



SDM

HERRAMIENTA DE LA FMH PARA
LA TOMA DECISIONES COMPARTIDA



FEDERACIÓN MUNDIAL DE HEMOFILIA
FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HÉMOPHILIE
WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA

REFERENCIAS

ARTÍCULOS DE REVISIÓN

Krumb, E. and Hermans, C. [Living with a "hemophilia-free mind" - The new ambition of hemophilia care?](#) *Res Pract Thrombosis Haemostasis*; 2021; 5, e12567.

Srivastava, A et al. [WFH Guidelines for the Management of Hemophilia](#), 3rd edition. *Haemophilia* 2020; 26, 1-158.

Weyand AC, Pipe SW. [New therapies for hemophilia](#). *Blood* 2019; 133:389-398.

TERAPIA DE REEMPLAZO CON FACTOR DE COAGULACIÓN

Productos de VME aprobados para la hemofilia A

ADVATE	FDA	EMA	Health Canada
Kogenate FS	FDA		
KOVALTRY	FDA	EMA	
Novoeight	FDA	EMA	
NUWIQ	FDA	EMA	Health Canada
XYNTHA/ReFacto AF	FDA	EMA	Health Canada

Productos de VMP aprobados para la hemofilia A

ADYNOVATE/ADYNOVI	FDA	EMA	Health Canada
ELOCTATE/Elocta	FDA	EMA	Health Canada
ESPEROCT	FDA	EMA	Health Canada
JIVI	FDA	EMA	Health Canada

Productos de VMU aprobados para la hemofilia A

ALTUVIIIIO	FDA		
------------	---------------------	--	--

Productos de VME aprobados para la hemofilia B

BeneFIX	FDA	EMA	Health Canada
IXINITY	FDA		
RIXUBIS	FDA	EMA	Health Canada

Productos de VMP aprobados para la hemofilia B

ALPROLIX	FDA	EMA	Health Canada
IDELVION	FDA	EMA	Health Canada
REBINYN/Refixia	FDA	EMA	Health Canada

TERAPIA CON ANTICUERPO BIESPECÍFICO

Productos aprobados

HEMLIBRA (Emicizumab)

[FDA](#)

[EMA](#)

[Health Canada](#)

Estudios de fase 3

Estudios de fase 3 en curso para Mim8: NCT05053139, NCT05306418, NCT05685238, y NCT05878938.

TERAPIA DE REEQUILIBRIO HEMOSTÁTICO

Productos aprobados

Alhemo (Concizumab)

[Health Canada](#)

Matsushita, T. et al. [Phase 3 Trial of Concizumab in Hemophilia with Inhibitors](#). N. Engl. J. Med. 389, 783-794 (2023).

Estudios de fase 3

Young G et al. [Efficacy and safety of fitusiran prophylaxis in people with haemophilia A or haemophilia B with inhibitors \(ATLAS-INH\): a multicentre, open-label, randomised phase 3 trial](#). *Lancet* 2023; 401:1427-1437.

Srivastava, A et al. [Fitusiran prophylaxis in people with severe haemophilia A or haemophilia B without inhibitors \(ATLAS-A/B\): a multicentre, open-label, randomised, phase 3 trial](#). *Lancet Haematol.* 2023; 10, e322-e332.

Pfizer. [Pfizer Announces Positive Marstacimab Results from Pivotal Phase 3 Hemophilia A and B Trial](#). 30 de mayo de 2023.

TERAPIA GÉNICA EN GENERAL

Konkle BA et al. [World Federation of Hemophilia Gene Therapy Registry](#). *Haemophilia* 2020;26:563-564.

Miesbach W, Klamroth R. [The Patient Experience of Gene Therapy for Hemophilia: Qualitative Interviews with Trial Patients](#). *Patient Prefer Adherence* 2020; 14:767-770.

Pierce GF, Iorio A. [Past, present and future of haemophilia gene therapy: From vectors and transgenes to known and unknown outcomes](#). *Haemophilia* 2018; 24 Suppl 6:60-67.

Wang M et al. [The Hemophilia Gene Therapy Patient Journey: Questions and Answers for Shared Decision-Making](#). *Patient Prefer Adherence* 2022; 16:1439-1447.

TERAPIA GÉNICA PARA LA HEMOFILIA A

Productos aprobados

ROCTAVIAN

[FDA](#)

[EMA](#)

Estudios clínicos clave

Mahlangu J et al. [Two-Year Outcomes of Valoctocogene Roxaparovec Therapy for Hemophilia A](#). *N Engl J Med* 2023; 388:694-705.

Ozelo MC et al. [Valoctocogene Roxaparovec Gene Therapy for Hemophilia A](#). *N Engl J Med* 2022; 386:1013-1025.

TERAPIA GÉNICA PARA LA HEMOFILIA B

Productos aprobados

HEMGENIX

[FDA](#)

[EMA](#)

[Health Canada](#)

BEQVEZ

[Health Canada](#)

Estudios clínicos clave

Pipe SW et al. [Gene Therapy with Etranacogene Dezaparovec for Hemophilia B](#). *N Engl J Med* 2023; 388:706-718.

Última revisión: Marzo de 2024

Este es un documento vivo que se actualizará dos veces por año calendario con nuevas pruebas científicas. Las fechas de corte son el 30 de junio y el 31 de diciembre, y las actualizaciones tendrán lugar en los meses siguientes, Cualquier nueva prueba que surja después de estas fechas de corte se incluirá en la siguiente actualización.