

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

Esta carta contiene información que usted solicitó para tratar las hemorragias intercurrentes en personas con hemofilia A sin 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 decisiones de tratamiento. Debe hablar con su proveedor de atención médica para obtener información y consejos específicos sobre su afección, su situación individual, su cobertura médica y cualquier tratamiento actual o posible.

### Glosario

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

**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.

**Dosis de carga y dosis de mantenimiento:** una dosis de carga es una dosis más alta administrada al inicio del tratamiento para asegurarse de que la cantidad de fármaco en el organismo alcance un nivel terapéutico antes de bajar a una dosis de mantenimiento más baja que mantendrá la cantidad de fármaco en el organismo a nivel terapéutico.

**Mediana:** la mediana es el número medio en una lista ordenada de números (por ejemplo, 28 es la mediana de 5, 20, 28, 89, 100).

**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.<sup>1</sup>

Hemlibra se administra como una dosis de carga de 3 mg/kg mediante inyección subcutánea una vez a la semana durante las primeras 4 semanas, seguida de una dosis de mantenimiento de 1.5 mg/kg una vez a la semana, o 3 mg/kg una vez cada 2 semanas o 6 mg/kg una vez cada 4 semanas.

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

HAVEN 3 estudió la seguridad y eficacia de la profilaxis con Hemlibra para prevenir hemorragias en adultos y adolescentes con hemofilia A sin inhibidores del FVIII.<sup>2</sup> HAVEN 3 solo incluyó a personas sin inhibidores. Otro estudio, HAVEN 4, incluyó a adultos y adolescentes con o sin inhibidores del FVIII.<sup>3</sup>

- El estudio HAVEN 3 incluyó a 152 personas con hemofilia A sin inhibidores.<sup>2</sup>
- El estudio HAVEN 4 incluyó a 41 personas con o sin inhibidores.<sup>3</sup> Solo 5 personas tenían inhibidores y las otras 36 personas no tenían inhibidores.

La mayor parte de la información siguiente será del estudio HAVEN 3 porque las personas que participaron en este ensayo tenían hemofilia A sin inhibidores del FVIII.

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

- Hemlibra aumenta la posibilidad de que la sangre se coagule.<sup>1</sup>
- Hemlibra no puede utilizarse como tratamiento para hemorragias intercurrentes. Si utiliza profilaxis con Hemlibra, necesita disponer de un segundo tratamiento, como un producto de FVIII, 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 FVIII infundido y la dosis y pauta exactas 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.
  - CCPa (FEIBA®) es un medicamento que utilizan algunas personas con hemofilia A con inhibidores del factor VIII, ya que no pueden usar el tratamiento con factor VIII infundido.

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

### **¿Cuál fue la experiencia en HAVEN 3 con el uso de FVIII infundido para tratar hemorragias intercurrentes en personas que tomaban profilaxis con Hemlibra?**

Durante el estudio HAVEN 3, hubo 215 eventos de tratamiento con productos de FVIII en personas que tomaban Hemlibra.<sup>2</sup> De estos eventos de tratamiento, el 80 % fueron tratados con dosis de FVIII inferiores a 50 UI/kg. La mayoría de los eventos del tratamiento (81 %) duraron menos de 1 día. No se observaron efectos secundarios serios relacionados con el uso combinado de Hemlibra y FVIII.

Después de la lectura principal del estudio anterior, 1 persona de HAVEN 3 tuvo un síndrome agudo de la arteria coronaria, una afección causada por la reducción del flujo sanguíneo al corazón.<sup>4</sup> En este caso no se utilizó CCPa (FEIBA®). El evento se produjo en torno al momento de una intervención quirúrgica y esta persona tenía antecedentes de una cardiopatía. Esta persona continuó con el tratamiento con Hemlibra en el estudio.

### **¿Qué efectos secundarios graves se produjeron cuando se utilizó CCPa (FEIBA®) con Hemlibra en los estudios clínicos para la hemofilia A con inhibidores?**



Se produjeron efectos secundarios graves de MAT y coágulos de sangre (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 recibían profilaxis con Hemlibra.<sup>1</sup> Estos eventos se produjeron en personas con inhibidores del FVIII en el estudio HAVEN 1.

- CCPa (FEIBA®) es un fármaco de derivación utilizado en personas con hemofilia A con inhibidores del FVIII, que no responden al tratamiento con FVIII.

### **Durante HAVEN 3, ¿usaron las personas que recibieron Hemlibra productos de FVIII de acción corta o de acción prolongada para tratar hemorragias?**

Durante HAVEN 3, las personas que recibieron profilaxis con Hemlibra utilizaron productos de FVIII por una serie de motivos, como el tratamiento de una hemorragia o antes de un procedimiento quirúrgico.<sup>2</sup>



HAVEN 3 Study Experience. Presented at the American Society of Hematology in Orlando, Florida; December 7–10, 2019. ASH Abstract #2395. <https://www.hematology.org>