



**La Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia (SEHH) y la Real Academia Nacional de Medicina de España (RANME) celebran la sesión científica “Avances en el tratamiento de la hemofilia”**

## **La terapia génica será clave en la posible curación de la hemofilia**

- **Los concentrados y los factores recombinantes de FVIII y FIX y la profilaxis han mejorado sustancialmente la prevención de la artropatía y la calidad de vida de los pacientes**
- **Entre los últimos avances en el tratamiento de la hemofilia destacan el desarrollo de concentrados de FVIII y FIX de vida media extendida y las moléculas con dianas terapéuticas diferentes a la sustitución de los factores recombinantes**
- **Durante 2019 y 2020 se llevará a cabo en España un reclutamiento muy importante de pacientes para formar parte de ensayos clínicos en fase III de terapia génica**

**Madrid, 13 de mayo de 2019.** La Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia (SEHH) y la Real Academia Nacional de Medicina de España (RANME) han celebrado su segunda reunión científica conjunta bajo el título “Avances en el tratamiento de la hemofilia” y la coordinación de Ana Villegas Martínez, hematóloga del Hospital Clínico San Carlos de Madrid y académica de número de la RANME. Esta sesión científica ha estado dedicada a “una enfermedad en la que se ha avanzado de forma espectacular en su tratamiento en los últimos años, de tal modo que incluso se habla de una posible curación”, señala Ana Villegas.

La hemofilia es una enfermedad congénita ligada al cromosoma X, causada por la deficiencia del factor VIII (hemofilia A) o del factor IX (hemofilia B). Su cuadro clínico se caracteriza por hemorragias que afectan, fundamentalmente, a los músculos y articulaciones y que guardan relación con la gravedad de la enfermedad. “Los concentrados y los factores recombinantes de FVIII y FIX y la profilaxis han mejorado sustancialmente la prevención de la artropatía y la calidad de vida de los pacientes”, explica Villegas.

De hecho, el objetivo de la profilaxis es evitar los sangrados en órganos vitales, impedir la artropatía en niños, mejorarla en adultos y permitir al paciente llevar una vida normal e integrarse en el vida laboral y social. En palabras de Víctor Jiménez Yuste, jefe del Servicio de Hematología y Hemoterapia del Hospital Universitario La Paz de Madrid y moderador y ponente de la sesión científica, “la mejora de la calidad de vida de los pacientes con hemofilia es enorme si la comparamos con la que tenían veinte años atrás. En el caso de los niños y adolescentes, su adaptación a la vida es muy positiva y en ellos no se aprecian secuelas físicas. Ahora mismo, es imposible reconocer a un niño con hemofilia de otro que no la padezca”.

Sin embargo, todavía un 30% de los pacientes con hemofilia A y alrededor del 5% de pacientes con hemofilia B desarrollan anticuerpos frente a los factores infundidos, lo que determina la falta de respuesta al tratamiento.

### **Revolución en el tratamiento de la hemofilia**

“Entre los últimos avances en el tratamiento de la hemofilia destacan el desarrollo de concentrados de FVIII y FIX de vida media extendida y las moléculas con dianas terapéuticas diferentes a la sustitución de los factores recombinantes. Se trata de preparados de administración subcutánea muy eficaces tanto para tratar a pacientes con inhibidores como sin ellos”, señala Ana Villegas.

En este sentido, Víctor Jiménez Yuste añade: “además de representar una protección real frente a las hemorragias, el hecho de que su administración sea subcutánea y con carácter semanal o quincenal, supone una importantísima ventaja para los pacientes. De hecho, acaban de publicarse en *The Lancet Haematology* los resultados del primer estudio sobre la administración de emicizumab una vez el mes”.

Por su parte, “los estudios con terapia génica son muy prometedores. Estos tratamientos están diseñados para que el factor desarrollado por el gen vehiculizado por adenovirus modificado tenga un nivel suficiente y perdurable en el tiempo, que evite las hemorragias y no sea necesario el reemplazo exógeno de los factores deficitarios”, explica Villegas. “En estos momentos, -continúa Jiménez Yuste-, nos encontramos con diferentes niveles de investigación, con ensayos clínicos en fases más iniciales (en búsqueda de dosis), pero también con estudios en fase III. De hecho, durante 2019 y 2020 se llevará a cabo en España un reclutamiento muy importante de pacientes para formar parte de ensayos clínicos fase III de terapia génica”.

Por último, Víctor Jiménez Yuste solicita “colaboración a la Administración sanitaria para trabajar de forma conjunta en la mejora del acceso a todas las nuevas terapias que están llegando y están por llegar. Aunque hablamos de tratamientos con un alto coste económico, no cabe duda de que su eficacia es total”.

### **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, que cumplirá 60 años el próximo 22 de mayo, 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.

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

**Jorge Sánchez Franco**

Tels.: 91 319 58 16 / 667 675 476

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

**Alba Corrada de la Fuente**

Tel.: 91 319 19 98

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

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

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

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

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