SETH
Sociedad Española de Trombosis y Hemostasia

SEHH
Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia

Mañana se celebra el Día Mundial de la Hemofilia

La terapia génica abre la esperanza a la futura curación de la hemofilia

- La Sociedad Española de Trombosis y Hemostasia (SETH) y la Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia (SEHH) conmemoran el Día Mundial de la Hemofilia
- La profilaxis y los nuevos tratamientos han conseguido evitar artropatías graves en los pacientes más jóvenes y normalizar la vida de la mayoría de los afectados.
- La próxima comercialización de anticuerpos monoclonales permitirá el control de hemofílicos con inhibidores frente a los factores de coagulación deficitarios que reciben

Madrid, 16 de abril de 2018.- En España viven unos 3.000 afectados por hemofilia, una enfermedad hereditaria causada por deficiencia de los factores de la coagulación VIII (hemofilia A) o IX (hemofilia B). Las hemorragias y sangrados pueden ser graves, especialmente las hemorragias articulares (que suelen aparecer en las primeras décadas de la vida) debido a que ocasionan artropatías graves que limitan y complican la vida diaria. La profilaxis consiste en la administración del factor deficiente, lo que obliga al paciente a pincharse varias veces a la semana. Sin embargo, los nuevos productos de vida media larga espacian las infusiones, con la consiguiente calidad de vida para el afectado (sobre todo en los niños). Ya están comercializados los factores VIII y IX de vida extendida, cuyo coste es elevado si bien "el factor VIII está financiado por el Sistema Nacional de Salud desde hace un año", recuerda la doctora Maria Eva Mingot, del Servicio de Hematología del Hospital Regional Universitario de Málaga y vocal de la Sociedad Española de Trombosis y Hemostasia (SETH). "El factor IX aún no está financiado, ya que el proceso administrativo está siendo más lento y complicado", añade.

Víctor Jiménez Yuste, jefe del Servicio de Hematología del Hospital La Paz, de Madrid, y vicepresidente de la SETH, insiste en que los nuevos tratamientos "han mejorado extraordinariamente la calidad de vida de los pacientes con hemofilia, hasta el punto de que los niños están perfectamente integrados en el colegio y no tienen muchas limitaciones en lo que se refiere a la calidad de vida". En su opinión, el cambio radical sucedió hace ya algunos años, "cuando se introdujeron los esquemas de profilaxis que

han permitido que los niños y adolescentes no sufran las secuelas del sangrado articular".

Pero la gran revolución llegará con el anticuerpo monoclonal emicizumab (ya aprobado por la FDA americana y la Agencia Europea del Medicamento, EMA). "Será fundamental para pacientes con hemofilia A con inhibidor (un anticuerpo frente al factor de coagulación administrado y que se produce hasta en un 30% de los pacientes), que son los más complicados de tratar", explica Jiménez Yuste, que matiza que "este anticuerpo monoclonal permitirá hacer una profilaxis efectiva –aunque no al 100%- y los resultados son prometedores". Y a más largo plazo, "surgirán otros anticuerpos monoclonales para pacientes de hemofilia B con inhibidor".

El objetivo es espaciar los tratamientos incluso hasta un mes, para lo que ya se analiza esta opción con "emicizumab por vía subcutánea, pero también con otros factores subcutáneos que se están desarrollando", comenta el vicepresidente de la SETH.

Con todo, la curación podría venir de la mano de la terapia génica, y no es un objetivo utópico, puesto que ya hay pacientes tratados en centros de Estados Unidos y de Europa y, según anuncia el hematólogo del Hospital La Paz, "en España comenzaremos los ensayos clínicos a corto plazo".

El buen momento actual que se vive en el control de la hemofilia es consecuencia de muchos años de avances progresivos que van desde la profilaxis, hasta los concentrados de larga duración y los nuevos productos de administración subcutánea y la terapia génica. "El gran hito previsto para este año es poder tratar a los pacientes con inhibidor", una aspiración que se engloba en el deseo común de médicos y pacientes de que "todas las mejoras lleguen a la vida diaria de todos los afectados", concluye Víctor Jiménez Yuste.

Hemofílicos con vidas normales

La detección temprana de la enfermedad y las nuevas pautas profilácticas y terapéuticas han conseguido normalizar la vida de la mayoría de los hemofílicos, sobre todo niños, hasta el punto de que "pueden tener una calidad y esperanza de vida igual que la cualquier persona", afirma Faustino García Candel, del Servicio de Hematología del Hospital Clínico Universitario Virgen de la Arrixaca, de Murcia, y miembro de la Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia (SEHH). "Los casos más graves se suelen diagnosticar en los primeros meses de vida por la aparición de episodios hemorrágicos frecuentes relacionados con el parto o por sangrados espontáneos por pequeños traumatismos, pero en los casos leves o moderados el diagnostico se puede retrasar hasta la edad adulta y descubrir la enfermedad en analíticas de rutina o por un

sangrado importante relacionado con procedimientos quirúrgicos o exploraciones invasivas", describe.

Este especialista insiste en la importancia de prestar atención a ciertos síntomas que pueden presentar los bebés, como son grandes hematomas por pequeños traumatismos o episodios de hemartros, con impotencia de la articulación afectada cuando comienza a gatear. "Habitualmente, estos niños no suelen tener que acudir al hospital ya que reciben terapia profiláctica y están controlados desde las consultas de hematología", comenta García Candel.

Una de las pocas limitaciones de estos niños es que no pueden hacer deportes de contacto (por el riesgo de traumatismos), pero sí es muy aconsejable la natación.

Sobre la Sociedad Española de Trombosis y Hemostasia (SETH)

La Sociedad Española de Trombosis y Hemostasia (SETH) es una sociedad científica que tiene por objeto agrupar a licenciados y doctores en medicina y cirugía, en ciencias químicas, biológicas, farmacia y otras ciencias afines, interesados en la investigación de la trombosis y hemostasia, así como su diagnóstico, tratamiento y profilaxis. Es una sociedad de carácter multidisciplinar sin ánimo de lucro que, promueve la investigación sobre estos temas, así como la participación y comunicación entre sus miembros. Nuestra pretensión es conseguir un progreso en las siguientes facetas de la patología trombótica y de la hemostasia: etiopatogenia, prevención, diagnóstico y tratamiento.

La SETH organiza habitualmente cursos, conferencias, reuniones, así como diferentes actividades para conseguir su principal objetivo y seguir avanzando en un mayor conocimiento científico de las enfermedades relacionadas con la especialidad. La sociedad cuenta con más de 400 profesionales reconocidos en este campo que tienen como objetivo sensibilizar a la población y dotar de más información sobre las enfermedades trombóticas y hemostásicas.

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. La función profesional del hematólogo cubre todas las vertientes del ejercicio de la especialidad.

La SEHH, con 58 años de vida, es hoy día una organización con importante repercusión científica. Muchos de los más de 2.600 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 obstaculización del progreso de la ciencia y de la excelencia en la atención médica, mediante la implantación de medidas de corte economicista o que tratan de disgregar la especialidad y de romper la unidad funcional que requiere la atención del paciente hematológico, es un asunto que preocupa de manera particular a la SEHH. 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 calificados en el manejo de las enfermedades hematológicas.

Ángeles Gómez. Responsable de comunicación SETH
Tel: 617 153 559
E-mail: comunicacion@seth.es
Web: www.seth.es
Twitter: @Seth_Trombosis

Jorge Sánchez Franco. Responsable de Comunicación SEHH
Tel: 91 319 5816/ 667 675 476
E-mail: comunicion@sehh.es
Web: www.sehh.es
Twitter: @sehh_es