



ARTICOLI DI REVISIONE

Krumb, E. e Hermans, C. [Vivere con la mente libera dall'emofilia. La nuova ambizione terapeutica?](#) (Living with a "hemophilia-free mind" - the new ambition of hemophilia care?) *Res Pract Thrombosis Haemostasis*; 2021; 5, e12567.

Srivastava, A et al. [Linee guida per la gestione dell'emofilia della Federazione Mondiale per l'Emofilia](#), 3a edizione (WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition). *Haemophilia* 2020; 26, 1-158.

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

TERAPIA SOSTITUTIVA CON FATTORI DELLA COAGULAZIONE

Prodotti a emivita standard (SHL) approvati per l'emofilia 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

Prodotti a emivita prolungata (EHL) approvati per l'emofilia A

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

Prodotti a emivita ultra-prolungata (UHL) approvati per l'emofilia A

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

Prodotti a emivita standard (SHL) approvati per l'emofilia B

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

Prodotti a emivita prolungata (EHL) approvati per l'emofilia B

ALPROLIX	FDA	EMA	Health Canada
IDELVION	FDA	EMA	Health Canada

REBINYN/Refixia

[FDA](#)

[EMA](#)

[Health Canada](#)

TERAPIA CON ANTICORPI BISPECIFICI

Prodotti approvati

HEMLIBRA (Emicizumab)

[FDA](#)

[EMA](#)

[Health Canada](#)

Studi di fase 3

Studi di fase 3 in corso per Mim8: NCT05053139, NCT05306418, NCT05685238 e NCT05878938.

TERAPIA DI RIEQUILIBRIO EMOSTATICO

Prodotti approvati

Alhemo (Concizumab)

[FDA](#)

[EMA](#)

[Health Canada](#)

Hypavzi (Marstacimab)

[FDA](#)

[EMA](#)

Qfitlia (fitusiran)

[FDA](#)

Studi di fase 3

Matsushita, T. et al. [Studio di fase 3 su Concizumab nell'emofilia con inibitori](#) (Phase 3 Trial of Concizumab in Hemophilia with Inhibitors). N. Engl. J. Med. 389, 783-794 (2023).

Pfizer. [Pfizer annuncia risultati positivi con Marstacimab dallo studio cardine di fase 3 sull'emofilia A e B](#) (Phase 3 Trial of Concizumab in Hemophilia with Inhibitors). 30 maggio 2023.

Srivastava, A et al. [Profilassi con fitusiran in soggetti con emofilia A o emofilia B grave senza inibitori \(ATLAS-A/B\): uno studio di fase 3 multicentrico, in aperto, randomizzato](#) (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.

Young G et al. [Efficacia e sicurezza della profilassi con fitusiran in soggetti con emofilia A o emofilia B con inibitori \(ATLAS-INH\): uno studio di fase 3 multicentrico, in aperto, randomizzato](#) (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.

ASPETTI GENERALI DELLA TERAPIA GENICA

Konkle BA et al. [Registro della terapia genica della Federazione mondiale per l'emofilia \(World Federation of Hemophilia Gene Therapy Registry\)](#). *Haemophilia* 2020;26:563-564.

Miesbach W, Klamroth R. [L'esperienza del paziente nella terapia genica per l'emofilia: Colloqui qualitativi con i pazienti degli studi clinici](#) (The Patient Experience of Gene Therapy for Hemophilia: Qualitative Interviews with Trial Patients). *Patient Prefer Adherence* 2020; 14:767-770.

Pierce GF, Iorio A. [Passato, presente e futuro della terapia genica dell'emofilia: Da vettori e transgeni a esiti noti e ignoti](#) (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. [Il percorso dei pazienti sottoposti a terapia genica per l'emofilia: Domande e risposte per un processo decisionale condiviso](#) (The Hemophilia Gene Therapy Patient Journey: Questions and Answers for Shared Decision-Making). *Patient Prefer Adherence* 2022; 16:1439-1447.

TERAPIA GENICA PER L'EMOFILIA A

Prodotti approvati

ROCTAVIAN

[FDA](#)

[EMA](#)

Principali studi clinici

Ozelo MC et al. [Terapia genica con Valoctocogene Roxaparvovec per l'emofilia A. \(Valoctocogene Roxaparvovec Gene Therapy for Hemophilia A\)](#). *N Engl J Med* 2022; 386:1013-1025.

Leavitt AD et al. [Efficacia, sicurezza e qualità della vita 4 anni dopo il trasferimento genico con valoctocogene roxaparvovec per l'emofilia A grave nello studio di fase 3 GENER8-1 \(Efficacy, safety, and quality of life 4 years after valoctocogene roxaparvovec gene transfer for severe hemophilia A in the phase 3 GENER8-1 trial\)](#). *Res Pract Thromb Haemost* 2024; 8(8):102615.

TERAPIA GENICA PER L'EMOFILIA B

Prodotti approvati

HEMGENIX

[FDA](#)

[EMA](#)

[Health Canada](#)

BEQVEZ

[FDA](#)

[EMA](#)

[Health Canada](#)

Principali studi clinici

Pipe SW et al. [Terapia genica con Etranacogene Dezaparvovec per l'emofilia B](#). (Gene Therapy with Etranacogene Dezaparvovec for Hemophilia B). *N Engl J Med* 2023; 388:706-718.

Coppens M et al. [Terapia genica con etranacogene dezaparvovec per l'emofilia B \(HOPE-B\): Dati post-hoc di efficacia e sicurezza a 24 mesi di uno studio di fase 3, multicentrico, a braccio singolo. \(Etranacogene dezaparvovec gene therapy for haemophilia B \(HOPE-B\): 24-month post-hoc efficacy and safety data from a single-arm, multicentre, phase 3 trial\)](#). *Lancet Haematol* 2024; 11: e265-e275.

Cuker A et al. [Terapia genica con Fidanacogene Elaparvovec in adulti con emofilia B](#) (Gene Therapy with Fidanacogene Elaparvovec in Adults with Hemophilia B). *N Engl J Med* 2024; 391:1108-1118.

Ultima revisione: marzo 2025

Questo è un documento dinamico che verrà aggiornato con nuove evidenze due volte per anno solare. Le date di cut-off sono il 31 luglio e il 31 gennaio, con aggiornamenti per i mesi successivi. Eventuali nuove evidenze emerse dopo queste date di cut-off saranno incluse nell'aggiornamento successivo.