

Paciente: ¿Qué es Hemlibra y cómo funciona en la hemofilia A?

Esta carta contiene la información que usted solicitó sobre Hemlibra® (emicizumab-kxwh) y cómo funciona en la hemofilia A. 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

Anticuerpos: el sistema inmunitario fabrica los anticuerpos y estos son la respuesta natural de nuestro organismo para protegernos de daños. Los anticuerpos son moléculas en forma de Y con partes específicas que pueden reconocer y unirse a proteínas que se encuentran en moléculas y sustancias extrañas. Los anticuerpos combaten y destruyen virus, bacterias y otras sustancias de moléculas extrañas.

Inhibidores: en la hemofilia A, los inhibidores son anticuerpos contra las proteínas coagulantes del factor VIII (factor 8 o FVIII) infundidos. Estos anticuerpos hacen que los productos del FVIII infundidos no sean eficaces.

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.

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.

Anticuerpo terapéutico: anticuerpos producidos en un laboratorio y utilizados para tratar enfermedades. Están diseñados para unirse a ciertas proteínas del organismo con el objetivo de tratar una enfermedad.

¿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 Hemlibra no es un producto del FVIII ni un medicamento de reemplazo de factores.² Hemlibra se une al factor IX activado (factor 9 activado o FIXa) y al factor X (factor 10 o FX) para ayudar a que los coágulos sanguíneos se formen más rápido.

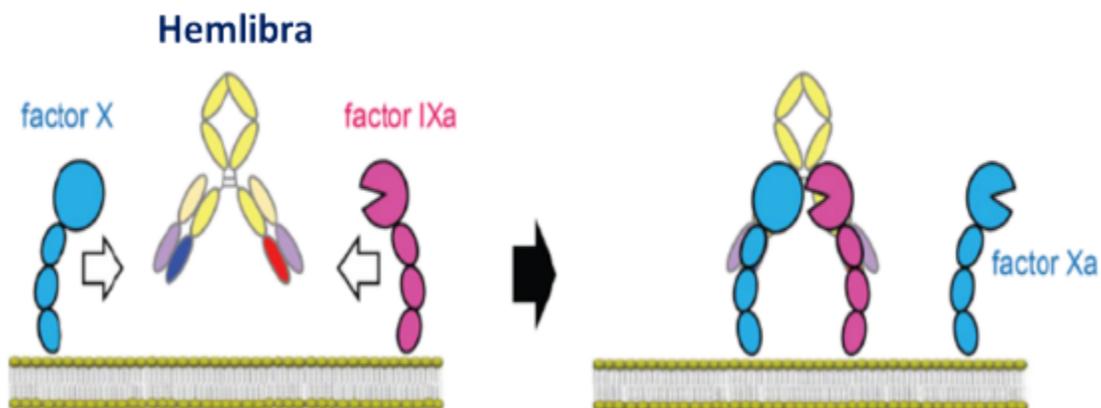
Hemlibra se administra como una dosis de carga de 3 mg/kg mediante inyección subcutánea una vez a la semana durante las primeras 4 semanas, seguida de una dosis de mantenimiento de 1,5 mg/kg una vez a la semana, o 3 mg/kg una vez cada 2 semanas o 6 mg/kg una vez cada 4 semanas.¹

¿Cómo funciona Hemlibra en la hemofilia A?

En la hemofilia A, falta una de las proteínas coagulantes, el FVIII, o no funciona con normalidad.³ La función normal del FVIII es unirse al FIXa y al FX. Este es un paso importante para formar un coágulo de sangre. Cuando este paso no sucede, el organismo no puede seguir formando coágulos sanguíneos para detener una hemorragia.

Hemlibra es un anticuerpo terapéutico que actúa como FVIII, pero no es un medicamento de reemplazo del FVIII.² Hemlibra se une al FIXa y al FX para ayudar a la formación de coágulos sanguíneos. La Figura 1 muestra cómo funciona Hemlibra en la hemofilia A.

Figura 1: Cómo funciona Hemlibra en la hemofilia A⁴



¿Qué son los anticuerpos inhibidores del FVIII? ¿Funciona Hemlibra en personas con hemofilia A con inhibidores del FVIII?

Las personas con hemofilia A que han sido tratadas con un medicamento de reemplazo del FVIII pueden desarrollar anticuerpos llamados anticuerpos inhibidores del FVIII.³ Esto sucede cuando el organismo reconoce el medicamento de reemplazo del FVIII como extraño.

Los anticuerpos inhibidores atacan el medicamento de sustitución del FVIII infundido y los hacen ineficaces.³ Hasta el 30 % de las personas con hemofilia A grave pueden desarrollar anticuerpos inhibidores contra el medicamento de reemplazo del FVIII infundido.

Hemlibra no tiene el mismo aspecto que el FVIII y, por tanto, no se reconoce ni se ve afectado por los anticuerpos inhibidores del FVIII.¹

Hemlibra no provoca que el organismo desarrolle o aumente el desarrollo de inhibidores del FVIII.¹

Referencias de Paciente: qué es Hemlibra y cómo funciona Hemlibra en la hemofilia A

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

[2] Sampei Z, Igawa T, Soeda T, et al. Identification and multidimensional optimization of an asymmetric bispecific IgG antibody mimicking the function of factor VIII cofactor activity. PLoS One 2013;8:e57479. <http://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/23468998>

[3] Srivastava A, Brewer AK, Mauser-Bunschoten EP, et al. Guidelines for the management of hemophilia. Haemophilia 2013;19:e1-47. <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/22776238/>

[4] Nogami K, Hanabusa H, Taki M, et al. Updated results of an ongoing long-term phase 1/2 study of emicizumab (ACE910) in hemophilia A patients. Presented at the World Federation of Hemophilia World Congress in Orlando, FL; July 24-28, 2016. WFH Oral presentation.