

# ¿QUÉ ES LA PROFILAXIS?



**FMH**

**50**

AÑOS MEJORANDO EL  
TRATAMIENTO PARA TODOS

FEDERACIÓN MUNDIAL DE HEMOFILIA

Fédération mondiale de l'hémophilie

World Federation of Hemophilia

Publicado por la **Federación Mundial de Hemofilia** (FMH)

© World Federation of Hemophilia, 2014

La FMH alienta la traducción y redistribución de sus publicaciones con fines educativos por organizaciones de hemofilia/trastornos de la coagulación sin fines de lucro.

Para obtener la autorización de reimprimir, redistribuir o traducir esta publicación, por favor comuníquese con el Departamento de educación y políticas públicas, a la dirección indicada abajo.

Esta publicación está disponible en formato PDF en la página Internet de la FMH, [www.wfh.org](http://www.wfh.org).

También pueden solicitarse copias adicionales en la página Internet de la FMH o a la siguiente dirección:

Federación Mundial de Hemofilia  
1425 René Lévesque Boulevard West, Suite 1010 Montréal, Québec H3G 1T7  
CANADA  
Tel.: (514) 875-7944  
Fax: (514) 875-8916  
Correo-e: [wfh@wfh.org](mailto:wfh@wfh.org)

La traducción de este documento fue verificada por Dra. Adolfin Bergés.

La Federación Mundial de Hemofilia no se involucra en el ejercicio de la medicina y bajo ninguna circunstancia recomienda un tratamiento en particular para individuos específicos. La FMH no reconoce, de modo explícito o implícito alguno, que las dosis de medicamentos u otras recomendaciones de tratamiento en esta publicación sean las adecuadas. Debido a lo anterior, se recomienda enfáticamente al lector buscar la asesoría de un consejero médico y/o consultar las instrucciones impresas que proporciona la compañía farmacéutica antes de administrar cualquiera de los medicamentos a los que se hace referencia en esta monografía. La Federación Mundial de Hemofilia no respalda productos de tratamiento o fabricantes específicos; cualquier referencia al nombre de un producto no representa su endoso por parte de la FMH.

## ÍNDICE

---

¿Qué es la profilaxis? .....	3
Tipos de profilaxis.....	4
Administración y dosificación.....	5
Profilaxis personalizada .....	6
Concentrados de larga duración .....	6
Monitoreo de resultados .....	7
Cuándo iniciar y cuándo cesar .....	8
Barreras y desafíos .....	9
Costo de los productos de tratamiento y acceso a los mismos ...	9
Acceso venoso .....	9
Adherencia.....	10

## ¿QUÉ ES LA PROFILAXIS?

---

Profilaxis es la infusión periódica de concentrados de factor de coagulación para evitar hemorragias.

La idea de la profilaxis surgió a partir de la observación de que las personas con hemofilia leve o moderada (que tienen niveles de factor de coagulación de 1% o mayores) rara vez presentan hemorragias espontáneas. También tienen menos lesiones articulares que las personas que padecen hemofilia grave.

Los médicos consideraron que si pudieran mantener los niveles mínimos de factor alrededor del 1% mediante la infusión periódica de concentrados de factor de coagulación, podrían reducir el riesgo de hemorragias y prevenir daños articulares.

Desde entonces, importantes estudios han demostrado que los niños que reciben profilaxis tienen, en efecto, menos hemorragias y articulaciones más saludables.

### SABÍA USTED QUE...

La profilaxis no ayudará a reparar articulaciones que ya están lesionadas.

Sin embargo, disminuirá la frecuencia de las hemorragias, y puede reducir el avance de la enfermedad articular, y puede mejorar la calidad de vida.

La profilaxis es actualmente el objetivo del tratamiento para las personas con hemofilia grave, lo que les permitirá permanecer activas y participar más cabalmente en la vida cotidiana.

¿Es 1% suficiente para prevenir hemorragias subclínicas o esta cifra está basada en un historial de restricciones del producto, factores económicos y cargas de protocolos de tratamiento?

## TIPOS DE PROFILAXIS

A diferencia del tratamiento episódico o “a demanda”, que se administra al momento de una hemorragia para detenerla, la profilaxis se administra para evitar que se presente una hemorragia.

Hay varios tipos de profilaxis. La profilaxis continua (primaria, secundaria y terciaria) se administra periódicamente durante varios meses y a menudo años. La profilaxis intermitente o periódica se administra durante periodos más cortos, generalmente durante unas cuantas semanas o meses.

Tipo de tratamiento	Definición
<b>Tratamiento episódico</b> (“a demanda”)	Tratamiento administrado al momento de la hemorragia.
<b>Profilaxis continua</b>	
Profilaxis primaria	Tratamiento periódico continuo, iniciado antes de la segunda hemorragia en una articulación mayor y antes de cumplir los 3 años.
Profilaxis secundaria	Tratamiento periódico continuo, iniciado después de dos o más hemorragias en articulaciones mayores, pero antes de la aparición de la enfermedad articular.
Profilaxis terciaria	Tratamiento periódico continuo, iniciado después de la aparición de la enfermedad articular, para evitar la progresión del daño.
<b>Profilaxis intermitente</b> (“periódica”)	Tratamiento administrado para evitar hemorragias durante periodos cortos; por ejemplo, antes y después de una cirugía.

Adaptado de: *Guías para el tratamiento de la hemofilia*, Federación Mundial de Hemofilia, 2012.

Nota: Estas definiciones concuerdan con las publicadas por el Comité de Normatividad Científica para los Factores VIII y IX, de la Sociedad Internacional sobre Trombosis y Hemostasia. Los programas nacionales o regionales podrían basarse en otras definiciones.

## ADMINISTRACIÓN Y DOSIFICACIÓN

La profilaxis es la infusión periódica de concentrados de factor de coagulación en un intento por elevar los niveles del mismo y mantenerlas en 1% o por arriba de este valor en todo momento. Hay varias maneras de lograr lo anterior; y la manera de hacerlo varía de un país a otro y aun dentro de un mismo país.

Siguen realizándose estudios para determinar el mejor esquema de dosificación (también llamado “protocolo”).

Un esquema de dosificación debería describir:

- El tipo de producto de factor que se utilizará.
- La dosis de factor administrada con cada aplicación.
- La frecuencia con la que se administra el tratamiento.
- El momento (del día o de la semana) en el que se administra el tratamiento.

Actualmente se utilizan dos protocolos para los que se cuenta con datos de largo plazo:

- El protocolo de Malmö: Aplicaciones de 25–40 IU/kg, administradas tres veces a quienes tienen hemofilia A y dos veces a la semana a quienes tienen hemofilia B.
- El protocolo de Utrecht: Aplicaciones de 15–30 IU/kg, administradas tres veces a la semana a quienes tienen hemofilia A y dos veces a la semana a quienes tienen hemofilia B.

Factores que deben tenerse en cuenta al diseñar de un protocolo profiláctico:

- Edad a la que se inició la profilaxis
- Edad actual
- Acceso venoso
- Manifestaciones hemorrágicas
- Estado de las articulaciones
- Grado y horario de la actividad física
- Disponibilidad de concentrados de factor de coagulación
- tamaño(s) de las ampollitas de concentrados de factor de coagulación disponibles

En países con restricciones importantes de recursos, la administración de dosis profilácticas menores a intervalos más frecuentes (por ejemplo, de 10–15 IU/kg, 3 veces a la semana) podría ser una opción eficaz.

Si bien estos son los protocolos más ampliamente estudiados, todavía no se establecido un protocolo definitivo. (Véase también profilaxis personalizada, a continuación.)

## Profilaxis personalizada

Nos encontramos al inicio de una era en la que está siendo posible administrar tratamiento a un paciente de manera individual, en lugar de a su enfermedad. Para lograr una máxima eficacia, un protocolo profiláctico debería adaptarse a la persona con base en su edad, patrón hemorrágico, salud articular, grado y momento de la actividad física que practica, sus niveles de factor de coagulación, y su capacidad para apegarse al protocolo. Los regímenes profilácticos también deberían ser lo suficientemente flexibles para modificarse con el tiempo, dependiendo de los cambios en las circunstancias individuales del paciente.

Es probable que el conocimiento de la farmacocinética de un paciente, es decir, la manera en la que su cuerpo absorbe, distribuye y elimina un medicamento, ayude a personalizar la profilaxis, en combinación con otra información.

## Concentrados de larga duración

Se están diseñando nuevas fórmulas de concentrados de factor de coagulación con semividas más largas (permanecen en el cuerpo en concentraciones más elevadas durante periodos más largos) para mantener los niveles de concentrados de factor de coagulación en la sangre durante periodos más largos, lo cual significa que las aplicaciones necesarias para los mismos resultados serán menos o con menor frecuencia. La disponibilidad de estos medicamentos podría modificar la manera en la que se administra la profilaxis, ya que existe la posibilidad de incrementar la adopción de la profilaxis y mejorar la adherencia entre los pacientes, mejorando los resultados.

## MONITOREO DE RESULTADOS

---

Más de tres décadas de investigación han demostrado que la profilaxis continua es preferible a la terapia a demanda para reducir la frecuencia de las hemorragias y evitar o retrasar daños articulares.

Las personas con hemofilia que reciben profilaxis deberían someterse a un monitoreo periódico a fin de asegurar que se cumplan los objetivos de la terapia, así como para realizar cualquier ajuste necesario al plan de tratamiento. Estas valoraciones deberían incluir la evaluación de los siguientes elementos:

- Salud articular
- Frecuencia de las hemorragias
- Limitaciones en las actividades
- Integración psicosocial

Existen varias herramientas de valoración disponibles para medir y monitorear el estado y la función articular, los patrones hemorrágicos y la calidad de vida. Para obtener más información sobre herramientas de valoración de resultados consulte el Compendio en línea de herramientas de valoración de la FMH ([www.wfh.org/assessment\\_tools](http://www.wfh.org/assessment_tools)).

La aparición de inhibidores también debería vigilarse en todos los pacientes. La aparición de inhibidores es particularmente común en personas con hemofilia grave durante los primeros 75 tratamientos con concentrados de factor de coagulación. Más del 50% de los inhibidores aparece durante los primeros 15 días de exposición a los concentrados.

## CUÁNDO INICIAR Y CUÁNDO CESAR

---

Aun existen diversas opiniones sobre el mejor momento para iniciar y cesar la profilaxis.

El enfoque más rentable es iniciar la profilaxis de manera precoz a fin de preservar articulaciones normales. La profilaxis ha sido la norma de atención en muchos países europeos durante más de 50 años, aunque su elevado costo ha dificultado su adopción a gran escala.

El acceso a grandes cantidades de concentrados de factor de coagulación necesarias para la profilaxis es ciertamente un factor importante en la determinación de cuándo iniciar el tratamiento y durante cuánto tiempo continuarlo.

En países donde el tratamiento se encuentra fácilmente disponible, la mayoría concuerda en que la profilaxis debería iniciarse antes de presentarse un daño articular irreversible. Algunos médicos consideran que debería iniciarse después de la primera hemorragia articular o a partir de cierta edad (generalmente entre los 2 y 3 años). Otros recomiendan esperar hasta después de que se hayan presentado dos o más hemorragias.

En países con acceso limitado a concentrados de factor de coagulación, dosis menores administradas con mayor frecuencia podrían ser una opción eficaz. A fin de permitir un mayor acceso a la profilaxis son necesarios estudios de rentabilidad para determinar la dosis mínima eficaz y así maximizar el producto de tratamiento para el mayor número de pacientes.

Tampoco está claro si todos los pacientes deberían recibir profilaxis por tiempo indefinido hasta llegar a la edad adulta. Si bien algunos estudios indican que los adultos jóvenes pueden vivir bien con la profilaxis, se requiera más estudios antes de poder emitir una recomendación clara. Los pacientes con frecuencia deciden por sí mismos si continúan o no la profilaxis.

## BARRERAS Y DESAFÍOS

---

### Costo de los productos de tratamiento y acceso a los mismos

La principal barrera para la profilaxis a largo plazo es el costo del tratamiento. La profilaxis solo es posible si se asignan considerables recursos a la atención de la hemofilia. No obstante, es rentable a largo plazo porque elimina los elevados costos relacionados con el tratamiento subsecuente de articulaciones lesionadas, y mejora la calidad de vida.

Es muy importante recolectar y presentar pruebas científicas que justifiquen el elevado costo del tratamiento, aun en países que tradicionalmente invierten recursos considerables en el tratamiento de la hemofilia y donde la profilaxis se encuentra bien establecida.

En países con acceso limitado a concentrados de factor de coagulación, la profilaxis está fuera del alcance de la mayoría de los pacientes. No obstante, algunos países ahora están empezando a proporcionar profilaxis con dosis bajas a niños. La información de seguimiento de estos pacientes será muy importante para confirmar los efectos del tratamiento en sus articulaciones. Pacientes y proveedores de atención médica deben colaborar a fin de abogar por un programa nacional para la atención de la hemofilia y por la compra de cantidades suficientes de concentrados de factor de coagulación.

Los ajustes al protocolo profiláctico, tales como la administración de dosis menores de concentrados de factor con mayor frecuencia, también podrían ser una opción eficaz. Se requieren estudios de costo-efectividad diseñados para identificar dosis mínimas, con el objeto de permitir el acceso a la profilaxis en todo el mundo.

### Acceso venoso

La profilaxis requiere inyecciones frecuentes y puede resultar difícil encontrar venas adecuadas en niños con hemofilia muy pequeños.

El implante de un dispositivo de acceso venoso (por ejemplo, el de marca Port-A-Cath) puede facilitar considerablemente las aplicaciones y podría ser necesario para administrar la profilaxis a niños pequeños. No obstante, existen riesgos relacionados con el uso de estos dispositivos, entre ellos riesgo de infección local y la formación de coágulos sanguíneos que podrían causar obstrucciones. Dichos riesgos necesitan valorarse frente a las ventajas del inicio precoz de la profilaxis intensiva. En el 70% de los niños, la profilaxis precoz es posible sin necesidad de dispositivos de acceso venoso. Una opción importante es el inicio de la profilaxis una vez a la semana, que no requiere el implante de un catéter, lo que facilita la aceptación del tratamiento por parte de los pacientes y sus familiares.

## Adherencia

La adherencia (o el cumplimiento) de un régimen de medicamentos generalmente se define como el grado en que los pacientes toman sus medicamentos de la manera en la que se los recetaron sus proveedores de atención médica. Según la Organización Mundial de la Salud, los porcentajes de adherencia de cualquier tratamiento farmacológico varían entre 15% y 93%, con un porcentaje promedio calculado en 50%.

La adherencia de los protocolos de profilaxis es indispensable para su éxito. La profilaxis es más eficaz si los niveles de factor se mantienen continuamente por arriba del nivel objetivo. Olvidar o saltarse una dosis puede provocar que los niveles de factor de coagulación descendan por debajo de dicho objetivo, lo que aumenta el riesgo de hemorragias. La hemorragia que ocurre mientras un paciente se encuentra en tratamiento profiláctico se conoce como “hemorragia intraterapéutica”.

Por lo anterior, pacientes y proveedores de atención médica deben colaborar a fin de asegurarse de que la persona con hemofilia y sus familiares puedan seguir el protocolo. La observancia del protocolo por parte del paciente debería evaluarse periódicamente durante visitas médicas, y siempre que sea posible buscar estrategias para mejorar la adherencia, entre ellas cambios al protocolo.

*Para obtener información más completa sobre la profilaxis visite la página Internet de la Federación Mundial de Hemofilia en [www.wfh.org](http://www.wfh.org).*



**FMH**

**50**

ANOS MEJORANDO EL  
TRATAMIENTO PARA TODOS

FEDERACIÓN MUNDIAL DE HEMOFILIA  
Fédération mondiale de l'hémophilie  
World Federation of Hemophilia

1425 René Lévesque Boulevard West  
Suite 1010  
Montréal, Québec H3G 1T7  
CANADA

Tel.: (514) 875-7944

Fax: (514) 875-8916

Correo electrónico: [wfh@wfh.org](mailto:wfh@wfh.org)

Página Internet: [www.wfh.org](http://www.wfh.org)