

La Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia ha celebrado su reunión de conclusiones del 64º Congreso de la Asociación Americana de Hematología

## **La terapia génica demuestra su capacidad de curación en varias enfermedades de la sangre**

- Los resultados a largo plazo en pacientes con hemofilia corroboran las altas expectativas creadas en torno a estos nuevos tratamientos, y varios pacientes con anemias graves, como son las talasemias y la drepanocitosis, se han curado
- Los nuevos fármacos anticoagulantes (inhibidores del factor XI y del factor XII), han demostrado bajo riesgo de sangrado y ser eficaces frente a la trombosis, representando un cambio radical en el concepto actual de anticoagulación
- Se ha presentado una gran evidencia sobre las ventajas de utilizar plaquetas refrigeradas en el tratamiento de las hemorragias agudas: mejor gestión del stock, reducción de las caducidades y menor riesgo de contaminación
- En *ASH 2022* se ha aceptado un cambio conceptual consistente en utilizar el término ‘hematología clásica’ en lugar de ‘hematología no neoplásica’ o ‘hematología benigna’

**Madrid, 31 de enero de 2023.** En la reunión nacional de conclusiones del 64º Congreso Anual de la Asociación Americana de Hematología (*ASH* en sus siglas inglesas), organizada por la Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia (SEHH) este fin de semana en la Facultad de Medicina de la Universidad Complutense de Madrid, se han expuesto las principales novedades en el área de la hematología no neoplásica, es decir, de las enfermedades que no se engloban dentro del cáncer hematológico. “Precisamente, en *ASH 2022* se ha aceptado un cambio conceptual consistente en utilizar el término ‘hematología clásica’ en lugar de ‘hematología no neoplásica’ o ‘hematología benigna’, como se ha venido haciendo hasta ahora”, señala Isidro Jarque, del Hospital Universitario y Politécnico La Fe (Valencia).

“Este cambio conlleva una mayor notoriedad para estas patologías dentro de la especialidad de Hematología y transmite la relevancia clínica real que estas entidades tienen sobre los pacientes, quienes no suelen comprender que se etiqueten como benignas enfermedades muy complejas y, en algunos casos, que llegan a poner en peligro sus vidas”, añade.

En cuanto a los avances en este ámbito, Isidro Jarque destaca “la introducción de nuevos fármacos para el tratamiento de la trombocitopenia inmune primaria (PTI), que permiten reducir el anticuerpo patogénico, inhibiendo la vía fisiológica de reciclaje

de la inmunoglobulina G, así como el desarrollo de inhibidores del complemento proximal para tratar la hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN), con los que se logra rescatar pacientes con respuesta insuficiente al tratamiento estándar con inhibidores C5. Además, es destacable el desarrollo de inhibidores de acción prolongada que se administran por vía subcutánea y de otros activos orales”.

La terapia anticoagulante ha sido otro de los temas tratados durante la reunión, destacando “entre los nuevos fármacos, los inhibidores del factor XI y del factor XII, que han demostrado bajo riesgo de sangrado y ser eficaces frente a la trombosis, por lo que supondrán un cambio radical en el concepto actual de anticoagulación”, asegura Edelmira Martí, del Hospital Clínico Universitario de Valencia. “Los inhibidores del factor XI se encuentran en una fase muy avanzada de desarrollo, puesto que, actualmente se están realizando ensayos en fase 3 en todo el mundo, incluyendo España, y serán los primeros en estar disponibles para nuestros pacientes”.

### **La terapia génica, la gran esperanza**

Respecto a la hemofilia, “la terapia génica ha sido la gran protagonista de *ASH 2022*. Se han presentado datos muy interesantes de pacientes que ya han sido tratados, con hasta cinco años de seguimiento, y que vienen a corroborar las altas expectativas creadas en torno a esta terapia”. Por otra parte, se han dado a conocer datos que demuestran que los anticuerpos monoclonales miméticos son capaces de suplir eficazmente la deficiencia de factor con un excelente perfil de seguridad.

Rafael del Orbe, del Hospital Universitario Cruces (Barakaldo, Vizcaya) resalta las numerosas novedades en el área de la Eritropatología, un campo de la Hematología que ocupa en torno al 25-30% del programa científico del Congreso de la Sociedad Americana de Hematología. “En cuanto a tratamientos, se ha demostrado la eficacia sostenida a largo plazo de un fármaco frente a la beta-talasemia (un trastorno hereditario de la sangre), que reduce las necesidades transfusionales y la sobrecarga férrica”.

“Pero sin duda, lo más destacado de *ASH 2022* en serie roja ha sido la terapia génica y el papel de la investigación española en este ámbito. Concretamente, se ha presentado un estudio fase I, liderado por José Carlos Segovia, del CIEMAT, sobre el tratamiento del déficit de piruvato quinasa mediante terapia génica, con resultados espectaculares y muy esperanzadores”. Además, gracias a las técnicas de CRISPR-Cas9, 41 pacientes con talasemia y 33 con drepanocitosis se han curado a día de hoy.

Por último, con relación al banco de sangre, Pedro L. Fernández, del Hospital Universitario San Juan de Alicante, “pone de relieve la acumulación de evidencia sobre las ventajas de las plaquetas refrigeradas en el tratamiento de la hemorragia aguda, la gestión del stock, la reducción de las caducidades y su menor riesgo de contaminación”.

## **Una comunicación española entre las mejores de ASH 2022**

La investigación española en hematología es puntera y cada día más reconocida a nivel internacional. Prueba de ello es la elección de una comunicación oral, presentada en la última edición del Congreso de ASH por Cristina Pascual, hematóloga del Hospital Universitario Gregorio Marañón (Madrid) y miembro de la SEHH, sobre el déficit del factor XIII, que puede ser congénito (muy infrecuente) o adquirido. “Se trata de una coagulopatía muy poco conocida y, por lo tanto, poco estudiada y tratada en la práctica clínica habitual. A través de este trabajo, hemos podido objetivar que su frecuencia puede ser mayor de lo que se pensaba, arrojando luz para un grupo de pacientes, sobre todo en unidades de cuidados intensivos, con clínica hemorrágica persistente, pero sin ninguna etiología conocida hasta el momento”, explica la doctora Pascual.

## **Sobre la Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia (SEHH)**

La SEHH es una sociedad científica cuyo fin es la promoción, desarrollo y divulgación de la integridad y contenido de la especialidad de Hematología y Hemoterapia en sus aspectos médicos, científicos, organizativos, asistenciales, docentes y de investigación. La Hematología como especialidad abarca todos los aspectos relacionados con la fisiología de la sangre y los órganos hematopoyéticos, el diagnóstico y tratamiento de las enfermedades benignas y malignas de la sangre, el estudio del sistema de hemostasia y coagulación, y todos los aspectos relacionados con la medicina transfusional, incluyendo el trasplante de progenitores hematopoyéticos y las terapias celulares. La función profesional del hematólogo cubre todas las vertientes del ejercicio de la especialidad.

Con 63 años de historia, la SEHH es hoy día una organización con importante repercusión científica. Muchos de los cerca de 3.000 profesionales que la forman son figuras internacionalmente reconocidas y contribuyen a que la hematología sea una de las partes de la medicina española con más prestigio en el exterior. La Sociedad considera que para una óptima atención de los pacientes es imprescindible contar con acceso a los avances médicos, fomentar la investigación y disponer de especialistas bien formados y altamente cualificados en el manejo de las enfermedades hematológicas.

### **Para más información y gestión de entrevistas:**

#### **Jorge Sánchez Franco**

Móvil: 667 675 476

E-mail: [jorge.sanchez@sehh.es](mailto:jorge.sanchez@sehh.es)

#### **Alba Corrada de la Fuente**

Móvil: 620 534 620

E-mail: [alba.corrada@sehh.es](mailto:alba.corrada@sehh.es)

Tel.: 91 319 19 98

Web: [www.sehh.es](http://www.sehh.es)

Twitter: [@sehh\\_es](https://twitter.com/sehh_es)

IG: [@sociedad\\_espanoladehematologia](https://www.instagram.com/sociedad_espanoladehematologia)

Canal YouTube: [HemoTube](https://www.youtube.com/HemoTube)

LinkedIn: [www.linkedin.com/company/sehh/](https://www.linkedin.com/company/sehh/)