



República Argentina - Poder Ejecutivo Nacional
2019 - Año de la Exportación

Informe

Número:

Referencia: EX-2019-90192973-APN-GGE#SSS - ANEXO I

ANEXO I

PROTOCOLO DE RECUPERO Y REQUISITOS ESPECÍFICOS - HEMOFILIA

- Sistema orgánico funcional: Hematopoyético

- Afección de la salud: Enfermedad Hematológica

Módulo de tratamiento para la Hemofilia La Hemofilia es un desorden hemorrágico infrecuente, originado por mutaciones en el cromosoma X, que genera una disminución o ausencia de actividad funcional de los factores VIII y IX. La expresión clínica de la hemofilia es la hemorragia en diversas localizaciones del organismo: articulaciones, músculos en miembros inferiores y superiores, hemorragias internas, aparato digestivo, urinario y otros en menor frecuencia. La enfermedad de van Willebrand (EvW) es una anomalía en la coagulación de carácter hereditario que ocasiona una deficiencia cualitativa o cuantitativa del factor de van Willebrand (FvW), proteína involucrada en la adhesión plaquetaria. La mayor parte de los casos de hemofilia son hereditarios, motivo por el cual el rastreo y consejo genético de los progenitores constituyen una herramienta fundamental para el control de la patología.

1) Drogas incluidas en los módulos:

- Factor VIII-C Sinónimo: Factor de Von Willebrand.
- Factor de coagulación VIII Sinónimo: Factor VIII/Factor VIII Recombinante/Optacog Alfa.
- Factor de coagulación VIIa recombinante Sinónimo: Eptacog alfa (activado)
- Anti Inhibidor del Factor VIII: Sinónimo: Complejo Protrombínico Activo.

- Factor de coagulación IX Sinónimo: Factor IX/Factor IX Recombinante

- Emicizumab

2) Tipos de tratamiento comprendidos en el módulo:

A. Tratamiento a demanda

Fundamento terapéutico: Pacientes con diagnóstico de hemofilia A o B severa para el tratamiento de la hemorragia aguda espontánea o tratamiento odontológico o prequirúrgico preventivo. Para el caso específico del Anti Inhibidor del Factor VIII y del Factor de coagulación VIIa recombinante se requiere además que el paciente presente dosaje de inhibidor circulante por encima a las 5 Unidades Bethesda (no siendo requerido que el dosaje sea efectuado en el momento del evento). Tratamiento como profilaxis Fundamento terapéutico:

B. Profilaxis primaria:

Pacientes afectados de Hemofilia A o B severa (con factores por debajo de 1% en sangre), luego del primer episodio de hemorragia mayor o articular.

C. Profilaxis secundaria:

Pacientes afectados de Hemofilia A o B severa (con factores por debajo de 1% en sangre) mayores de dos años de edad y menores de 18, que presenten más de dos hemorragias articulares, en una o más articulaciones blanco y sin secuelas articulares graves.

D. Inmunotolerancia

La inmunotolerancia constituye una estrategia para la desensibilización del sistema inmunológico en pacientes con hemofilia que han desarrollado anticuerpos contra los factores VIII/IC por medio de la exposición al antígeno. El éxito se determina por el logro de niveles indetectables de inhibidor. Fundamento terapéutico: Pacientes afectados por Hemofilia A o B severa con inhibidor circulante por encima a las 5 Unidades Bethesda. Si no se logra respuesta objetivable (niveles indetectables de inhibidor circulante) dentro de los 33 meses debe suspenderse la inmunotolerancia.

E. Emicizumab

El Emicizumab será reconocido como tratamiento de pacientes con hemofilia A y presencia de inhibidores, ya sea bajo tratamiento a demanda o en profilaxis con agentes bypassantes, sería potencial candidato a utilizar la tecnología.

Para las presentaciones de recupero de Emicizumab se deberá presentar información al Sistema de Tutelaje de Tecnologías Sanitarias Emergentes, donde se deberá detallar la fecha de inicio de la terapia, sangrados nuevos y eventos adversos relacionados con la terapia.

