

LOS DISTINTOS TRATAMIENTOS EN HEMOFILIA

PASADO

PRESENTE

FUTURO

Pau Bosch Ferrando

Enfermera en la Unidad de Hemostasia y Trombosis Hospital Universitario y Politécnico La Fe de Valencia

PASADO

Desde 1.700 d.c.: Son los datos más antiguos que, aproximadamente, conocemos sobre la hemofilia.

En el siglo XII: Otro rabino llamado Maimónides descubrió que si los niños tenían hemofilia eran las madres las que transmitían la misma.

En 1525: La primera referencia en Centroeuropa, se da en Italia, por Alejandro Benedicto.

En 1800: Un médico americano llamado John Conrad Otto hizo su primer estudio sobre familias hemofílicas.

En 1803: John C. Otto descubrió la genética de la hemofilia "A". Encontró que madres sin problema de sangrado, podían transmitir hemofilia a sus hijos, y sus hijas podían transmitir a sus nietos y biznietos. Trazó la historia de la familia hasta una mujer llamada Smith.



En 1928: el Dr. Hopff describe la enfermedad por primera vez con la palabra hemofilia, y nos dice: **¿qué es la hemofilia?** es una alteración de la coagulación de la sangre causada por un defecto genético, lo que provoca ausencia o disminución de alguno de los factores de la coagulación.

En 1840: en Londres, se realizó lo que se conoce como primer ensayo en el tratamiento de la hemofilia, para tratar de controlar el sangrado. Se administró una transfusión de sangre de una persona sana a otra con problemas de coagulación, el resultado fue que el sangrado se detuvo.

El descubrimiento de que una transfusión de sangre podía detener el sangrado en una persona con hemofilia fue muy importante, pero seguía sin tratamiento

En 1944: El Dr. Alfredo Pavlovsky, logró la diferenciación de los dos tipos de hemofilia A y B.



En 1959: La Dra. Pool descubre el crioprecipitado

En 1964: Comenzó a generalizarse el uso del crioprecipitado. Se trata de una fracción plasmática rica en F.VIII coagulante y asimismo en F.VIII Von Willebrand y otras proteínas plasmáticas como el fibrinógeno, la fibronectina y el F.IX.

Con el tratamiento con crioprecipitados se puede llegar a niveles de F.VIII suficientes para una buena coagulación.

La aparición de los concentrados de los diferentes factores de la coagulación, casi simultánea a la de los crioprecipitados, representó un gran avance en el tratamiento de la hemofilia.

El mayor inconveniente de estos primeros concentrados de baja pureza era el alto riesgo de transmitir infecciones al provenir, el plasma, de mezclas de múltiples donantes.

La década de 1980: Se caracterizó por la aparición de las complicaciones de los hemoderivados contaminados por agentes infecciosos.

La década de 1980: se caracterizó por la aparición de las complicaciones de los hemoderivados contaminados por agentes infecciosos. Se producen contagios de enfermedades víricas como el VIH, hepatitis C que causaron muchas muertes en pacientes tratados con hemoderivados que se obtenían de sangre humana contaminada.



La aplicación de la tecnología recombinante ha permitido la obtención de concentrados de FVIII de origen no humano con la idea de evitar de manera definitiva el riesgo de infecciones por transfusión y de conseguir FVIII y IX de manera ilimitada y a bajo precio.

En la actualidad los factores de la coagulación constituyen la base de del tratamiento de la hemofilia. Se obtienen a partir del fraccionamiento de plasma de donantes sanos (factor plasmático) o bien mediante procedimientos biotecnológicos (factor recombinante)

Los concentrados de Factor VIII que se administran se presentan en dosis que van entre 250 y 3000 Unidades dependiendo de las presentaciones de los distintos laboratorios que pueden ser plasmáticos o recombinantes.

Los concentrados de Factor IX encontramos los puros sólo contienen FIX y pueden ser plasmáticos o recombinantes y los que contienen además otros factores (II, VII, IX y X) denominados concentrados del complejo de protrombina.

Los concentrados de FIX se presentan en dosis entre 250 y 2000 UI
En los pacientes con Hemofilia B son preferibles los puros.

La administración de los factores de coagulación es intravenosa



La administración del tratamiento lo realiza la enfermera en la unidad.

Se encarga de enseñar al paciente y sus familiares a encontrar una buena vena para la venopunción y otras venas alternativas

(esto da tranquilidad al paciente)

Enseña a mantener las venas en buen estado por que es garantía de éxito en la punción

Enseña la técnica (complicada para padres y pacientes) de una correcta venopunción

Y sólo cuando ve a padres y pacientes preparados permite que el tratamiento sea en su domicilio.



PRESENTE

Hoy la hemofilia se ha convertido en una enfermedad crónica ha comenzado una revolución en los tratamientos de la misma el un corto periodo de tiempo (aproximadamente 5 años) que va a revolucionar la forma de tratarla tal y como la conocemos ahora.

Se han creado factores VIII y FIX recombinantes de larga duración

Mantienen niveles > 1% continuos : mayor protección

Menos venopunciones

Menor dosificación para episodios de hemorragias (demanda)

Facilita manejo pacientes quirúrgicos

Facilita el inicio temprano de profilaxis en niños

La tecnología prolongación de vida media permite prolongar el intervalo de administración y ofrece una pauta posológica de dos administraciones por semana. además, adynovi ha demostrado ser altamente eficaz para la prevención y el tratamiento de episodios de sangrado articulares o espontáneos, no identificándose anticuerpos inhibidores del FVIII ni señales de seguridad.

Permite optimizar el tratamiento de profilaxis del paciente, mejorando su calidad de vida y su grado de independencia del tratamiento en el día a día o, en el caso de continuar con el mismo número de infusiones, consiguiendo niveles de factor VIII más elevados antes

NUEVO TRATAMIENTO EN ENSAYO CLÍNICO FASE III HEMLIBRA



El principio activo de Hemlibra es el emicizumab, un anticuerpo monoclonal diseñado para cumplir la función que normalmente desempeña el factor VIII: unir 2 factores de la coagulación (IXa y X) como parte de la cascada de reacciones necesarias para la coagulación de la sangre. Como el emicizumab tiene una estructura diferente a la del factor VIII, no resulta afectado por los inhibidores del factor VIII.

Hemlibra reduce los episodios de sangrado en estos pacientes y mejora su calidad de vida

Lo más importante de este nuevo tratamiento es que la vía de administración es SUBCUTÁNEA.

La inyección debe limitarse a los lugares de inyección recomendados: el abdomen, la parte superior externa del brazo y los muslos

Hemlibra está destinado para utilizarse bajo la supervisión de un profesional sanitario(enfermera). Tras una formación adecuada acerca de la técnica para efectuar inyecciones subcutáneas, un paciente puede autoinyectarse hemlibra, o puede administrarlo el cuidador del paciente, si el médico lo considera oportuno.

Esto supone uno de los mejores diferencias para el paciente que ve una gran ventaja a la hora de infundirse el factor

Así también esta vía de administración disminuye el estrés a los padres que se encargan de administrar el tratamiento a sus niños

Mejora la adherencia al tratamiento

El ensayo en fase III es la revolución en la Hemofilia a corto plazo medio plazo.

Los resultados de este tratamiento en los pacientes con hemofilia son "espectaculares" prácticamente pasan a llevar una vida "normal" con respecto al tratamiento reciente.

Este ensayo clínico se realiza en pacientes pediátricos y pacientes adultos con inhibidores con resultados muy positivos.

FUTURO

Para finalizar este paseo por el tiempo podemos decir que a medio / largo plazo tendremos a disposición del paciente con hemofilia LA TERAPIA GÉNICA.

Puesto que tanto la hemofilia A como la hemofilia B están causadas por mutaciones en un único gen (*f8* y *f9*, respectivamente) una de las estrategias más atractivas siempre ha sido llevar a cabo terapia génica destinada a reparar o a proporcionar copias normales del gen dañado a los pacientes.



Consiste en introducir el gen sano en el material genético de un virus conocido y modificable (vector) y posteriormente inocularlo en el paciente. cuando el virus "infecta" a las células productoras de la proteína anormal, introduce el gen sano y desplaza al patológico, de forma que el paciente queda parcial o totalmente curado.

EL tratamiento es parte de un ensayo clínico internacional en fase I para pacientes con hemofilia A severa que no presentan inmunidad frente al virus vector

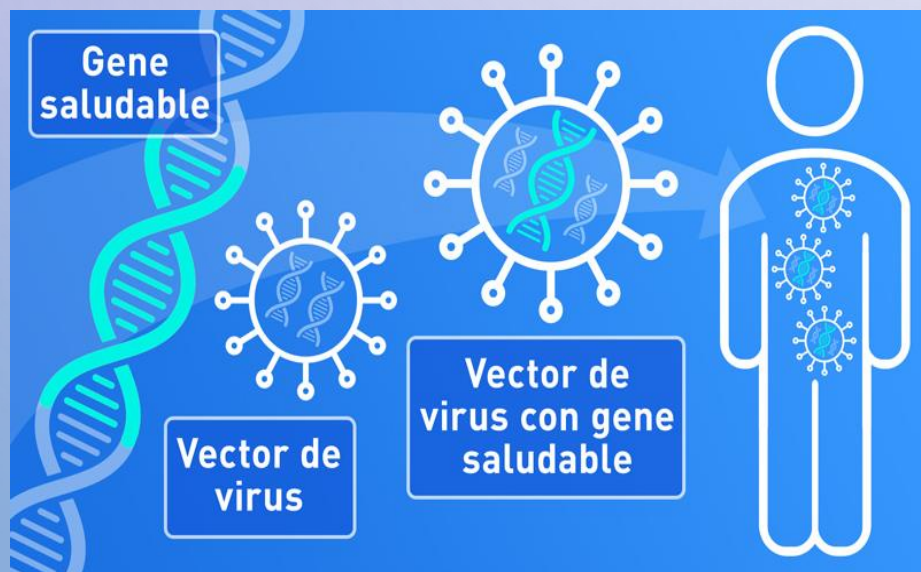
Es una medicación que se administra una sola vez en el hospital pero es de alta complejidad y requiere de un estricto seguimiento posterior en el

QUEDA MUCHO CAMINO POR RECORRER EN LA TERAPIA GÉNICA PERO TENEMOS QUE RECONOCER QUE ESTA TERAPIA PUEDE SUPONER LA CURACIÓN DE LA HEMOFILIA.

EN ESE MOMENTO ENFERMERÍA TENDRÁ QUE PLANTEARSE EL FUTURO EN LA HEMOFILIA TENIENDO EN CUENTA QUÉ SIEMPRE ESTARÁ PRESENTE.

ES UN PASO MUY GRANDE EN TODOS LAS ESPECIALIDADES SANITARIAS.

LAS FUTUR@S ENFERME@S ESTARÉIS AHÍ PARA VIVIRLO.





muchas gracias