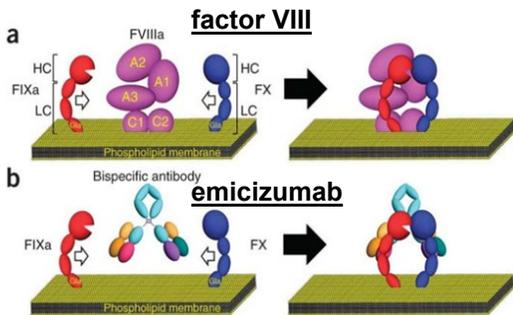


¿Qué es emicizumab? El emicizumab (Hemlibra®) es un medicamento con receta que está aprobado por la FDA y que se usa como profilaxis de rutina para prevenir o reducir la frecuencia de los episodios de sangrado en adultos y niños (de todas las edades) con hemofilia A (deficiencia del factor VIII) con o sin inhibidores. No podemos medir el efecto del emicizumab de la misma manera que los niveles del factor VIII. Se cree que lleva a los pacientes al rango de hemofilia leve. De hecho, el emicizumab interfiere con los niveles de rutina del FVIII; esto puede persistir por 5 a 6 meses después de la última dosis de emicizumab.

¿Cómo funciona el emicizumab?

El emicizumab fue elaborado para imitar la función del factor VIII activado. Es un anticuerpo humanizado y recombinante que adhiere el factor IXa (FIXa) y el factor X (FX) para ayudar al cuerpo a formar coágulos de sangre normales.



Kitazawa et al, Nature Medicine, 2012

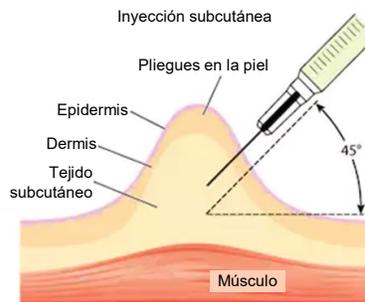
El objetivo del emicizumab es proporcionar un nivel más estable de protección contra el sangrado comparado con los picos y los puntos más bajos que ocurren con las infusiones de reemplazo de FVIII. El emicizumab no normaliza la coagulación de la sangre y tampoco está previsto para tratar sucesos de sangrado.

¿Seguiría necesitando mi factor o agente de derivación?

- ¡Sí! Emicizumab no está indicado para el tratamiento del sangrado ni para dar protección adecuada del sangrado para operaciones o procedimientos.
- Es importante que tenga y lleve consigo unas cuantas dosis (por lo menos, 2) no vencidas de su tratamiento para el sangrado (Factor VIII o agente de derivación).
- A diferencia de su experiencia anterior, no todas las lesiones o sangrados menores necesitarán tratamiento. Comuníquese con su equipo de hemofilia (HTC) para hablar sobre un plan de cobertura seguro y eficaz para el sangrado.

¿Cómo se administra el emicizumab?

Se administra con inyección por vía subcutánea (SQ), que significa apenas por debajo de la piel hacia el tejido graso. Este tipo de inyección se hace con una aguja pequeña (aguja de calibre 26-27) y corta (~1cm).



Parte superior de los brazos
Abdomen
Muslos



¿Cómo se dosifica el emicizumab?

- El emicizumab se inyecta semanalmente, comenzando con 4 dosis de carga semanales (3 mg/kg/dosis), seguidas de dosis de mantenimiento semanales (1.5 mg/kg/dosis).
- Por lo menos, la primera dosis se dará bajo supervisión médica para monitorear cualquier reacción y para enseñarle cómo inyectar el emicizumab correctamente.
- Para algunos pacientes, quizás sean apropiados regímenes de dosificación menos frecuentes, como cada 2 o 4 semanas, si están tolerando bien la dosis semanal.

¿Cómo se despacha el emicizumab?

- Listo para inyectar (¡sin mezclarlo!)
- Solución incolora/ligeramente amarilla
- Vial de un solo uso; 4 tamaños de vial: 30 mg/ml, 60 mg/0.4 ml, 105 mg/0.7 ml, 150 mg/ml
- Guárdelo en el refrigerador a una temperatura de 36 °F a 46 °F en la caja original para protegerlo de la luz. No lo congele. No lo agite. El tiempo fuera del refrigerador no debería exceder 86 °F o 7 días.

¿En qué tipos de pacientes se han hecho estudios de emicizumab? ¿Hay datos pediátricos?

- Los ensayos clínicos centrales de emicizumab incluyeron aproximadamente a 400 pacientes con hemofilia A grave (con o sin inhibidores). Esto incluye a unos 130 niños menores de 18 años (18 pacientes <2 años y 20 pacientes de 2-6 años).
- También se han hecho estudios de emicizumab en ensayos clínicos para pacientes con hemofilia moderada o leve y síntomas significativos de sangrado, y en niños pequeños (<3 años).
- Para los pacientes con síntomas de sangrado a pesar de la profilaxis, los estudios clínicos de emicizumab han mostrado una disminución significativa en el sangrado.

¿Hay algún efecto secundario o preocupaciones de seguridad?

- El efecto secundario más frecuente (~15 %) es una reacción en el lugar de la inyección (enrojecimiento, moretones, dolor o picazón).
- No se han observado cuestiones de seguridad para pacientes de hemofilia sin inhibidores que usan el Factor VIII o el factor recombinante VIIa para el tratamiento de sangrado.
- Varios pacientes con inhibidores que usen tanto emicizumab como aPCC/FEIBA al mismo tiempo han desarrollado coágulos de sangre o lesiones en órganos, así que esta combinación debe evitarse.
- Existe la posibilidad de desarrollar anticuerpos contra el emicizumab. Del 3.5 % de los pacientes a los que se detectaron anticuerpos contra medicamentos, solo 3 pacientes (<1 %) tuvieron una disminución en la función del medicamento.

¿Cómo comienzo a hacer el cambio a emicizumab?

- Llame al 617-355-6235 para programar por lo menos la primera dosis de carga de emicizumab en el CAT/CR para que le enseñen sobre las dosis de carga y la aplicación de inyecciones (lo hará su equipo de hemofilia).
 - Su proveedor en hemofilia enviará a su farmacia de especialidades una receta para las dosis de emicizumab a su casa. Se le entregará con los suministros apropiados.
 - Le enseñarán a inyectar emicizumab correctamente durante sus primeras dosis de carga, y los enfermeros para infusión en casa pueden dar más apoyo y enseñanza.
- <https://www.hemlibra.com/patient/taking-hemlibra/how-to-inject-hemlibra.html>



Preguntas frecuentes

- **¿Cuándo suspendo mi profilaxis del factor?** Podemos recomendar que continúe con su profilaxis del factor VIII por las primeras 1-2 semanas después de comenzar emicizumab; esto depende del paciente individual.
- **¿Se necesita algún monitoreo de laboratorio?** No. Le extraerán sangre para análisis de laboratorio como punto de referencia cuando comience emicizumab, pero no hay niveles de emicizumab que se puedan verificar rutinariamente.
- **¿Monitorean los anticuerpos para el medicamento?** Estos ocurren con muy poca frecuencia, pero si tiene síntomas de sangrado previstos, evaluaremos el efecto de pérdida de emicizumab con una prueba de coag. de PTT.
- **¿Cómo se hace el monitoreo de anticuerpos para el factor VIII?** Podemos medir los inhibidores del factor VIII para pacientes que usen emicizumab, con una prueba inhibidora modificada llamada ensayo cromogénico de inhibidores.

Sitios web y recursos educativos útiles

Boston Hemophilia Center www.childrenshospital.org/centers-and-services/hemophilia-program

National Bleeding Disorders Foundation www.hemophilia.org

New England Hemophilia Association www.newenglandhemophilia.org

World Foundation of Hemophilia www.wfh.org

HemAware www.hemaware.org

LA Kelley Communications www.kelleycom.com



Pediatric Bleeding Disorder Program

300 Longwood Ave., Fegan 6, Boston, MA

Teléfono: 617-355-6101 | Fax: 617-730-0641