

El viernes 17 de abril se celebra el Día Mundial de la Hemofilia

Los nuevos tratamientos no sustitutivos y la terapia génica, principales avances en hemofilia

- *Las moléculas complejas de factor VIII como el BIV001 consiguen aumentar la duración del factor entre 3 y 4 veces cuando se compara con los factores de vida media convencional*
- *La terapia génica en hemofilia puede suponer un cambio de paradigma con respecto a todos los tratamientos actuales, dicen los especialistas*
- *Manuel Moreno, presidente de la Real Fundación Victoria Eugenia, confía en la posibilidad de que las familias con hemofilia moderada o severa puedan recurrir a la reproducción asistida*

Madrid, 16 de abril de 2020.- Los nuevos tratamientos no sustitutivos y la terapia génica son algunos de los principales avances que se están investigando en el ámbito de la hemofilia. Mañana viernes, 17 de abril, se celebra el Día Mundial de la Hemofilia, una fecha que la mayoría de los pacientes vivirán en confinamiento. Los expertos han coincidido en destacar que la precaución y los hábitos saludables son los mejores consejos para las personas con hemofilia mientras dure el estado de alerta.

El paciente con hemofilia debe seguir el tratamiento habitual de profilaxis antihemorrágica prescrito por su hematólogo y mantener las mismas precauciones que siempre ha tenido para evitar sangrados traumáticos, especialmente en la situación actual de confinamiento debido a la pandemia por la enfermedad Covid-19.

A pesar del confinamiento, se puede evitar el sedentarismo con la realización de las tareas domésticas, juegos que incorporen movimiento, subir y bajar las escaleras, caminar mientras se habla por teléfono o realizar tablas de ejercicios, siempre adaptados a la capacidad física de cada paciente. Son recomendaciones del Dr. Ramiro Núñez, vocal de la Sociedad Española de Trombosis y Hemostasia (SETH) y jefe de Sección de Trombosis y Hemostasia del Hospital Universitario Virgen del Rocío de Sevilla.

Asimismo, este especialista recuerda la necesidad de “seguir una alimentación saludable teniendo presente que permanecer en casa conlleva menos gasto energético del habitual y el hecho de no tener las ocupaciones rutinarias puede aumentar la sensación de hambre”. También recuerda la importancia de mantener la adherencia al tratamiento y administrar las dosis de factor previstas, sobre todo en los pacientes en profilaxis que pueden tener la “tentación” de saltarse dosis por la reducción de la actividad.

Las mismas posibilidades

El paciente con hemofilia tiene las mismas posibilidades y riesgos de contagiarse con el virus Covid-19, pero las complicaciones pueden producirse por las comorbilidades que tenga asociadas, como explica el Dr. Pascual Marco, jefe de Servicio de Hematología y Hemoterapia del Hospital General Universitario de Alicante. “En caso de sospecha de infección por Covid-19, el paciente con hemofilia debe seguir los mismos cauces que el resto de la población y contactar con su especialista en Hematología”, indica.

Por su parte, el Dr. Núñez añade que “no hay evidencia de que las personas con VIH controlado tengan un mayor riesgo de contraer la Covid-19, ni que experimenten más gravedad que otras personas de la misma edad de población general; sin embargo, sí podrían tener un mayor riesgo pacientes con cifras de linfocitos T CD4 <200/mm³, los que no reciben tratamiento antirretroviral para el VIH o aquellos que tengan una enfermedad hepática crónica”.

Sin evidencias científicas de interacciones

En caso de ser contagiado, el paciente hemofílico debe seguir el tratamiento indicado para el virus, sin temer por las interacciones con las terapias antihemorrágicas, como recalcan los especialistas, que no han observado evidencias científicas sobre interferencias entre tratamientos.

Según el Dr. Ramiro Núñez, en relación con los factores derivados del plasma, los procedimientos de inactivación y eliminación virales empleados son suficientes para destruir virus envueltos en lípidos como el SARS-CoV-2. “En el caso de producirse un contagio y precisar alguno de estos tratamientos para el control de la infección (cloroquina, antirretrovirales...) según la evolución del cuadro podría ser necesario un reajuste de la pauta de tratamiento con factor para mantener niveles de actividad más altos y prevenir el riesgo de sangrado en relación, fundamentalmente, con la tos y la afectación pulmonar que puede producir”, explica.

Este especialista indica también que, en caso de infección por este tipo de coronavirus, “se desconoce el riesgo de complicaciones trombóticas en pacientes con hemofilia que actualmente reciben tratamiento con terapias no sustitutivas como emicizumab u otros agentes aún en fase de ensayos clínicos, por lo que se recomienda una vigilancia estrecha en estos casos”.

Principales avances en el tratamiento

En cuanto a las novedades terapéuticas para la hemofilia, en general, el Prof. Pascual Marco resalta que cada vez se dispone de “más y mejores productos”, como los concentrados de factores de tercera generación, los concentrados de factores de vida media extendida, las terapias disruptivas (emicizumab, inhibición de la antitrombina, inhibición del TFPI) y la terapia génica.

Precisamente la terapia génica es una de las apuestas en investigación para hemofilia A y B. Uno de los productos está disponible en Estados Unidos y en España, y ya se están realizando diversos ensayos clínicos en fase III “cuyos resultados clínicos parecen muy prometedores”, avanza el Dr. Pascual Marco.

Por su lado, el Dr. Ramiro Núñez destaca que actualmente las investigaciones van dirigidas a culminar los ensayos de algunas moléculas cuya acción se basa en equilibrar la hemostasia actuando sobre dianas diferentes al factor VIII o factor IX, como serían el concizumab o el fitusiran. “También son prometedoras las opciones de moléculas complejas de FVIII como el BIV001, ya en una fase avanzada de su desarrollo clínico, que consigue aumentar la duración del factor entre 3 y 4 veces cuando se compara con los factores de vida media convencional”. El especialista del Hospital Virgen del Rocío también considera que la terapia génica “puede suponer un cambio de paradigma con respecto a todos los tratamientos actuales”.

La posibilidad de la reproducción asistida

Desde la Real Fundación Victoria Eugenia (RFVE), su presidente, Manuel Moreno, confía en que las investigaciones y los avances terapéuticos consigan mejorar “todavía más la eficacia y la seguridad” de los tratamientos para la hemofilia, “sin olvidar la posibilidad de la reproducción asistida, sobre todo en familias con patología moderada o severa”. “Ya hay resultados preliminares con excelentes perspectivas, pero es necesario ampliar los estudios y mejorar protocolos”, añade.

Finalmente, el presidente de la RFVE envía “un mensaje de esperanza” a toda la población para afrontar la actual crisis sanitaria: “Los avances en Hemofilia se seguirán produciendo, y tenemos esperanza para un colectivo que padece una enfermedad genética, con la que se nace y se muere, y que también ha sido capaz de vencer a otros virus emergentes con dramáticas experiencias al comienzo de su extensión, y en ambos casos por terapias derivadas del plasma humano”.

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 profesionales de la salud e investigadores que trabajan en el campo 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. Además, promueve el trabajo cooperativo entre sus socios a través de Grupos de Trabajo para así avanzar en el conocimiento desde una visión multidisciplinar. La sociedad cuenta con más de 400 profesionales de reconocido prestigio en este campo a nivel nacional e internacional, 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, que ha cumplido 60 años, 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 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.

Sobre la RFVE

La RFVE es una entidad sin ánimo de lucro de carácter benéfico asistencial y científico de carácter particular y privado, constituida el 14 de febrero de 1989. Su finalidad es proteger la salud y remediar aquellas situaciones precarias de las personas con hemofilia u otras coagulopatías congénitas, y sus familiares.

Los objetivos de la RFVE son promover la investigación, dotar de becas de investigación, promocionar cursos, congresos, seminarios, mesas redondas y conferencias relacionadas con las coagulopatías congénitas. Del mismo modo promueve la edición de publicaciones y la creación de fondos documentales, preparando campañas de sensibilización que favorezcan la inserción social y la rehabilitación psíquica de los afectados por coagulopatías congénitas o enfermedades asociadas.

Más información:

Marta Jiménez: 630 89 33 45 // comunicación@seth.es

Jorge Sánchez Franco: 667 675 476 // comunicacion@sehh.es