



La Comisión Europea aprueba el nuevo tratamiento de Pfizer para la profilaxis en hemofilia A o B grave sin inhibidores en pacientes adultos y adolescentes

- **Marstacimab (HYMPAVZI®) es el primer tratamiento subcutáneo semanal aprobado para personas con hemofilia B grave y el primero aprobado que se administra mediante una pluma precargada para personas con hemofilia A o B grave en la Unión Europea**
- **La autorización se basa en los resultados del estudio fase 3 BASIS, que demostró una reducción significativa del 35% en la tasa anualizada de sangrados tratados en comparación con la profilaxis previa con factores de reemplazo**

Madrid, 25 de noviembre de 2024 – La Comisión Europea (CE) ha aprobado marstacimab (HYMPAVZI®) para la profilaxis rutinaria de episodios hemorrágicos en pacientes de 12 años o mayores y un peso de al menos 35 kg con hemofilia A grave (deficiencia congénita de factor VIII [FVIII], FVIII <1%) sin inhibidores de FVIII o hemofilia B grave (deficiencia congénita de factor IX [FIX], FIX <1%) sin inhibidores de FIX.

Este fármaco es el primer anticuerpo contra el inhibidor de la vía del factor tisular (anti-TFPI) aprobado en la Unión Europea para tratar la hemofilia A o B y el primero aprobado en la UE que se administra con una pluma precargada. Asimismo, ofrece una opción de tratamiento subcutáneo con un régimen de dosificación semanal.

“Las opciones de tratamiento estándar para la hemofilia A y B suponen una carga considerable para los pacientes, ya que la preparación y administración de infusiones e inyecciones requiere de un tiempo notable para ser realizadas correctamente, lo que puede dar lugar a la omisión de dosis y a un aumento del riesgo de hemorragias”, ha afirmado José Chaves, director Médico de Pfizer España. “Esta opción terapéutica representa un avance significativo para estos pacientes, ya que puede contribuir a la prevención de hemorragias, y permite su administración subcutánea una vez a la semana a través de una pluma precargada”, ha subrayado Chaves.

La hemofilia es una familia de enfermedades raras genéticas de la sangre, causadas por la deficiencia de un factor de coagulación (FVIII en la hemofilia A y FIX en la hemofilia B), que afectan a más de 800.000 personas en todo el mundo y aproximadamente a 3.000 personas



en España.^{1,2} Esta patología se diagnostica en los primeros años de la infancia y se caracteriza por la incapacidad de la sangre para coagularse correctamente, aumentando el riesgo de hemorragias repetidas en las articulaciones u otros tejidos, lo que puede provocar daños articulares permanentes o sangrados que no cesan.^{3,4} A pesar de los avances significativos en su tratamiento, logrados en los últimos años, muchas personas que viven con la enfermedad continúan experimentando episodios hemorrágicos y requieren ser tratadas con infusiones intravenosas frecuentes, que a menudo necesitan ser administradas varias veces a la semana.⁵

"Este tratamiento ofrece una opción innovadora para las personas que viven con hemofilia, una enfermedad que a menudo provoca un dolor articular recurrente y que puede afectar a actividades cotidianas tan simples como subir unas escaleras", ha explicado José Chaves. "Esta aprobación refleja el compromiso de más de 40 años de nuestra compañía por contribuir a mejorar el abordaje de la hemofilia. Esperamos poder ofrecer esta solución, que no solo reduce las hemorragias, sino que, además, requiere una preparación más sencilla, un aspecto que es clave para los pacientes", ha añadido.

La aprobación se basa en los resultados del estudio pivotal fase 3 BASIS ([NCT03938792](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT03938792)) que evaluó la eficacia y seguridad de este fármaco en adultos y adolescentes de 12 años o mayores con hemofilia A o B grave sin inhibidores. En este ensayo clínico, la profilaxis con este fármaco redujo significativamente la tasa anual de sangrados tratados (ABR, por sus siglas en inglés) un 35% durante el periodo activo de tratamiento de 12 meses, en comparación con la profilaxis previa con factores de reemplazo. En el ensayo se demostró tanto no inferioridad como superioridad, respecto a la profilaxis previa con factores de reemplazo. Además, el perfil de seguridad fue consistente con los resultados de la fase 1 y 2, y los acontecimientos adversos más comunes reportados en el estudio fueron reacciones en el lugar de inyección, cefalea, prurito e hipertensión.

Esta aprobación es válida en los 27 Estados miembros de la UE, así como en Islandia, Liechtenstein y Noruega. Esta aprobación de la CE sigue a la autorización reglamentaria en los [Estados Unidos](#) en octubre.

El esfuerzo de más de 40 años de Pfizer por avanzar en el abordaje de la hemofilia comenzó con la introducción de fármacos recombinantes y se ha ampliado a nuevas modalidades de tratamiento avanzadas.

Sobre la Hemofilia

La hemofilia es una familia de enfermedades genéticas raras de la sangre causadas por la deficiencia de un factor de coagulación (FVIII en la hemofilia A, FIX en la hemofilia B), que impide la coagulación normal de la sangre. La hemofilia se diagnostica en la infancia temprana y afecta a más de 800.000 personas en todo el



mundo y a aproximadamente 3.000 personas en España.^{1,2} La incapacidad de la sangre para coagular correctamente puede aumentar el riesgo de hemorragias dolorosas en el interior de las articulaciones, lo que puede causar cicatrices y daños articulares. Las personas con hemofilia pueden sufrir daños articulares permanentes tras episodios repetidos de hemorragia.^{3,4}

Durante décadas, el tratamiento más habitual de la hemofilia A y B se ha basado en la terapia de sustitución de factores, que reemplaza los factores de coagulación que faltan o están deficitarios. Las terapias de sustitución de factores aumentan la cantidad de factor de coagulación en el organismo hasta niveles que mejoran la coagulación, lo que se traduce en menos hemorragias.^{6,7}

Se cree que la carga que suponen las infusiones intravenosas es un obstáculo para el cumplimiento terapéutico de algunas personas con hemofilia, debido en parte a la incomodidad, la falta de tiempo y el acceso venoso deficiente.^{8,9,10,11} En una encuesta realizada entre pacientes, médicos y enfermeras especializadas de seis países europeos, la falta de tiempo para el tratamiento y la conveniencia figuraban entre las principales razones para no utilizar la cantidad prescrita de factor de coagulación o saltarse la administración del tratamiento⁸.

Pfizer, innovaciones que cambian la vida de los pacientes®

Pfizer, como compañía biomédica que trabaja para mejorar la salud de las personas, se dedica al desarrollo de terapias y vacunas innovadoras para curar y prevenir enfermedades o aliviar sus síntomas. Con una trayectoria de más de 175 años, Pfizer mantiene su compromiso con la sociedad y apuesta por la I+D para dar respuesta a las necesidades médicas de hoy y del mañana. El avance de la ciencia y la tecnología, así como su aplicación médica, exige colaborar con todos los implicados para maximizar la cartera de medicamentos y que la innovación farmacéutica llegue a todas las personas que la necesitan de manera rápida, asequible, fiable y con transparencia, de acuerdo con los más altos estándares de calidad y seguridad. Para más información www.pfizer.es

Pfizer Comunicación

María Ángeles Pinilla – 615 01 86 19
maria.pinilla@pfizer.com

IPG PR

Ana Gómez – 699 119 888
agomezpalomo@ipg-pr.com

Mario Corcho - 917 45 86 15
mcorcho@ipg-pr.com

Referencias:

¹ World Federation of Hemophilia. World Federation of Hemophilia Global Report on the Annual Global Survey 2022. <https://www1.wfh.org/publications/files/pdf-2399.pdf>.

² Aznar JA, Lucia F, Abad-Franch L, Jimenez-Yuste V, Pérez R, Batlle J, et al. Haemophilia in Spain. Haemophilia (2009), 15, 665-675.



- ³ Srivastava A, Santagostino E, Dougall A, et al. WFH guidelines for the management of hemophilia, 3rd Edition; 2020. *Haemophilia*. 26(S6):1-158. <https://doi.org/10.1111/hae.14046>.
- ⁴ Franchini M, Mannucci PM. Past, present and future of hemophilia: a narrative review. *Orphanet J Rare Dis*. 2012;7:24. <https://doi.org/10.1186/1750-1172-7-24>.
- ⁵ Ohmori T, Mizukami H, Ozawa K, et al. New approaches to gene and cell therapy for hemophilia. *J Thromb Haemost*. 2015;13(Suppl 1):S133-142.
- ⁶ Centers for Disease Control and Prevention. Hemophilia. <https://www.cdc.gov/ncbddd/hemophilia/>.
- ⁷ Weyand AC, Pipe SW. New therapies for hemophilia. *Blood*. 2019;133(5):389-398. <https://doi.org/10.1182/blood-2018-08-872291>.
- ⁸ De Moerloose P, Urbancik W, Van Den Berg HM, Richards M. A survey of adherence to haemophilia therapy in six European countries: results and recommendations. *Haemophilia*. 2008;14(5):931-8.
- ⁹ Hacker MR, Geraghty S, Manco-Johnson M. Barriers to compliance with prophylaxis therapy in haemophilia. *Haemophilia*. 2001;7(4):392-6.
- ¹⁰ Zappa S, McDaniel M, Marandola J, Allen G. Treatment trends for haemophilia A and haemophilia B in the United States: results from the 2010 practice patterns survey. *Haemophilia*. 2012;18(3):e140-53.
- ¹¹ Geraghty S, Dunkley T, Harrington C, Lindvall K, Maahs J, Sek J. Practice patterns in haemophilia A therapy -- global progress towards optimal care. *Haemophilia*. 2006;12(1):75-81.