

Paciente: Hemlibra y tratamiento de las hemorragias intercurrentes en la hemofilia A con inhibidores

Esta carta contiene información que usted solicitó para tratar las hemorragias intercurrentes en personas con hemofilia A con inhibidores del factor VIII (factor 8 o FVIII) que reciben profilaxis con Hemlibra® (emicizumab - kxwh). Esta carta incluye estudios con los datos más sólidos y relevantes

Esta información se proporciona solo con fines educativos y no para su uso en las decisiones de tratamiento. Debe hablar con su proveedor de atención médica para obtener información y asesoramiento específicos sobre su afección, su situación individual, su cobertura médica y cualquier tratamiento actual o potencial.

Glosario

Concentrado de complejo protrombínico activado (CCPa): un fármaco de derivación también conocido como FEIBA® que contiene factores de coagulación activos e inactivos.

Factor VII activo recombinante (rFVIIa): un fármaco de derivación que contiene la proteína coagulante activada por factor 7.

Fármaco de derivación: es un tipo de tratamiento desarrollado para personas con inhibidores. Los fármacos de derivación rodean o “evitan” los factores que bloquean el inhibidor para ayudar al organismo a formar un coágulo.

Inhibidores: en la hemofilia A, los inhibidores son anticuerpos contra las proteínas de coagulación del FVIII infundidas. Estos anticuerpos hacen que los productos del FVIII infundidos no sean eficaces.

A demanda: a demanda se refiere a un tratamiento que se administra según sea necesario. Por ejemplo, cuando se produce una hemorragia.

Profilaxis: el tratamiento conocido como “profilaxis” se administra de forma regular para prevenir hemorragias.

Inyección subcutánea: inyección que se administra bajo la piel en el espacio subcutáneo (en la capa grasa entre la piel y el músculo). Luego el medicamento se absorbe en los pequeños vasos del espacio subcutáneo e ingresa en la sangre donde actúa.

Eventos trombóticos: coágulos de sangre que se forman en los vasos sanguíneos.

Microangiopatía trombótica (MAT): la microangiopatía trombótica es una afección potencialmente mortal en la que se forman coágulos sanguíneos en pequeños vasos sanguíneos que pueden provocar daños en los riñones u otros órganos.

¿Qué es Hemlibra?

Hemlibra es un medicamento aprobado por la Administración de Alimentos y Medicamentos (*Food and Drug Administration*, FDA) para la profilaxis en adultos y niños con hemofilia A, con o sin inhibidores del FVIII.¹

¿Qué ensayos clínicos estudiaron Hemlibra en personas con hemofilia A con inhibidores del FVIII?

HAVEN 1 estudió la seguridad y eficacia de la profilaxis con Hemlibra para prevenir hemorragias en adultos y adolescentes con hemofilia A con inhibidores del FVIII.^{1,2} HAVEN 2 estudió la seguridad y eficacia de la profilaxis con Hemlibra para prevenir hemorragias en niños de <12 años con hemofilia A con inhibidores del FVIII.^{1,3} En estos estudios, las hemorragias intercurrentes que se produjeron en personas que recibieron profilaxis con Hemlibra se trataron con fármacos de derivación.

¿Cómo debo tratar las hemorragias intercurrentes cuando uso la profilaxis con Hemlibra?

Hemlibra aumenta la posibilidad de que la sangre se coagule.¹

Hemlibra no puede utilizarse como tratamiento para hemorragias intercurrentes. Si utiliza profilaxis con Hemlibra, debe tener disponible un segundo tratamiento, como un fármaco de derivación (rFVIIa o CCPa), para tratar hemorragias intercurrentes.

Hable con su médico para desarrollar un plan para controlar las hemorragias intercurrentes.

Siga atentamente las instrucciones de su médico sobre cuándo usar un fármaco de derivación a demanda y la dosis y el calendario exactos que debe utilizar para tratar las hemorragias.

Se han producido efectos secundarios serios de microangiopatía trombótica y coágulos de sangre (eventos trombóticos) en personas que utilizaron CCPa (FEIBA[®]) para tratar hemorragias mientras recibían Hemlibra.

Si necesita CCPa (FEIBA[®]), hable con su proveedor de atención médica en caso de que considere que necesita más de 100 unidades/kg de CCPa (FEIBA[®]) en total.¹

Se recomienda que lleve un registro en un diario o que anote las hemorragias que se produzcan y el tratamiento, las dosis y cuándo se administraron las dosis para tratar cada hemorragia.

¿Qué efectos secundarios serios se observaron cuando se utilizó CCPa (FEIBA[®]) con Hemlibra en los estudios clínicos?



Se produjeron efectos secundarios graves de MAT y coágulos sanguíneos (eventos trombóticos) cuando se administró una cantidad acumulada media de >100 U/kg/24 horas de CCPa (FEIBA[®]) durante 24 horas o más a personas que usaban profilaxis con Hemlibra.¹ Estos eventos se produjeron en el estudio HAVEN 1. No se han producido eventos en el estudio HAVEN 2.

Algunos de los signos y síntomas que se deben tener en cuenta se enumeran en la Tabla 1. Estos no son todos los signos y síntomas que podrían producirse. Informe a su médico de inmediato o acuda al departamento de emergencias más cercano si presenta alguno de estos signos y síntomas.

Tabla 1: Signos y síntomas de MAT y coágulos de sangre¹		
	Descripción	Signos y síntomas
Microangiopatía trombótica (MAT)	Una afección que implica lesiones y coágulos sanguíneos en vasos pequeños que pueden causar daños en los riñones, el cerebro y otros órganos.	<ul style="list-style-type: none"> • confusión • debilidad • hinchazón de brazos y piernas • coloración amarillenta de la piel • coloración amarillenta de los ojos • dolor de estómago o espalda • náuseas • vómitos • ganas de vomitar • disminución de la orina
Coágulo de sangre (evento trombótico)	Pueden formarse coágulos de sangre en los vasos sanguíneos en el brazo, la pierna, el pulmón o la cabeza.	<ul style="list-style-type: none"> • hinchazón en el brazo o la pierna • dolor o enrojecimiento en el brazo o la pierna • falta de aire • respiración anormal o dificultad para respirar • dolor u opresión en el pecho • ritmo cardíaco rápido • tos con sangre • sensación de desmayo • dolor de cabeza • entumecimiento en la cara • dolor o hinchazón ocular • dificultad para ver

Referencias de Paciente: Hemlibra y tratamiento de las hemorragias intercurrentes en la hemofilia A con inhibidores

[1] Hemlibra® [package insert]. Genentech, Inc.; South San Francisco, CA.

[2] Oldenburg J, Mahlangu JN, Kim B, et al. Emicizumab prophylaxis in hemophilia A with inhibitors [supplementary appendix appears online]. *N Engl J Med* 2017;377:809-818.
<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/28691557>

[3] Young G, Liesner R, Chang T, et al. A multicenter, open-label phase 3 study of emicizumab prophylaxis in children with hemophilia A with inhibitors [supplementary appendix appears online]. *Blood* 2019;134:2127-2138.