



SDM

HERRAMIENTA DE LA FMH PARA
LA TOMA DE DECISIONES COMPARTIDA

TERAPIAS CON ANTICUERPO BIESPECÍFICO

TERAPIAS CON ANTICUERPO BIESPECÍFICO

¿Qué son las terapias con anticuerpo biespecífico?

Las terapias con anticuerpo biespecífico son terapias sin factor de reemplazo y se utilizan para el tratamiento de la hemofilia A.

Los anticuerpos biespecíficos son proteínas en forma de Y que pueden unirse selectivamente a otras proteínas. Los anticuerpos biespecíficos pueden unirse a dos diferentes proteínas al mismo tiempo. En la hemofilia A, el anticuerpo funciona como un puente entre dos importantes proteínas del cuerpo, el factor IXa (9a) y el factor X (10), lo que ayuda a la sangre a coagular más eficazmente; esto imita la función del factor VIII (8) activado faltante y, por tanto, estas terapias también se conocen como miméticos del factor VIIIa.

¿Cuáles son los diferentes tipos de terapias con anticuerpo biespecífico?

Está aprobada una terapia con anticuerpo biespecífico, el emicizumab, un mimético del factor VIIIa, para el tratamiento de la hemofilia A.¹ El Mim8 es otro mimético del factor VIIIa que se encuentra en ensayos clínicos de fase 3.²

¿Cuál es la diferencia entre el mecanismo de acción de los anticuerpos biespecíficos 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.



Terapia con anticuerpo biespecífico

TRATAMIENTO CON TERAPIAS DE ANTICUERPO BIESPECÍFICO

¿Quién es elegible para usar anticuerpos biespecíficos? Los anticuerpos biespecíficos funcionan imitando los efectos de factor VIII activado y por tanto solamente están disponibles para personas con hemofilia A. El emicizumab está aprobado para personas con inhibidores del factor VIII, y para personas sin inhibidores con enfermedad grave (actividad del FVIII <1%) o moderada (actividad del FVIII entre 1 y 5%) con fenotipo hemorrágico grave.¹ El emicizumab puede usarse para todos los grupos etarios (desde recién nacidos hasta adultos).

¿Cómo se administran las terapias profilácticas con anticuerpo biespecífico? Las terapias con anticuerpo biespecífico se administran mediante inyección subcutánea directamente bajo la piel; no hay necesidad de encontrar una vena. La inyección tarda aproximadamente un minuto y puede aplicarse en el hogar o en la clínica.

¿Cuál es la frecuencia del tratamiento para las terapias profilácticas con anticuerpo biespecífico? El tratamiento profiláctico con emicizumab se administra cada 1, 2 o 4 semanas, dependiendo de su preferencia personal.¹ Existe un periodo inicial de dosis de carga (4 semanas) durante el cual el tratamiento se administra de manera semanal.

¿Pueden usarse las terapias con anticuerpo biespecífico en combinación con otros tratamientos para la hemofilia? En algunos casos podrían ser necesarias terapias adicionales (terapia de reemplazo con factor de coagulación o agentes de desvío), particularmente durante hemorragias intraterapéuticas traumáticas o procedimientos quirúrgicos. Esto debería abordarse con su equipo de atención médica.

EFICACIA DE LAS TERAPIAS CON ANTICUERPO BIESPECÍFICO

¿Cómo incidirán en los niveles de factor de coagulación? Los anticuerpos biespecíficos no modifican los niveles de factor de coagulación. Los estudios demuestran que el efecto de las terapias miméticas del factor VIIIa es similar a tener hemofilia leve.

¿Cómo afectarán las terapias con anticuerpo biespecífico mi tasa anual de hemorragias? Cualquier tipo de tratamiento profiláctico periódico probablemente reducirá su tasa anual de hemorragias. Los ensayos clínicos para el emicizumab reportaron una mediana de 1.5 para la tasa anual de hemorragias en el caso de pacientes que recibieron 1.5 mg/kg cada semana, y de 1.3 en el caso de pacientes que recibieron 3 mg/kg cada dos semanas; 55.6% y 60% de los pacientes reportaron cero hemorragias.¹

SEGURIDAD DE LAS TERAPIAS CON ANTICUERPO BIESPECÍFICO

¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de las terapias con anticuerpo biespecífico?

Los efectos secundarios más comunes reportados con el emicizumab abarcan reacciones en el sitio de la inyección, dolor de cabeza, y dolor articular (artralgia), los cuales se presentaron en alrededor de 1 de cada 10 pacientes.

¿Existen efectos secundarios graves o riesgos a largo plazo conocidos?

No se han detectado riesgos de seguridad importantes con emicizumab cuando se utiliza para el tratamiento de la hemofilia A sin inhibidores. Sin embargo, en personas con inhibidores existe el riesgo de eventos tromboembólicos (coágulos sanguíneos en venas o arterias) graves y que pudieran poner en peligro la vida cuando se utiliza en combinación con un concentrado de complejo protrombínico activado.¹

MONITOREO Y SEGUIMIENTO DESPUÉS DEL TRATAMIENTO CON TERAPIA DE ANTICUERPO BIESPECÍFICO

¿Con qué frecuencia será necesario el seguimiento y el monitoreo para las terapias con anticuerpo biespecífico?

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?

En caso de hemorragia, lesión, o de un procedimiento quirúrgico planificado podrían ser necesarios tratamientos adicionales. Esto debería abordarse con su equipo de atención médica.

TERAPIAS CON ANTICUERPOS BIESPECÍFICOS PARA NIÑOS Y ADOLESCENTES

¿Está aprobado el uso de las terapias con anticuerpo biespecífico para niños y adolescentes?

Sí. Los anticuerpos biespecíficos están aprobados para usarse en pacientes pediátricos, entre ellos recién nacidos y niños mayores, con o sin inhibidores del factor VIII.

¿Existe alguna consideración particular para el tratamiento de niños con terapias con anticuerpo específico?

La seguridad y la eficacia de los anticuerpos biespecíficos generalmente son las mismas entre pacientes adultos y pediátricos. No hay consideraciones de tratamiento adicionales para niños y adolescentes.

1 Hemlibra Prescribing Information. Disponible en: https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2024/761083s018lbl.pdf.

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

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