberse presentado los resultados de los fármacos *exa-cel* y *lovo-cel* para el tratamiento de la drepanocitosis. Dichos resultados muestran que el objetivo primario de los estudios se ha cumplido, ya que la mayoría de los pacientes no padecieron crisis de dolor durante un periodo de doce meses”. Durante el último Congreso de *ASH*, ambas terapias fueron aprobadas para el tratamiento de la drepanocitosis por la Administración de Alimentos y Medicamentos de Estados Unidos (*FDA* por sus siglas inglesas).

Asimismo, “se han presentado los resultados de *exa-cel* en talasemia dependiente de transfusiones, con los que se demuestra que todos los pacientes tratados con esta terapia consiguen la independencia transfusional”, señala el Dr. Payán.

La hemofilia es otra enfermedad hematológica, de la coagulación de la sangre, para la que la terapia génica se postula como posible cura. “En *ASH 2023* se ha dado a conocer que se mantienen los buenos resultados del estudio *HOPE-B*, donde más del 87% de los pacientes con hemofilia B tratados con *etranacogene dezaparvovec* alcanzaron una normalización de la hemostasia o formas leves de la enfermedad”, explica M^a Teresa Álvarez Román, hematóloga del Hospital Universitario La Paz, de Madrid. “Además -añade-, en San Diego se han presentado nuevas estrategias en terapia génica en hemofilia con tecnología *CRISPR/Cas*, transgenes optimizados y silenciadores de *ARN*”.

Avances en trombocitopenias y anticoagulación

Por otra parte, tal y como adelanta M^a Luisa Lozano, hematóloga del Hospital Universitario Morales Meseguer, de Murcia, “se han presentado resultados prometedores de modelos pre-clínicos acerca de la posible utilidad de las terapias *CAR-T* en la trombocitopenia inmune o *PTI*, abriendo un amplio abanico de posibilidades para el empleo de este tipo de tratamientos”.

La doctora Lozano también ha destacado la aparición de una nueva entidad de interés para los hematólogos, que fue descrita en 2023 bajo el nombre de *VITT-like* (similitud con *vaccine induced thrombotic thrombocytopenia*). “Debemos sospechar estos cuadros en individuos que han tenido antecedentes, sobre todo, de infecciones respiratorias, que cursan con trombosis, trombocitopenias de entre 20.000 y 80.000 plaquetas, y un incremento en los niveles de dímero-D. En estos casos, y debido a la alta mortalidad que provoca esta nueva enfermedad, deberemos solicitar que al

paciente se le administren anticuerpos anti-factor IV plaquetario, e iniciar de forma urgente tratamiento anticoagulante e infusión de inmunoglobulinas intravenosas”.

En el área de la anticoagulación, también se presentaron importantes novedades en *ASH 2023*. Concretamente, se expusieron los resultados de numerosos estudios, en marcha, sobre una nueva generación de anticoagulantes: los inhibidores del factor XI. “Hasta el momento, y tras los fármacos antivitaminas-k, los anticoagulantes orales de acción directa (ACODs) representaban el gran avance en este campo. De hecho, aunque existen desde hace varios años, muchos especialistas los siguen denominando ‘nuevos anticoagulantes’”, explica Cristina Sierra, hematóloga del Hospital Universitario Cruces, de Barakaldo, de Vizcaya. “Sin embargo, la llegada de esta nueva diana terapéutica revolucionará el mundo de la anticoagulación, sobre todo en pacientes complejos, ancianos, personas con insuficiencia renal o con riesgo hemorrágico”.

¿Por qué es necesaria la reunión nacional post-ASH?

“El objetivo de la SEHH a la hora de organizar la reunión nacional post-ASH es acercar las novedades presentadas durante el Congreso de ASH a todos los hematólogos españoles que no pudieron asistir. Los ponentes realizan una gran labor de resumen que facilita a los asistentes, en un periodo corto de tiempo, acceder a aquellos aspectos más relevantes de cara a su práctica clínica”, comenta Ramón Lecumberri, hematólogo de la Clínica Universidad de Navarra, de Pamplona, y coordinador de esta edición.

Para María Díez Campelo, hematóloga del Hospital Universitario de Salamanca y coordinadora del post-ASH junto con el doctor Lecumberri, “es imprescindible celebrar esta reunión para identificar los puntos más importantes de cada una de las patologías porque el volumen de trabajos que se presentan en el Congreso de ASH es inabarcable”.

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 64 años de historia, la SEHH es hoy día una organización con importante repercusión científica. Muchos de los cerca de 3.500 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.

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/