

Terapias de innovación

Medicamentos

Estos medicamentos aumentan el número de horas que están en el cuerpo. Esto permite que el porcentaje de factor en sangre de las personas con Hemofilia se mantenga alto.

Marzeptacog Alfa

Medicamento recombinante innovador para el tratamiento de la deficiencia de FVII y **muy eficiente tratamiento para pacientes con inhibidores**. Este medicamento se aplica por vía subcutánea. (actualmente no se encuentra en el mercado aún).

TERAPIA DE NO REEMPLAZO

Mimético VIII Hemofilia A

La creación de los anticuerpos monoclonales es un paso adelante en las terapias, **el tratamiento consiste en un anticuerpo que no es el factor faltante, pero actúa muy parecido para colaborar con la cascada de la coagulación**. Previene y evita los sangrados de forma muy significativa. La aplicación es subcutánea y puede llegar a ser una vez al mes de acuerdo a la indicación del médico. **Es muy eficiente para las personas con Hemofilia A con inhibidores** ya que al no ser el factor deficiente no lo reconoce como tal y el cuerpo no lo rechaza.

Emicizumab

Es un anticuerpo monoclonal bioespecífico **que imita el FVIII**. **Emicizumab en profilaxis de una dosis semanal subcutánea** logró un 87% menos sangrados que tratamiento previo a demanda.

EL FUTURO DE LA HEMOFILIA

Terapia génica

El objetivo de la terapia génica es lograr la cura de la hemofilia mediante el reemplazo del gen deficiente en el paciente y conseguir una producción de FVIII o FIX en valores hemostáticos sostenidos. **Consiste en reparación del Gen, para que el cuerpo por sí mismo pueda sintetizar la proteína de FVIII y FIX**. Actualmente se encuentra en ensayos de fase 3.

FITUSIRAN

La antitrombina inhibe al factor X y la trombina. La hipótesis fue disminuir la síntesis de ATIII para restablecer un equilibrio de la hemostasia. La ausencia de ATIII es incompatible con la vida, pero en pruebas se observó disminución de sangrados. La administración subcutánea mensual y utilidad para hemofilia A y B, con y sin inhibidores la hacen muy atractiva

Inhibidores de TFPI

La inhibición de la vía extrínseca a través de la neutralización del TFPI es otro camino de balancear la hemostasia. **Este medicamento bloquea el inhibidor de la vía intrínseca, este medicamento se va a la vía normal y hace una potenciación** para que siga funcionando, a pesar de tener **falta del factor V111 o IX** de esta manera mantiene la Homostasis.

Concizumab es un anticuerpo monoclonal humanizado con alta afinidad contra el dominio Kunitz-2 y mejora la generación de trombina. Puede usarse por vía subcutánea como profilaxis en pacientes con hemofilia A y B, con y sin inhibidor, y administrado semanalmente o mensualmente. El estudio fase 2 con Concizumab en curso no ha mostrado eventos trombóticos



Los estudios publicados muestran que los productos **FVIII y FIX EHL** han tenido resultados positivos en el tratamiento de las personas con hemofilia. **Son concentrados altamente eficaces en el tratamiento y prevención de sangrados.**

Bibliografía
Información recopilada de: <https://stepsforliving-hemophilia.org/node/57>

