

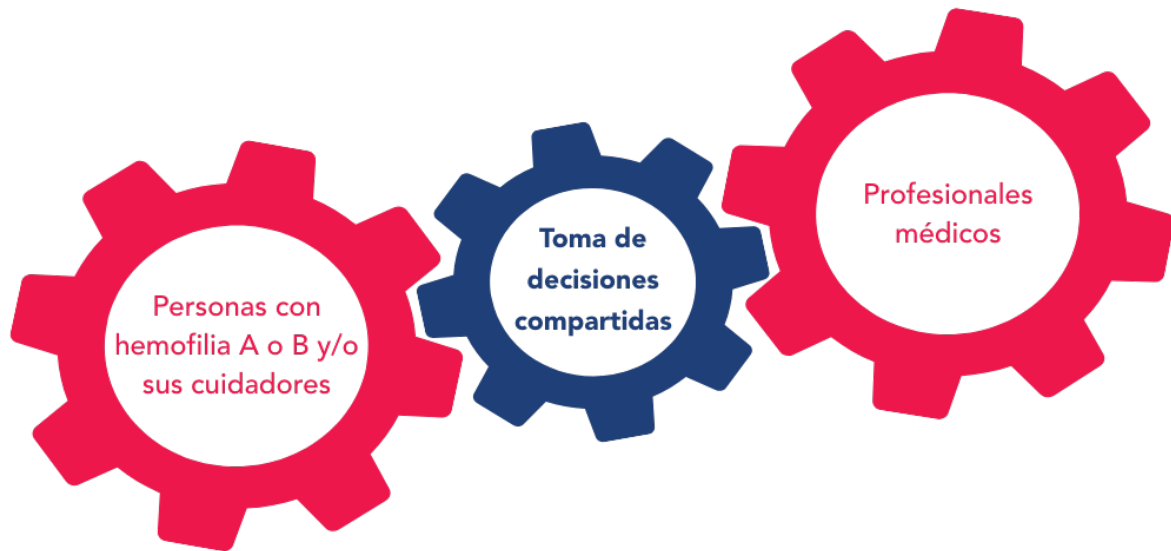


Herramienta y cuaderno de trabajo de la FMH para la toma de decisiones compartidas: Toma de decisiones compartidas en el tratamiento y la atención de la hemofilia

*Quando las personas con hemofilia y los médicos
toman decisiones juntos*



Tratamiento y atención de la hemofilia: La herramienta de la FMH para la toma de decisiones compartidas



La Herramienta y el cuaderno de trabajo de la FMH para la toma de decisiones compartidas (SDM por su sigla en inglés) se crearon para personas con hemofilia A o B y sus equipos de atención médica. Definen las mejores prácticas para la toma de decisiones compartidas en el tratamiento y la atención de la hemofilia, y ofrecen una guía para personas con hemofilia, sus cuidadores y profesionales médicos a fin de facilitar la toma de decisiones compartidas exitosas.

La herramienta en línea y el cuaderno de trabajo interactivo de la FMH para la toma de decisiones compartidas fueron diseñados por un grupo de trabajo colaborativo y diverso de personas con hemofilia, médicos, defensores de pacientes y otras partes interesadas con experiencia en el tratamiento, el manejo y la atención de la hemofilia. El diseño lo encabezó la Federación Mundial de Hemofilia con financiamiento de BioMarin Pharmaceutical Inc., CSL Behring, Novo Nordisk, Pfizer y Spark Therapeutics.

Este cuaderno de trabajo no constituye asesoría médica. El propósito del contenido aquí ofrecido es informar a personas con hemofilia, a sus cuidadores y equipos de atención médica sobre los tratamientos para la hemofilia. Nada de lo aquí incluido debería considerarse o usarse como sustituto de la asesoría, el diagnóstico o el tratamiento médicos. Usted siempre debería hablar con su proveedor de atención médica para obtener diagnóstico y tratamiento que atienda sus necesidades médicas específicas. Ninguna información o instrucción ofrecidas en este cuaderno de trabajo manifiesta o garantiza que algún producto sea seguro, adecuado o eficaz para usted. Recomendamos a los usuarios buscar la asesoría de un médico o de otro proveedor de atención médica calificado si tuvieran cualquier pregunta sobre su salud personal o problemas médicos.

Este es un documento vivo que se actualizará dos veces por año con nuevas pruebas médicas. Las fechas de corte para nuevos datos o pruebas serán el 30 de junio y el 31 de diciembre y las actualizaciones se realizarán en los meses siguientes. Cualquier nueva prueba después de las fechas de corte se incluirá en la actualización subsecuente.

Índice

Información sobre la hemofilia	4
¿Qué es la hemofilia?	4
Vivir con hemofilia	4
¿Cuáles son los niveles de gravedad de la hemofilia?	4
Comprender la toma de decisiones compartidas	5
¿Qué es la toma de decisiones compartidas?	5
¿Por qué es importante la toma de decisiones compartidas?	5
La importancia de la toma de decisiones compartidas en el manejo y el tratamiento de la hemofilia	5
El proceso del paciente para la toma de decisiones compartidas: Guía paso a paso	6
Cómo le puede ayudar este cuaderno de trabajo y la herramienta en línea de la FMH para la toma de decisiones compartidas	6
Paso 1: Reflexionar sobre sus objetivos de vida y su tratamiento actual	7
Pasos 2 y 3: Conocer y comparar sus opciones de tratamiento	9
Terapia de reemplazo con factor de coagulación	10
Terapia con anticuerpo biespecífico (hemofilia A)	12
Terapia de reequilibrio hemostático	13
Terapia génica	14
Paso 4: Conversar con otras personas	16
Paso 5: Prepararse para las visitas a su proveedor de atención médica	17
Paso 6: Sostener una conversación abierta y significativa con su equipo de atención médica	18
Paso 7: Tomarse su tiempo para considerar sus opciones	18
Paso 8: Reunirse con su equipo de atención médica para tomar o confirmar una decisión acerca de su tratamiento	18
Más información	23
Recursos sobre toma de decisiones compartidas	23
Referencias	23

A Información sobre la hemofilia

¿Qué es la hemofilia?

Las hemofilias A y B son trastornos de la coagulación genéticos o adquiridos provocados por la falta de factor de coagulación VIII (FVIII o F8) en la hemofilia A o de factor IX (FIX o F9) en la hemofilia B o por un defecto en los mismos. La ausencia de un factor de coagulación funcional genera un aumento del tiempo de sangrado. La hemofilia se considera una enfermedad poco común, con una prevalencia mundial calculada en aproximadamente 1 en 100,000 personas para la hemofilia A y 1 en 50,000 personas para la hemofilia B. Con los tratamientos actualmente disponibles y la observancia adecuada de los mismos, las personas que hoy nacen con hemofilia pueden llevar vidas sanas y tener una expectativa de vida normal. No obstante, el acceso al tratamiento adecuado varía a escala mundial y es subóptimo en la mayoría de los países del mundo.¹

¿Cuáles son los niveles de gravedad de la hemofilia?

Hay tres niveles de gravedad de la hemofilia: Leve, moderada y grave.¹ El nivel se mide como el porcentaje de actividad normal del factor en la sangre, o como el número de unidades internacionales (UI) por mililitro (mL) de sangre entera. El rango normal de factor VIII o IX en la sangre es de 40% a 150%. Se considera que las personas con niveles de actividad de factor menores a 40% tienen hemofilia. En personas en las que su patrón de hemorragias no concuerda con su nivel basal de factor, sus síntomas hemorrágicos se antepondrán a sus niveles de factor al considerar las opciones de tratamiento.

Mi nivel de factor es:

Vivir con hemofilia

Las personas con hemofilia pueden presentar hemorragias dentro o fuera del cuerpo. En casos de hemofilia, la mayoría de las hemorragias son internas, en músculos o articulaciones. Los sitios más comunes de hemorragias son tobillos, rodillas y codos. Las hemorragias musculares más comunes se presentan en los músculos del brazo y el antebrazo, en el grupo muscular iliopsoas (flexores de la cadera), y en los músculos del muslo y la pantorrilla, en las piernas.¹ Las hemorragias repetidas en la misma articulación pueden causar otros problemas, tales como dolor y artritis.

Gravedad	Concentración de factor de coagulación	Episodios hemorrágicos
Hemofilia leve	5% a < 40% de la concentración normal (o 0.05 - 0.40 UI/mL)	<ul style="list-style-type: none"> Podría sangrar durante mucho tiempo después de cirugías, extracciones dentales o lesiones muy serias Hemorragias poco probables a menos que exista una lesión (rara vez hay hemorragias espontáneas)
Hemofilia moderada	1% a 5% de la concentración normal (o 0.01 - 0.05 UI/mL)	<ul style="list-style-type: none"> Podría sangrar durante mucho tiempo después de cirugías, extracciones dentales o lesiones serias Podría sangrar sin motivo aparente (hemorragias espontáneas ocasionales).
Hemofilia grave	< 1% de la concentración normal (o < 0.01 UI/mL)	<ul style="list-style-type: none"> Hemorragias frecuentes en articulaciones y algunas veces en músculos. Podría sangrar sin motivo aparente (hemorragias espontáneas).

*Adaptado del Cuadro 2-1 de la 3a edición de las Guías de la FMH para el tratamiento de la hemofilia.

B Comprender la toma de decisiones compartidas

¿Qué es la toma de decisiones compartidas?

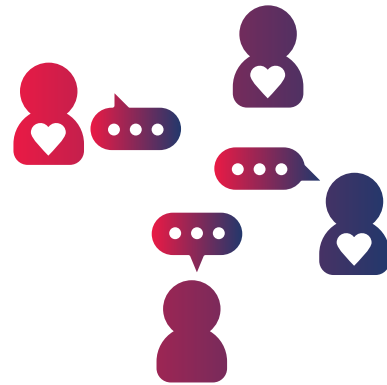
La toma de decisiones compartidas (shared decision-making o SDM por su sigla en inglés) es un proceso mediante el cual usted y su equipo de atención médica colaboran a fin de tomar una decisión sobre la atención y el tratamiento de su hemofilia. Usted debería tomar su decisión luego de una cuidadosa consideración y conversación en torno a los siguientes temas:

- 🔹 Sus objetivos de vida y la manera en la que se ven afectados por su hemofilia.
- 🔹 Sus preferencias de tratamiento.
- 🔹 Las terapias disponibles para usted.
- 🔹 La información disponible para cada tipo de terapia.

¿Por qué es importante la toma de decisiones compartidas?

La toma de decisiones compartidas permite que la relación entre el paciente y el equipo de atención médica se convierta en una alianza. Cuando los pacientes tienen una participación igualitaria en las decisiones sobre su atención médica:

- 🔹 El paciente y el equipo de atención médica tienen una comprensión clara de lo que es importante para cada uno.
- 🔹 Los pacientes se sienten más capacitados para tomar decisiones documentadas.
- 🔹 Los pacientes están más comprometidos con su tratamiento.
- 🔹 Hay una mejoría en la observancia del tratamiento, en la satisfacción con el mismo, y en la calidad de la atención médica a largo plazo.



La importancia de la toma de decisiones compartidas en el manejo y el tratamiento de la hemofilia

La importancia de la perspectiva del paciente en el manejo y el tratamiento de la hemofilia se ha incrementado de manera sostenida. Las personas con hemofilia se convierten en miembros cada vez más activos de su propio equipo médico, así como en miembros activos de actividades de investigación clínica, y de iniciativas de formación y capacitación médicas. Asimismo, el creciente número de opciones de tratamiento ha generado la necesidad de encontrar formas de personalizar y optimizar los planes de tratamiento a fin de ajustarse a las preferencias individuales de los pacientes.¹ Al emprender el proceso de toma de decisiones compartidas, recuerde lo siguiente:

- 🔹 La atención y el apoyo que reciba deben tomar en cuenta sus objetivos de vida y sus preferencias de tratamiento.
- 🔹 Usted tiene derecho a participar en la conversación y a tomar decisiones sobre su tratamiento y atención.
- 🔹 Debería sentirse empoderado(a) para aclarar cuestiones relacionadas con su tratamiento.
- 🔹 Es importante que su plan de tratamiento se renueve y revise periódicamente, particularmente cuando cambien las circunstancias de su vida o las opciones de tratamiento.

C

El proceso del paciente para la toma de decisiones compartidas: Guía paso a paso

Este cuaderno de trabajo y la herramienta en línea de la FMH para la toma de decisiones compartidas (SDM por su sigla en inglés) se diseñaron con el propósito de orientar y apoyar a personas con hemofilia A o B y a sus cuidadores en la recolección de información para que puedan tener conversaciones más significativas y colaborativas con su equipo de atención médica. Usted puede usar este cuaderno de trabajo por sí solo o junto con la herramienta en línea de la FMH para la toma de decisiones compartidas. Después de usar este cuaderno y de hablar con su equipo de atención médica usted podría decidir continuar con su tratamiento actual, modificar su tratamiento actual, cambiar a un tratamiento nuevo o continuar aprendiendo acerca de sus opciones. Este cuaderno de trabajo y la herramienta en línea de la FMH para la toma de decisiones compartidas se actualizarán a medida que haya nueva información y tratamientos disponibles.

Este cuaderno de trabajo y la herramienta en línea de la FMH para la toma de decisiones compartidas le ayudarán a lo siguiente:

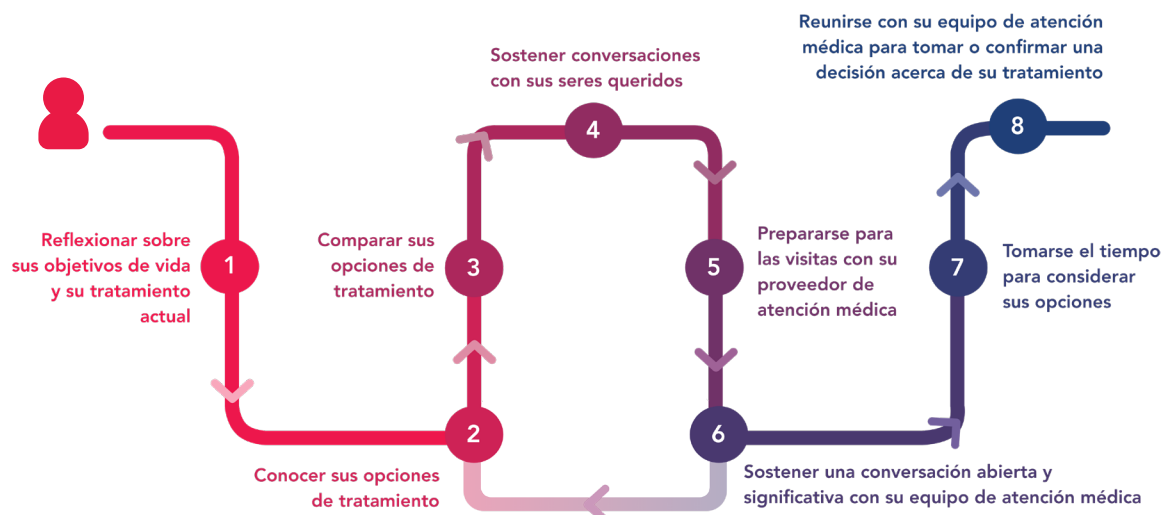
- 🔹 A tomarse su tiempo para reflexionar sobre su vida con hemofilia.
- 🔹 A documentarse sobre las opciones de tratamiento disponibles.
- 🔹 A conversar con su equipo de atención médica sobre todas las preguntas que pudiera tener.
- 🔹 A tomar notas en su centro de tratamiento de hemofilia usando las convenientes hojas de trabajo que encontrará al final de este cuaderno.

Si desea consultar la Herramienta en línea de la FMH para la toma de decisiones compartidas escanee el recuadro o haga clic a continuación



sdm.wfh.org

Este es un ejemplo simplificado del proceso para tomar decisiones compartidas. Si bien es recomendable utilizar la toma de decisiones compartidas al tomar decisiones sobre el tratamiento y la atención de su hemofilia, también está bien dejarlo en manos del médico. No obstante, siempre es importante que usted comprenda sus opciones y por qué se ha elegido un tratamiento específico.



Paso 1: Reflexionar sobre sus objetivos de vida y su tratamiento actual

Al considerar un cambio en el tratamiento de su hemofilia es importante reflexionar sobre sus objetivos de vida y preferencias de tratamiento, y sobre la forma en la que estos resultan afectados debido a su hemofilia.

1. ¿Cómo describiría el impacto que su hemofilia tiene para el logro de sus objetivos de vida? (por ej., objetivos relacionados con el empleo, los estudios, la familia, los pasatiempos, etc.)

2. ¿Cuáles son sus preferencias de tratamiento? (por ej., frecuencia, duración y método de administración, facilidad de uso, mayor eficacia, etc.)

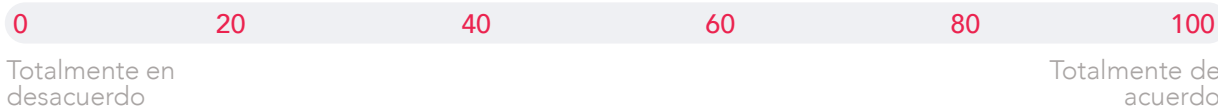
3. ¿Por qué está pensando en cambiar su terapia?

4. ¿Hay alguna otra cosa que usted quisiera que su equipo de atención médica sepa respecto al tratamiento de su hemofilia?

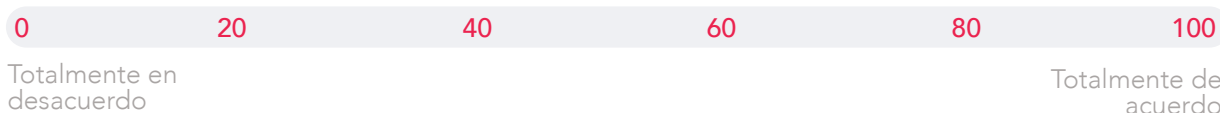


En una escala del 0 al 100 califique que tan de acuerdo está con los siguientes enunciados:

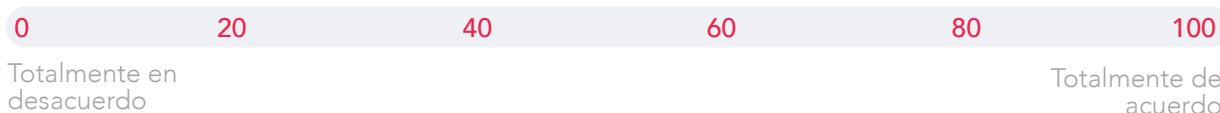
1. Me siento atado(a) o restringido(a) a mi régimen de tratamiento para la hemofilia.



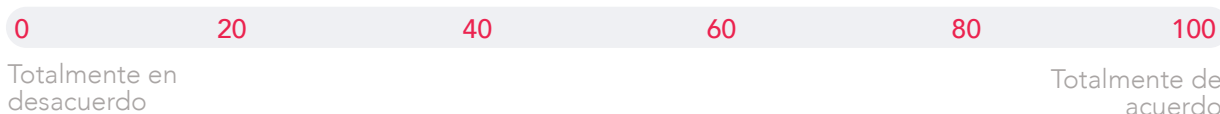
2. Manejar mi hemofilia requiere mucho esfuerzo.



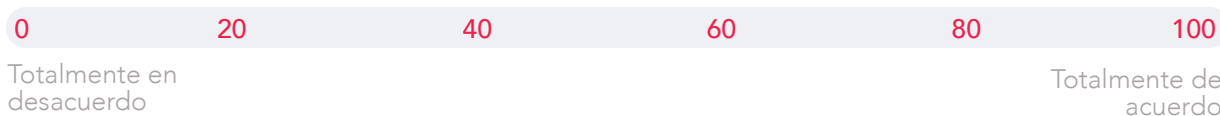
3. Siempre tengo presente mi hemofilia de alguna manera.



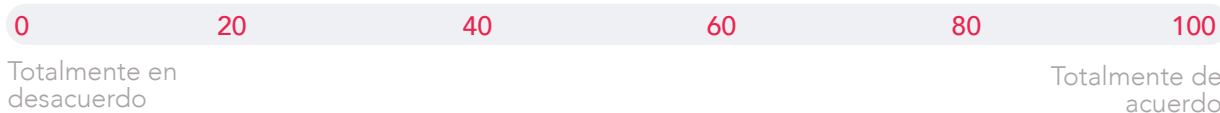
4. Siento que tengo una protección adecuada contra las hemorragias.



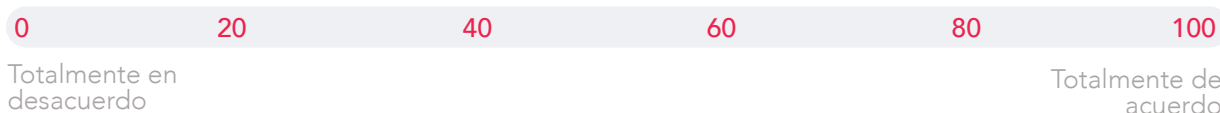
5. Me preocupan los posibles efectos secundarios de las nuevas terapias para la hemofilia.



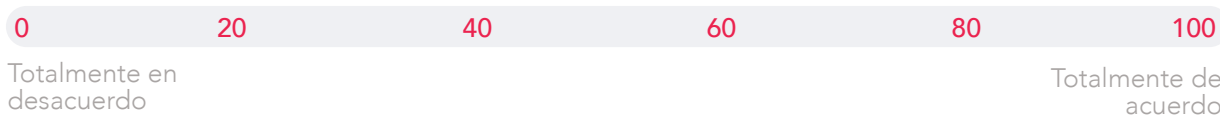
6. Me siento molesto(a) por perder oportunidades importantes debido a mi hemofilia.



7. Mi hemofilia hace que sea difícil mantener una vida social satisfactoria.



8. Mi hemofilia me impide cumplir con las obligaciones que espero ser capaz de desempeñar.



Se exhorta a las personas con hemofilia a leer y reflexionar sobre sus opciones de tratamiento antes de iniciar una conversación a fondo con su equipo de atención médica. Contar con una comprensión general le ayudará a determinar qué opción de tratamiento podría ser la mejor para usted.

Pasos 2 y 3: Conocer y comparar sus opciones de tratamiento

Los cuatro principales tipos de tratamiento para el manejo profiláctico de la hemofilia son las terapias de reemplazo con factores de coagulación; la terapia con anticuerpo biespecífico (solo para la hemofilia A); la terapia de reequilibrio hemostático; y la terapia génica. Todos estos tratamientos ayudan a la sangre a coagular más eficientemente, pero funcionan de maneras diferentes, y tienen diferentes consideraciones de seguridad, riesgos y beneficios. Para tomar una decisión documentada sobre el tratamiento de su hemofilia es importante entender y tomar en cuenta todas estas terapias.

Si desea obtener más información sobre estos tratamientos escanee el recuadro o haga clic a continuación



¿Qué es la profilaxis?

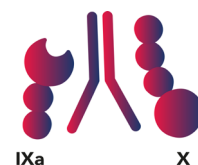
La profilaxis en la hemofilia se define como la administración periódica de productos dirigidos a prevenir hemorragias y mantener la hemostasia, permitiendo a las personas con hemofilia llevar vidas activas y lograr una calidad de vida comparable a la de personas sin hemofilia.

Por ende, la FMH recomienda enfáticamente la profilaxis para personas con un fenotipo de hemofilia grave a fin de prevenir hemorragias espontáneas y daño articular. Los regímenes profilácticos deberían ser individualizados y acordes a los síntomas, la respuesta biológica y las preferencias personales del paciente.¹

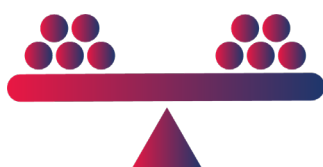
Terapia de reemplazo con factor de coagulación



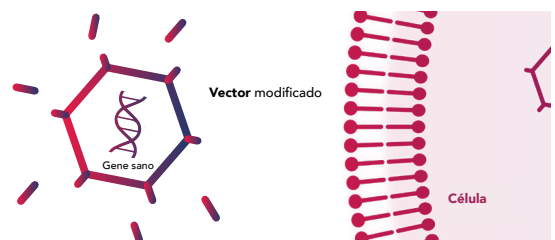
Terapia con anticuerpo biespecífico



Terapia de reequilibrio hemostático



Terapia génica



Terapias de reemplazo con factor de coagulación

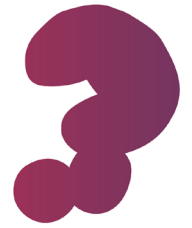
Las terapias de reemplazo con factor de coagulación proporcionan los factores faltantes, ya sea el FVIII para la hemofilia A o el FIX para la hemofilia B, lo cual permite que la sangre coagula eficazmente.^{1,3}

Las terapias de reemplazo con factor de coagulación generan un incremento temporal en los niveles de factor al inyectar la proteína de factor de coagulación necesaria; por tanto, los efectos son temporales y las infusiones deben administrarse periódicamente a fin de mantener niveles de factor de coagulación eficaces para prevenir hemorragias (profilaxis) o conforme sea necesario (a pedido) para detener hemorragias.

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). La vida media se refiere al tiempo que tarda el factor de coagulación de reemplazo en disminuir a la mitad dentro de su cuerpo. Hay muchos productos diferentes de VME y de VMP para el tratamiento de la hemofilia tanto A como B. Después de la inyección de la terapia de reemplazo con factor de coagulación, sus niveles de factor se incrementan inmediatamente, pero disminuyen en el transcurso de los siguientes días. Los productos de VMP mantendrán sus niveles de factor más elevados durante un periodo más largo.

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".

Vida media estándar



Vida media prolongada



Vida media ultraprolongada



Si desea obtener más información sobre inhibidores escanee el recuadro o haga clic a continuación



¿Qué es un inhibidor?

Uno de los efectos secundarios más importantes relacionado con la terapia de reemplazo con factor de coagulación es la posibilidad de aparición de inhibidores, los cuales constituyen una respuesta inmunológica en la que el cuerpo desarrolla anticuerpos que pueden unirse a los factores de coagulación de reemplazo y neutralizar su efecto. Si los inhibidores fueran a presentarse, estos generalmente aparecerán dentro de los primeros 75 días de exposición a la terapia. Los inhibidores se presentan en aproximadamente 20-30% de personas con hemofilia A que no ha recibido tratamiento anteriormente, y en cerca del 3-5% de personas con hemofilia B que no ha recibido tratamiento anteriormente.¹ Se desconoce la tasa de aparición de inhibidores cuando se usan productos de VMU.

Elegibilidad				Administración			
	Estado de la aprobación	Año de la primera aprobación	Población para la que se aprobó	Administración y frecuencia de dosificación	Ubicación	Tasa anualizada de hemorragias	
VME	Múltiples productos ampliamente aprobados	1993	Todas las edades	Hem A 2-4x/SEMANA Hem B 1-2x/SEMANA	 Domicilio o centro de tratamiento	1-2 veces por año y según sea necesario	
VMP	Múltiples productos ampliamente aprobados	2014	Algunos productos de VME y de VMP tienen restricciones etarias o consideraciones particulares para bebés y niños.	2x/SEMANA 1x/SEMANA			
VMU	1 producto con aprobación limitada	2023		1x/SEMANA			
Eficacia			Nivel de factor				
	Mediana de la tasa anualizada de hemorragias*	% con cero hemorragias*	Vida media promedio en adultos	Representaciones aproximadas de la vida media del factor			
VME	Hem A 0 - 2	38 - 52%	10 - 18 horas	VME Hem A			Niveles de factor aumentan inmediatamente y disminuyen rápidamente.
	Hem B 1 - 2	31 - 43%	23 - 26 horas				
VMP	Hem A 1 - 2	38 - 45%	15 - 22 horas	VME Hem B & VMP Hem A			Niveles de factor aumentan inmediatamente y disminuyen rápidamente.
	Hem B 1 - 2	No comunicados	86 - 115 horas				
VMU	Hem A only 0	55%	48 horas	VMP Hem B & VMU Hem A			Los niveles de factor aumentan inmediatamente y disminuyen gradualmente entre dosis.
Posibles riesgos de seguridad			Carga psicosocial				
Eventos adversos	Reacciones de hipersensibilidad	Eventos trombóticos	En busca de una mente liberada de la hemofilia				
Los eventos adversos más comunes son dolores de cabeza, diarrea, tos, náuseas y dolor articular. Las reacciones adversas pueden variar de un medicamento a otro.	Las reacciones de hipersensibilidad son reacciones alérgicas imprevisibles, entre ellas anafilaxis, las cuales pueden presentarse con cualquiera de las terapias de reemplazo con factor de coagulación disponibles.	Hem B only Se han reportado eventos trombóticos, tales como coágulos sanguíneos, con algunas terapias de reemplazo con factor de coagulación.	<p>VME & VMP</p> <ul style="list-style-type: none"> Viajes Empleo/educación Calendario de inyecciones Medicación Actividad física Eficacia del tratamiento Riesgo de hemorragia Dolor articular Preocupaciones diarias Preocupaciones ocasionales Pocas o ninguna preocupación <p>VMU</p> <ul style="list-style-type: none"> Infecciones de transmisión sanguínea (VHC/VIH) Familiares afectados y portadores <p><small>Modificado de Krumb & Hermans; "Living with a "hemophilia-free mind" - the new ambition of hemophilia care?"; 2021</small></p>				
Inhibidores							
<p>Los inhibidores son una respuesta inmunológica en la que el cuerpo forma anticuerpos que pueden unirse a los factores de coagulación de reemplazo y detener su efecto. Si van a aparecer inhibidores, estos generalmente se presentarán dentro de los primeros 75 días de exposición al factor de reemplazo.</p> <p>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.</p> <p>Se desconoce la tasa de aparición de inhibidores cuando se usan productos de VMU.</p>							

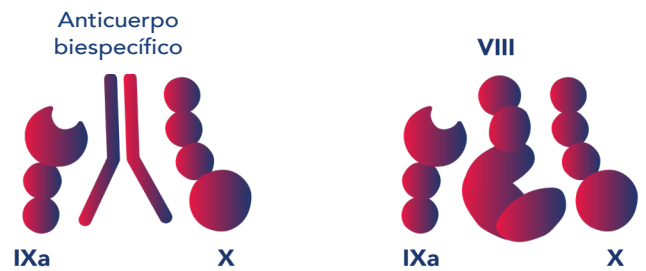
*La tasa anualizada de hemorragias se presenta como la mediana reportada para todas las hemorragias, independientemente de si la hemorragia hubiera sido espontánea o traumática o de si hubiera requerido tratamiento.

Datos obtenidos de la información farmacológica de la FDA, la EMA y Health Canada y de estudios clínicos de fase 3 aplicables y publicados.

Los valores de VME y VMP se presentan como un rango de valores para los productos disponibles.

Terapia con anticuerpo biespecífico (hemofilia A)

Las terapias con anticuerpo biespecífico son terapias sin factor de reemplazo y se utilizan para el tratamiento de la hemofilia A.³ Los anticuerpos biespecíficos son proteínas en forma de Y que pueden unirse selectivamente a otras proteínas. En la hemofilia A, el anticuerpo funciona como un puente entre dos importantes proteínas del cuerpo, el factor IXa y el factor X, lo que ayuda a la sangre a coagular más eficazmente; esto imita la función del factor VIII activado faltante y, por tanto, estas terapias también se conocen como miméticos del factor VIIIa.



Elegibilidad			Administración		
Estado de la aprobación	Año de la primera aprobación	Población para la que se aprobó	Administración y frecuencia de dosificación	Ubicación	Tasa anualizada de hemorragias
1 producto ampliamente aprobado 	2017	Todas las edades con o sin inhibidores	1-4x/MES		1-2 veces por año y según sea necesario
1 producto en fase 3 					
Eficacia					
Mediana de la tasa anualizada de hemorragias	% con cero hemorragias	Nivel del factor (Representaciones aproximadas de la vida media del factor)			
<1.5 mediana para todas las hemorragias, independientemente de si la hemorragia hubiera sido espontánea o traumática	40-50% porcentaje con cero hemorragias, independientemente de si la hemorragia fue tratada, espontánea o traumática	<p>Los niveles de factor no cambiarán, pero el efecto es similar a tener hemofilia leve.</p>			
Consideraciones de seguridad	Posibles riesgos de seguridad		Carga psicosocial		
Eventos adversos	Reacciones de hipersensibilidad	Inhibidores	En busca de una mente liberada de la hemofilia		
Las reacciones adversas más comunes son reacciones en el sitio de la inyección, dolor de cabeza y dolor articular.	—	—	<ul style="list-style-type: none"> ● Preocupaciones diarias ● Preocupaciones ocasionales ● Pocas o ninguna preocupación 	<ul style="list-style-type: none"> 📅 Viajes 🎓 Empleo/educación 📅 Calendario de inyecciones 💊 Medicación 🏃 Actividad física 	
	Eventos trombóticos <1% *Ocurrió en pacientes que recibieron por lo menos una dosis de CCPa	Enzimas hepáticas elevadas		—	<ul style="list-style-type: none"> 📈 Eficacia del tratamiento 🔥 Riesgo de hemorragia 💡 Dolor articular 🦠 Infecciones de transmisión sanguínea (VHC/VIH) 👨‍👩‍👧 Familiares afectados y portadores

Datos obtenidos de la información farmacológica de la FDA, la EMA y Health Canada y de estudios clínicos de fase 3 aplicables y publicados.

Última actualización: Marzo de 2024

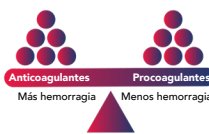
CCPa: concentrado de complejo protrombínico activado

Terapia de reequilibrio hemostático

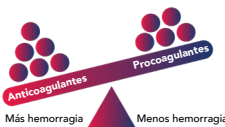
El objetivo de las terapias reequilibrantes es reestablecer el equilibrio alterado entre los niveles de factores de coagulación (es decir, anticoagulantes) y los factores de coagulación sanguíneos, mejorando así la coagulación de la sangre.³ Estas terapias pueden usarse en personas con hemofilia A o B, y en personas con o sin inhibidores.

Para comprender cómo funcionan estos medicamentos es necesario saber más sobre cómo se forma un coágulo sanguíneo. Cuando nos lesionamos, el sistema natural de nuestro cuerpo detiene la hemorragia mediante la activación de factores de coagulación presentes en la sangre y mediante la generación de trombina. Las personas con hemofilia tienen niveles bajos o nulos de factor de coagulación VIII (hemofilia A), o de factor IX (hemofilia B) y baja generación de trombina, de modo que su sangre no coagula eficazmente. En otras palabras, las personas con hemofilia tienen un desequilibrio entre los factores que contribuyen a la coagulación de la sangre (factores coagulantes) y los factores que evitan la coagulación (factores anticoagulantes). Las terapias reequilibrantes ayudan a restaurar este equilibrio reduciendo los niveles de factor anticoagulante, lo cual ayuda a prevenir eventos hemorrágicos y a restaurar la coagulación normal de la sangre.¹ Cada tipo de terapia reequilibrante está dirigida a una parte diferente del sistema de coagulación. Si usted estuviera considerando las terapias de reequilibrio hemostático hable con su equipo de atención médica sobre cuál sería el mejor tipo para usted.

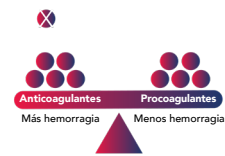
COAGULACIÓN NORMAL



COAGULACIÓN EN PCH



COAGULACIÓN EN PCH QUE RECIBEN TERAPIAS REEQUILIBRANTES



Elegibilidad			Administración		
Estado de la aprobación	Año de la primera aprobación	Población para la que se aprobó	Administración y frecuencia de dosificación	Ubicación	Tasa anualizada de hemorragias
1 producto con aprobación limitada 2 productos en fase 3	2023	Adultos (12+) con inhibidores	24 horas 1x/MES		2 Cada 6 meses y según sea necesario
Eficacia					
Mediana de la tasa anualizada de hemorragias	% con cero hemorragias	Nivel del factor (Representaciones aproximadas de la vida media del factor)			
<2.5 mediana para todas las hemorragias, independientemente de si la hemorragia hubiera sido espontánea o traumática	No especificado	<p>Los niveles de factor no cambiarán, pero el efecto es similar a tener hemofilia leve.</p>			
Consideraciones de seguridad	Posibles riesgos de seguridad		Carga psicosocial		
Eventos adversos	Reacciones de hipersensibilidad	Inhibidores	En busca de una mente liberada de la hemofilia		
Los eventos adversos más comunes son reacciones en el lugar de la inyección, dolor articular, infecciones del tracto respiratorio superior, dolor de cabeza y fiebre.	<3% Eventos trombóticos	Enzimas hepáticas elevadas	<ul style="list-style-type: none"> Preocupaciones diarias Preocupaciones ocasionales Pocas o ninguna preocupación 	<ul style="list-style-type: none"> Eficacia del tratamiento Riesgo de hemorragia Dolor articular Infecciones de transmisión sanguínea (VHC/VIH) Familiares afectados y portadores 	
	<1% Ocurrió en pacientes que tomaban agentes coagulantes adicionales		Modificado de Krumb & Hermans; "Living with a "hemophilia-free mind" - the new ambition of hemophilia care?"; 2021		

Datos obtenidos de la información farmacológica de la FDA, la EMA y Health Canada y de estudios clínicos de fase 3 aplicables y publicados.

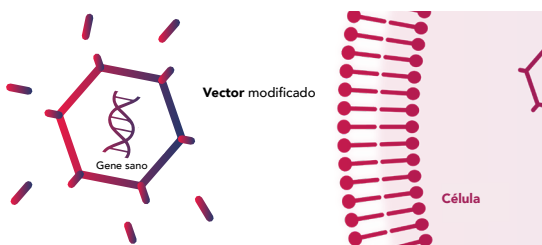
Última actualización: Marzo de 2024

Terapia génica

La terapia génica es una nueva clase de tratamiento para la hemofilia. La terapia génica es un tratamiento que transfiere a sus células una copia funcional de un gene. En el caso de la hemofilia A, la terapia génica transfiere a sus células una copia funcional del gene factor VIII (8); y en el caso de la hemofilia B, una copia funcional del gene del factor IX (9), lo cual permite a su cuerpo producir por sí mismo factores de coagulación funcionales, con lo que genera la expresión del factor a largo plazo.

El gene corregido se transfiere a las células usando algo llamado "vector". El vector es como un paquete que transporta el gene funcional a las células que lo necesitan. Un vector es una estructura proveniente de un virus, pero que ha sido modificada para eliminar las partes que pudieran causar enfermedad. Una vez que el vector se encuentra dentro del cuerpo se dirige a las células específicas que necesitan el gene funcional; en el caso de la hemofilia, estas son sus células hepáticas. Enseguida, el gene funcional es procesado por sus células a fin de producir proteínas de factor de coagulación funcionales. La terapia génica no modifica su propio ADN, sino que transfiere a sus células una copia sana del gene del factor. Las terapias actuales utilizan vectores virales adenoasociados (VAA), pero existen muchos tipos de vectores, y en el futuro podría haber otros tipos de vectores de transferencia. Después de que el vector ha realizado su trabajo y ha transferido al gene funcional, el gene permanece en las células hepáticas y el vector sale del cuerpo de manera natural a través de la orina, las heces, la sangre, la saliva y el semen. Esto se conoce como excreción del vector.

La terapia génica puede proporcionar de manera sostenida niveles casi normales de factor durante años y elimina la necesidad del tratamiento profiláctico periódico en la mayoría de los pacientes que la recibe.³



Cambios anormales en las enzimas hepáticas

La mayoría de las personas con hemofilia A (80%) y algunas personas con hemofilia B (20%) que se someten a la terapia génica presentarán incrementos anormales en los niveles de enzimas hepáticas después de este tratamiento.³ Dichos cambios hepáticos pueden controlarse con medicamentos adicionales (tales como corticosteroides u otros medicamentos inmunosupresores) durante varias semanas o meses. Podrían presentarse efectos secundarios importantes relacionados con el uso de estos medicamentos, aunque generalmente son controlables y reversibles; su equipo de atención médica está equipado para ayudarle a controlar estos efectos secundarios.

A fin de fomentar la salud del hígado y evitar la elevación de enzimas hepáticas relacionada con el consumo de alcohol se recomienda que los pacientes se abstengan de consumir alcohol durante al menos un año, y posteriormente que limiten su consumo del mismo.

Registro de Terapia Génica (RTG) de la FMH

A través de un esfuerzo colaborativo internacional, la FMH ha creado un registro mundial de pacientes que reciben terapia génica. El objetivo del RTG es ofrecer una base de datos sólida y científicamente válida disponible para todos los proveedores de atención médica que atienden a personas con hemofilia que reciben terapia génica en cualquier parte del mundo. Los datos recopilados a través del RTG se utilizarán a fin de valorar la seguridad y eficacia a largo plazo de la terapia génica en personas con hemofilia.

Para obtener más información escriba a gtr@wfh.org

Cada tipo de terapia génica tiene características únicas que pueden afectar qué tan bien funcione en su cuerpo y si fuera la opción adecuada para usted. Su equipo de atención médica puede ayudarle a entender las diferentes opciones de tratamiento y la manera en la que la terapia génica podría incidir en su vida. Su equipo de atención médica tomará en cuenta su historial médico, la gravedad de su hemofilia y sus preferencias y metas personales a fin de ayudarle a tomar una decisión documentada sobre la terapia génica.

Elegibilidad			Administración		
Estado de la aprobación	Año de la primera aprobación	Población para la que se aprobó	Administración y frecuencia de dosificación	Ubicación	Tasa anualizada de hemorragias
1 producto aprobado para la hemofilia A 2 productos aprobados para la hemofilia B	2022	Adultos con hemofilia	La terapia génica es un tratamiento de una sola administración	Centro de tratamiento especializado	Seguimiento frecuente después del tratamiento

Hemofilia A

Eficacia

Mediana de la tasa anualizada de hemorragias <1

mediana para las hemorragias que recibieron tratamiento, independientemente de si la hemorragia hubiera sido espontánea o traumática

Nivel del factor
(Representaciones aproximadas de la vida media del factor)

En la mayoría de los casos, los niveles de factor se incrementan hasta un rango leve o normal.

Algunas personas no responden, presentan una respuesta baja, o sus niveles de factor disminuyen con el tiempo

Consideraciones de seguridad		Posibles riesgos de seguridad		
Eventos adversos	Reacciones de hipersensibilidad	Inhibidores	Eventos trombóticos	Enzimas hepáticas elevadas
Los efectos secundarios más comunes son reacciones relacionadas con la infusión, incremento de ALT, náuseas, dolor de cabeza, niveles de factor VIII(8) mayores a los normales, cansancio, diarrea, dolor abdominal y vómitos.	~ 5%	—	Posibles incremento del riesgo tromboembólico	~80% Se desconocen efectos en la salud del hígado a largo plazo

Hemofilia B

Eficacia

Mediana de la tasa anualizada de hemorragias <1

mediana para las hemorragias que recibieron tratamiento, independientemente de si la hemorragia hubiera sido espontánea o traumática

Nivel del factor
(Representaciones aproximadas de la vida media del factor)

En la mayoría de los casos, los niveles de factor se incrementan hasta un rango leve o normal y se sostienen a largo plazo.

Algunas personas no responden, o presentan una respuesta baja

Consideraciones de seguridad		Posibles riesgos de seguridad		
Eventos adversos	Reacciones de hipersensibilidad	Inhibidores	Eventos trombóticos	Enzimas hepáticas elevadas
Los eventos adversos más comunes son incremento de ALT y AST, dolor de cabeza, creatinina quinasa en sangre elevada, síntomas similares a los de la influenza, reacciones relacionadas con la infusión, cansancio, y malestar	~ 4%	—	—	~40% Se desconocen efectos en la salud del hígado a largo plazo

Carga psicosocial: En busca de una mente liberada de la hemofilia

- Viajes
- Empleo/educación
- Calendario de inyecciones

- Medicación
- Actividad física
- Eficacia del tratamiento

- Riesgo de hemorragia
- Dolor articular
- Infecciones de transmisión sanguínea (VHC/VIH)

- Familiares afectados y portadores
- Preocupaciones diarias
- Preocupaciones ocasionales
- Pocas o ninguna preocupación

Modificado de Krumb & Hermans; "Living with a "hemophilia-free mind" - the new ambition of hemophilia care?"; 2021

Datos obtenidos de la información farmacológica de la FDA, la EMA y Health Canada y de estudios clínicos de fase 3 aplicables y publicados.

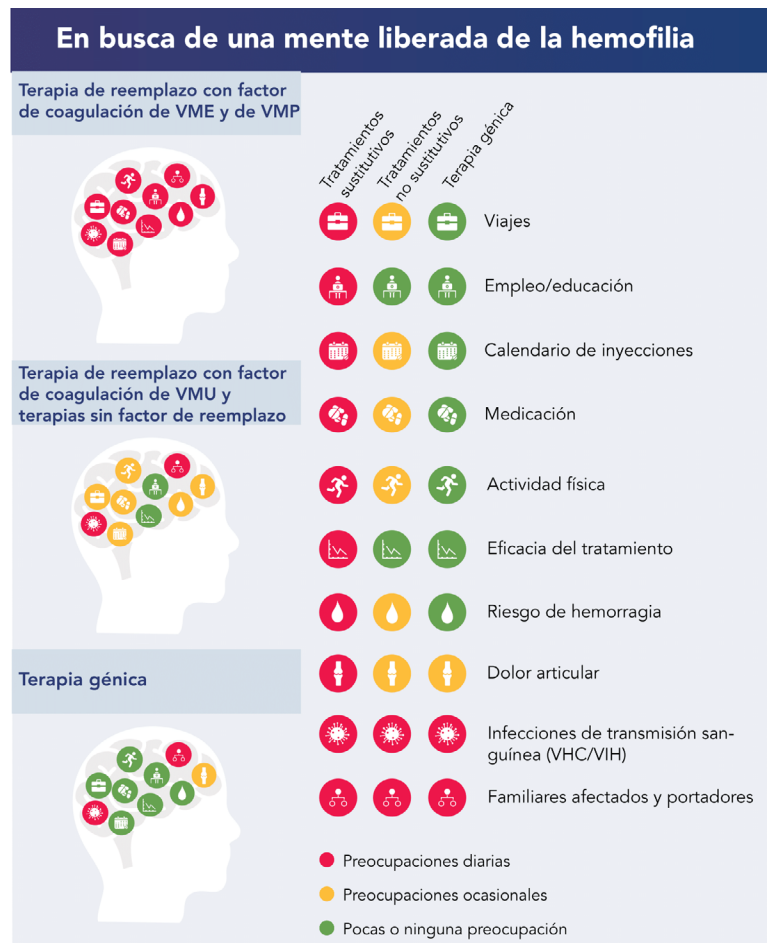
Última actualización: Marzo de 2024

ALT, alanina aminotransferasa; AST, aspartato aminotransferasa.

La carga psicosocial de la hemofilia

La hemofilia tiene un impacto cotidiano en la vida física y mental de los pacientes, de sus cuidadores y de sus seres queridos. Sin embargo, es difícil medir los impactos mentales de la hemofilia. El marco de referencia de Una mente liberada de la hemofilia⁴ se creó como una manera de valorar las preocupaciones cotidianas que alguien con hemofilia podría tener respecto al tratamiento y al manejo de su hemofilia. Los nuevos avances en el tratamiento podrían trasladar muchas de estas preocupaciones cotidianas al ámbito de preocupaciones solamente ocasionales e incluso a zonas de poca o ninguna preocupación.

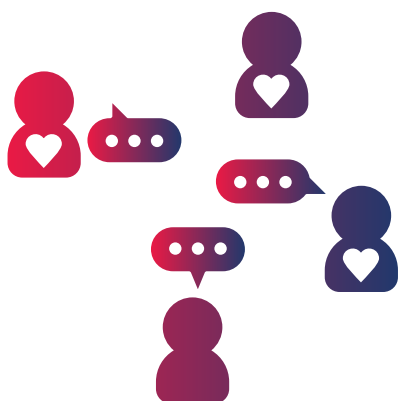
El grado de preocupación variará tanto de una persona a otra como de un tratamiento a otro. Conocer su nivel personal de preocupación podría resultar útil al evaluar cuál sería el tratamiento adecuado para usted.



Modificado de Krumb & Hermans; "Living with a "hemophilia-free mind" - the new ambition of hemophilia care?"; 2021

Paso 4: Conversar con otras personas

Usted podría decidir incluir a otras personas en su proceso de toma de decisiones compartidas. Entre estas personas a menudo se encuentran familiares, amigos, compañeros, colegas, su organización de pacientes y cuidadores. Elija un momento que funcione para ambas partes y cuénteles sobre su proceso para la toma de decisiones compartidas. Tal vez quiera compartir la información contenida en este cuaderno de trabajo, sus pensamientos sobre su actual tratamiento para la hemofilia, sus objetivos de vida y la forma en la que estos se ven afectados por su hemofilia, y la manera en la que cambiar su terapia podría incidir en su vida.



No olvide llevar consigo a la reunión con su equipo de atención médica sus preguntas y este cuaderno de trabajo.

Paso 6: Sostener una conversación abierta y significativa con su equipo de atención médica

Opciones de tratamiento	Pros Razones por las que podría escoger este tratamiento	Contras Razones por las que podría no escoger este tratamiento	¿Cuáles son los siguientes pasos?
Opción 1: _____			
Opción 2: _____			
Opción 3: _____			

Paso 7: Tomarse su tiempo para considerar sus opciones

Cambiar de tratamiento es una decisión importante que puede afectarle a usted, a su familia, a su estilo de vida y a su salud general. Tómese el tiempo que necesite a fin de considerar todas las opciones de tratamiento disponibles para usted. Le animamos a retomar en cualquier momento de su proceso cualquiera de los pasos y este cuaderno de trabajo o la herramienta de la FMH para la toma de decisiones compartidas y los recursos adicionales disponibles en línea.

Paso 8: Reunirse con su equipo de atención médica para tomar o confirmar una decisión acerca de su tratamiento

Lleve consigo cualquier pregunta que todavía pudiera tener y aborde los próximos pasos. Podría decidir continuar con su tratamiento actual, modificar su tratamiento actual, cambiar a un nuevo tratamiento o seguir aprendiendo acerca de sus opciones. Es importante saber que la mayoría de las opciones de tratamiento le permite regresar al proceso de toma de decisiones compartidas en cualquier momento.

No hacer cambios a su tratamiento también constituye una decisión.

D Más información

Recursos sobre toma de decisiones compartidas

[Ottawa Personal Decision Guides](#)

Las Guías de Decisión Personal de Ottawa, disponibles en varios idiomas, están diseñadas para ayudar a las personas a identificar sus necesidades de toma de decisiones, planear los pasos siguientes, llevar un registro de sus avances, y compartir sus puntos de vista relativos a la salud o a decisiones sociales.

[Inventory of Shared Decision-Making Programs for Healthcare Professionals](#) (Universidad Laval)

El Inventario de Programas sobre Toma de Decisiones Compartidas para Profesionales de la Salud está disponible en francés y en inglés, y constituye una lista detallada de actividades de capacitación internacional alrededor del mundo, diseñadas para todo tipo de profesionales de la salud. Las actividades instruyen a los profesionales sobre la toma de decisiones compartidas y les ayudan a integrar este enfoque a su práctica cotidiana.

[Mayo Clinic Shared Decision-Making National Resource Center](#)

El Centro Nacional de Recursos sobre Toma de Decisiones Compartidas de la Clínica Mayo participa en el establecimiento de normas internacionales para recursos que faciliten la toma de decisiones de los pacientes, y en la promoción del diálogo a escala nacional e internacional sobre la atención centrada en el paciente; su página internet está disponible solamente en inglés. Trabaja en estrecha colaboración con [Minnesota Collaborative on Shared Decision Making](#).

[National Institute for Health and Care Excellence: Shared decision making](#)

Disponible solo en inglés, esta guía ofrece recomendaciones sobre cómo poner en práctica la toma de decisiones compartidas.

[Agency for Healthcare Research and Quality: The SHARE Approach](#)

Disponible solo en inglés, el método SHARE de la Agencia para la Investigación y la Calidad en la Atención de la Salud (AHRQ, por su sigla en inglés) es un proceso de cinco etapas para tomar decisiones compartidas, el cual abarca la exploración y comparación de beneficios, perjuicios y riesgos de cada opción mediante un diálogo significativo sobre lo que es más importante para el paciente.

[National Learning Consortium: Shared Decision-Making Fact Sheet](#)

La hoja informativa del Consorcio Nacional de Aprendizaje sobre toma de decisiones compartidas, disponible solo en inglés, repasa el proceso de toma de decisiones compartidas y ofrece enlaces a otros recursos.

[Society for Medical Decision Making](#)

La Sociedad para la Toma de Decisiones Médicas es una organización profesional sin fines de lucro dedicada a la investigación, y es la asociación líder en el estudio y el impulso de las ciencias de la decisión en el campo de la atención médica. La SMDM cuenta con dos publicaciones revisadas por expertos: Medical Decision-Making (MDM) y MDM Policy & Practice. Su página internet está disponible en varios idiomas.

Referencias

1. Srivastava A, et al. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. Haemophilia. 2020;26 Suppl 6:1-158.
2. Wang M, et al. The Hemophilia Gene Therapy Patient Journey: Questions and Answers for Shared Decision-Making. Patient Prefer Adherence. 2022;16:1439-1447.
3. Prescribing information and Phase 3 studies for approved gene therapy products. See the SDM Tool References Page.
4. Krumb E & Hermans C. Living with a "hemophilia-free mind" - The new ambition of hemophilia care? Res Pract Thromb Haemost. 2021;5(5):e1256

Federación Mundial de Hemofilia
1425 René-Lévesque Blvd. West,
Suite 1200, Montréal,
Québec H3G 1T7
CANADA
Tel.: (514) 875-7944
Fax: (514) 875-8916
sdm@wfh.org
www.wfh.org

