El Farmacéutico Hospitales. 2016; 208: 23-24

«Uno de los factores que impiden reducir a cero la tasa anual de sangrados en profilaxis en los pacientes afectados por hemofilia A es la dificultad y la penosidad de la administración de los medicamentos»

Dr. Julio Martínez
Coordinador Clínico. Jefe del Servicio de Farmacia. Hospital Universitari Vall d'Hebron. Barcelona

–¿Cómo es el manejo actual de la hemofilia A y cuáles son las necesidades aún no cubiertas desde el punto de vista de los tratamientos disponibles?

–El déficit congénito de factor VIII es el causante de la hemofilia A. Se manifiesta principalmente en forma de hemorragias en cualquier localización, mucho más frecuentes y graves cuanto mayor es el grado del déficit congénito. Son especialmente insidiosas y prevalentes las hemorragias en las articulaciones, sobre todo de las rodillas, los tobillos y los hombros. Las hemorragias repetidas suelen conducir a su degeneración, causando la artropatía característica. Como no disponemos de tratamiento curativo, nos conformamos con realizar una terapia de sustitución por vía intravenosa, ya sea de forma reactiva, tras un episodio hemorrágico para detenerlo, o de forma profiláctica para prevenir su aparición y evitar la degeneración articular. La tendencia actual conduce a incrementar la terapia profiláctica para evitar la artropatía. Debido a la corta vida media del factor VIII suministrado, ya sea hemoderivado o recombinante, los pacientes deben administrarse las dosis con una frecuencia de cada 2 o 3 días, lo que hace difícil su compatibilización con una vida normal, especialmente porque, además, es un tratamiento de por vida. Toda esta dificultad conduce, en ocasiones, a una falta de adherencia y, por tanto, a la aparición de hemorragias y artropatía.

La actual terapia de sustitución presenta muchas deficiencias. Además de obligar a administraciones frecuentes (3 o 4 veces por semana) y molestas debido a su corta vida media (12 h), los pacientes también pueden presentar complicaciones asociadas al tratamiento tales como desarrollo de anticuerpos inhibidores y acontecimientos cardiovasculares.

A pesar de disponer de una terapia eficaz, no se ha conseguido reducir a cero la tasa anual de sangrados en toda la población en profilaxis. Uno de los factores que impiden lograrlo es la dificultad y la penosidad de la administración de los medicamentos.

«La introducción del nuevo medicamento puede suponer una ventaja para algunos pacientes en cuanto a la posibilidad de reducir el número de inyecciones semanales, con una buena protección frente a la hemorragia»

–¿Qué es Elocta® y qué supone para el farmacéutico de hospital la aparición del primer factor VIII de la coagulación de vida medida extendida?

–Actualmente tenemos disponibles varios preparados de factor VIII, unos derivados del plasma y

©2016 Ediciones Mayo, S.A. Todos los derechos reservados

otros de origen recombinante. Ambos tipos de preparados han demostrado ser seguros y efectivos en el tratamiento y la profilaxis de los pacientes afectados de hemofilia A. Presentan una vida media de alrededor de 12 horas, lo que obliga, en los regímenes profilácticos, a administrar las dosis cada 2 o 3 días. La pauta de profilaxis es de 20-40 UI/kg cada 2-3 días. El objetivo es mantener unos niveles séricos mínimos superiores a 1 UI/mL. Cuanto más tiempo se permanezca por debajo de este nivel, mayor es el riesgo de hemorragia.

Recientemente se ha lanzado al mercado el primer factor VIII con una vida media extendida, el efmoroctocog (Elocta®). Se trata de una proteína de fusión del factor VIII con la fracción Fc de la inmunoglobulina humana G1. Su vida media resulta ser 1,5-1,7 veces mayor. La pauta recomendada de profilaxis pasa a ser de 50 UI/kg cada 3-5 días. Como puede comprobarse en los estudios pivotales, se consigue una reducción de la frecuencia de la administración con respecto a los anteriores preparados de alrededor de 1 administración menos a la semana. **Se pasa de un promedio de 3 a 2 dosis semanales, aunque en algunos pacientes se consigue espaciar las inyecciones hasta 5 días**. Esta prolongación del intervalo entre dosis se produce tras la administración de dosis superiores, unas 1,5 veces mayor que la del resto de preparados, y el consumo total acumulado mensual o semanal es similar al de los preparados disponibles. **Esta ventaja se produce, aparentemente, sin pérdida de eficacia (la tasa anual de sangrados se mantiene baja) o seguridad (sin incremento en la aparición de procesos trombóticos o de inhibidores)**.

–¿Qué ventajas tiene Elocta® para el paciente frente a los factores VIII convencionales?

–La principal ventaja que aporta este nuevo producto es la posibilidad de espaciar moderadamente las inyecciones que debe administrarse el paciente cada semana, pasando de un promedio de 3 a 2.

Queda pendiente comprobar en la práctica real si esta reducción de administraciones semanales implica una mayor adherencia de los pacientes que conduzca a un mayor control de la hemorragia y una menor artropatía.

–¿Qué impacto en el coste puede tener la inclusión de Elocta® como tratamiento para la hemofilia A en el Sistema Nacional de Salud?

–**La introducción del nuevo medicamento puede suponer una ventaja para algunos pacientes en cuanto a la posibilidad de reducir el número de inyecciones semanales, con una buena protección frente a la hemorragia**. El consumo acumulado anual de Unidades Internacionales es igual al de los preparados recombinantes actualmente disponibles. **El precio es el mismo que el de los tratamientos recombinantes convencionales, por lo que estas ventajas que proporciona Elocta® provocarían un impacto presupuestario neutro en el Sistema Nacional de Salud**. ■

Patrocinado por

sobi
Pioneer in Rare Diseases

©2016 Ediciones Mayo, S.A. Todos los derechos reservados