



SDM

HERRAMIENTA DE LA FMH PARA
LA TOMA DECISIONES COMPARTIDA

TERAPIAS DE REEMPLAZO CON FACTOR DE COAGULACIÓN

TERAPIAS DE REEMPLAZO CON FACTOR DE COAGULACIÓN

¿Qué son las terapias de reemplazo con factor de coagulación?

Las terapias de reemplazo con factor de coagulación constituyen un tratamiento profiláctico para las hemofilias A y B. Las terapias de reemplazo con factor de coagulación proporcionan el factor VIII o factor IX faltantes, lo cual permite a la sangre coagular eficazmente. Estas terapias también pueden usarse para el tratamiento a pedido.

Las terapias de reemplazo con factor de coagulación ofrecen un incremento de corto plazo en los niveles de factor al inyectar la proteína de factor de coagulación necesaria. El cuerpo no produce este factor de reemplazo; por tanto, los efectos son temporales y las inyecciones deben administrarse periódicamente a fin de mantener niveles de factor de coagulación eficaces y prevenir hemorragias (tratamiento profiláctico) o según sea necesario para detener hemorragias (tratamiento a pedido). La frecuencia de administración recomendada para el tratamiento profiláctico varía según los productos.

¿Cuáles son los diferentes tipos de terapias de reemplazo con factor?

Los tres tipos de terapias de reemplazo con factor de coagulación son los de vida media estándar (VME), los de vida media prolongada (VMP), y los de vida media ultraprolongada (VMU; exclusivamente para la hemofilia A). Después de la inyección de la terapia de reemplazo con factor de coagulación, los niveles de factor se incrementan inmediatamente, pero disminuyen en el transcurso de los siguientes días. La vida media se refiere al tiempo que tarda el factor de coagulación de reemplazo en disminuir a la mitad dentro del cuerpo.

Hay muchos medicamentos diferentes de VME y de VMP disponibles para el tratamiento tanto de la hemofilia A como de la hemofilia B. La terapia de reemplazo con factor de coagulación más recientemente aprobada para el tratamiento de la hemofilia A es una terapia de VMU, el efanesoctocog alfa que tiene una vida media de 3 a 4 veces más larga en comparación con otras terapias de reemplazo con FVIII, por lo que se requiere tratamiento menos frecuente.¹ Esta vida media más larga proporciona una actividad del FVIII de leve a normal entre tratamientos y algunas veces se denomina terapia con "factor de larga duración" (HSF por su sigla en inglés).



¿Cuál es la diferencia entre el mecanismo de acción de las terapias de reemplazo con factor de coagulación y otros tratamientos para la hemofilia?

Los principales tipos de tratamiento para la hemofilia son la terapia de reemplazo con factor de coagulación; la terapia con anticuerpos biespecíficos; la terapia con agentes reequilibrantes; y la terapia génica. Todos estos tratamientos ayudan a la sangre a coagular más eficientemente, pero funcionan de maneras diferentes.

Las terapias de reemplazo con factor de coagulación incrementan temporalmente los niveles de factor, al inyectarse la proteína de factor de coagulación necesaria directamente a la sangre de una persona con hemofilia.

Los anticuerpos biespecíficos son proteínas en forma de Y que funcionan como un puente entre el factor IXa y el factor X, lo que ayuda a la sangre a coagular más eficientemente. El puente que forma este anticuerpo imita la función del factor VIII activado faltante (por lo que se le denomina mimético del factor VIIIa).

Las terapias con agentes reequilibrantes restauran el equilibrio alterado entre los niveles de los factores anticoagulación (es decir, anticoagulantes) y de los factores de coagulación en la sangre (es decir, coagulantes), con lo cual se mejora la coagulación de la sangre.

La terapia génica transfiere una copia funcional del gene del factor de coagulación faltante. Una vez que se transfiere el gene, el cuerpo puede producir la proteína faltante y mantener niveles adecuados de factor de coagulación por sí mismo, durante un periodo prolongado.

TRATAMIENTO CON TERAPIAS DE REEMPLAZO CON FACTOR DE COAGULACIÓN

¿Quién es elegible para usar terapias de reemplazo con factor?

Adultos y niños con hemofilia A o B que no presentan inhibidores son elegibles para recibir terapia de reemplazo con factor de coagulación.¹

¿Cómo se administran las terapias profilácticas de reemplazo con factor de coagulación?

Las terapias de reemplazo con factor de coagulación se administran mediante una inyección en la vena. La inyección generalmente tarda de 5 a 10 minutos y puede aplicarse en el hogar o en la clínica.

¿Cuál es la frecuencia del tratamiento para las terapias profilácticas de reemplazo con factor de coagulación?

El objetivo del tratamiento profiláctico con terapias de reemplazo con factor de coagulación es mantener niveles de factor de coagulación suficientes para prevenir hemorragias. La frecuencia y dosificación de la infusión dependerá de las necesidades específicas de la persona, de la gravedad de su hemofilia, y del tipo de producto utilizado. La terapia de reemplazo con factor de coagulación debe inyectarse periódicamente a fin de mantener elevados los niveles de factor y prevenir hemorragias. En el caso de la hemofilia A, la terapia de VME generalmente se administra de 2 a 4 veces por semana; la terapia de VMP generalmente se administra 2 veces por semana, y la terapia de VMU se administra una vez por semana.¹ En el caso de la hemofilia B, las terapias de VME y de VMP generalmente se administran de 1 a 2 veces por semana.

¿Pueden usarse las terapias de reemplazo con factor de coagulación en combinación con otros tratamientos para la hemofilia?

Sí, las terapias de reemplazo con factor de coagulación pueden usarse en combinación con otros tratamientos para la hemofilia.¹

EFICACIA DE LAS TERAPIAS DE REEMPLAZO CON FACTOR DE COAGULACIÓN

¿Cómo incidirán en los niveles de factor de coagulación?

Los niveles de factor de coagulación se incrementarán inmediatamente después del tratamiento, disminuirán rápidamente, y volverán a sus valores iniciales unos días después si no se repitiera el tratamiento. La rápida disminución de los niveles de factor requiere tratamiento periódico a fin de mantener elevados los niveles de factor. Al tiempo que tarda el factor de coagulación de reemplazo en reducirse a la mitad se le conoce como "vida media". Las terapias de reemplazo de VMP y de VMU permanecen más tiempo en la sangre y por tanto se requieren dosis menos frecuentes para mantener niveles adecuados de factor.¹ Se ha demostrado que las terapias de VMU mantienen niveles de factor casi normales durante cuatro días después del tratamiento.

¿Cómo afectarán las terapias de reemplazo con factor de coagulación mi tasa anual de hemorragias?

Cualquier tipo de tratamiento profiláctico periódico probablemente reducirá su tasa anual de hemorragias. La tasa anual de hemorragias se calcula como la suma de todas las hemorragias sufridas durante un periodo de 12 meses y depende en gran parte de factores individuales, tales como edad, historial hemorrágico previo, actividad física, estilo de vida, régimen de dosificación, y cumplimiento del mismo. Generalmente se presenta como un promedio (es decir, la media) o la mediana (el valor medio dentro del conjunto de datos). En ensayos clínicos en adultos con hemofilia, la mediana de las tasas anuales de hemorragias con terapias de factor de coagulación de VME fueron de 0 a 2 para la hemofilia A, y de 1 a 2 para la hemofilia B.¹ La mediana de las tasas anuales de hemorragias reportada con terapias de factor de coagulación de VMP fue de 1 a 2 para la hemofilia A y para la hemofilia B.¹ La terapia con factor de coagulación de VMU, el efanesoctocog alfa, solamente está disponible para la hemofilia A y la mediana de la tasa anual de hemorragias reportada es de 0; 55% de los pacientes presentó cero hemorragias y 64% de los pacientes presentó cero hemorragias que recibieron tratamiento.¹

SEGURIDAD DE LAS TERAPIAS DE REEMPLAZO CON FACTOR DE COAGULACIÓN

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de las terapias de reemplazo con factor de coagulación?

Los efectos secundarios más comunes de las terapias de reemplazo con factor de coagulación abarcan reacciones en el sitio de la inyección y reacciones alérgicas. Los efectos secundarios reportados varían dependiendo del medicamento.

¿Existen efectos secundarios graves conocidos?

Uno de los efectos secundarios más importantes relacionados con la terapia de reemplazo de factor de coagulación es la posibilidad de aparición de inhibidores, los cuales son anticuerpos que pueden unirse a los factores de coagulación de reemplazo y neutralizarlos. Los inhibidores pueden reducir la eficacia del tratamiento e incrementar el riesgo de hemorragia. Los inhibidores se presentan en aproximadamente 20–30% de personas con hemofilia A que no ha recibido tratamiento anteriormente, y en 3–5% de personas con hemofilia B que no ha recibido tratamiento anteriormente.² Se desconoce la tasa de aparición de inhibidores después de la terapia de VMU.

MONITOREO Y SEGUIMIENTO DESPUÉS DEL TRATAMIENTO CON TERAPIAS DE REEMPLAZO CON FACTOR DE COAGULACIÓN

¿Con qué frecuencia será necesario el seguimiento y el monitoreo para las terapias de reemplazo con factor de coagulación?

Como en el caso de todos los demás tratamientos para la hemofilia se recomienda el seguimiento periódico por parte de su equipo de atención médica. Debería realizarse una revisión clínica anualmente y según sea necesario.

¿Qué ocurrirá en caso de hemorragia, lesión o cirugía?

Su equipo de atención médica colaborará con usted a fin de crear un plan personalizado para el tratamiento de cualquier hemorragia, lesión o cirugía mientras recibe tratamiento profiláctico con terapias de reemplazo con factor de coagulación. Es probable que esto abarque dosis adicionales de factor de coagulación, otros medicamentos, y/o fisioterapia para el tratamiento de la hemorragia y el dolor.

Si necesitara someterse a cirugía, su equipo de atención médica controlará cuidadosamente su tratamiento a fin de garantizar que usted cuente con suficiente factor de coagulación para el procedimiento. Esto podría implicar incrementar la dosis de su terapia de reemplazo con factor de coagulación antes y después de la cirugía.

TRATAMIENTO CON TERAPIA DE REEMPLAZO DE FACTOR DE COAGULACIÓN EN NIÑOS Y ADOLESCENTES

¿Está aprobado el uso de terapias de reemplazo de factor de coagulación para niños y adolescentes?

Sí. La mayoría de los medicamentos de factor de coagulación de VME, VMP y VMU está aprobada para el tratamiento profiláctico y a pedido de bebés, niños y adolescentes.

¿Existe alguna consideración particular para el tratamiento de niños con terapias de reemplazo de factor de coagulación?

Bebés, niños y adolescentes tienden a eliminar más rápidamente el fármaco de su cuerpo. Por tanto, en el caso de muchos medicamentos de VME y de VMP, niños y adolescentes podrían requerir ya sea una mayor dosis de tratamiento o una mayor frecuencia de tratamiento. Esto debería abordarse con su equipo de atención médica. El tratamiento pediátrico con la terapia de VMU, el efanesoctocog alfa, no requiere ajustes de dosis o frecuencia en pacientes más jóvenes.

1 Información farmacológica de productos de VME, VMP y VMU aprobados por las agencias FDA y EMA.

2 Srivastava, A, Santagostino, E, Dougall, A, et al. *WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition*. Haemophilia. 2020; 26(Suppl 6): 1–158.

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