



Profylaxe emicizumabem u hemofilie A s inhibitory

Emicizumab se využívá v léčbě pacientů s hemofilií A. V tomto textu jsou popsány výsledky fáze 3 multicentrické studie, kdy 1 skupina pacientů dostávala subkutánně emicizumab 1x týdně jako profylaxi. Druhá byla bez profylaxe emicizumabem a užívala inhibitory. Ve skupině C byli pacienti, kteří již předtím na profylaktické terapii emicizumabem byli.

Počty krvácivých příhod během roku byly 2,9 u pacientů v 1. skupině vs. 23,3 ve skupině 2. Ve skupině 1 bylo 22 pacientů, kteří neměli žádnou krvácivou příhodu, ve skupině B to byl jeden pacient. Ve skupině C byla také krvácivost mnohem nižší.

Nežádoucí účinky byly reportovány u 103 pacientů z celkových 198, kteří užívali emicizumab jako profylaxi. Nejčastěji se jednalo o reakci v místě vpichu.

Výsledky ukazují, že emicizumab je vhodnou profylaxi. Výrazně snižuje počty krvácivých příhod v porovnání s pacienty, kteří jej neužívali jako profylaxi a byli na faktor VIII inhibitory.

[Emicizumab Prophylaxis in Hemophilia A with Inhibitors](#)

NEJM, Vol. 377 No. 9, August 31, 2017

Zacílení na antitrombin v léčbě hemofilie A nebo B pomocí RNAi terapie

Současná terapie hemofilie zahrnuje intravenózní podání srážecích faktorů, což je ale spojené i s rizikem vzniku aloprotilátok. Fitusiran, experimentální léčivo RNAi cílící na antitrombin kódovaný SERPINC1. Zde se jednalo o fázi 1 dávkově eskalační studie, v níž byli 4 zdraví dobrovolníci a 25 pacientů se středně těžkou až těžkou hemofilií A nebo B, kteří ještě nemají inhibiční aloprotilátky. Zdraví dobrovolníci dostali 1 dávku subkutánně nebo placebo. Pacienti dostali 3 injekce fitusiranu 1x týdně (dávky 0,015, 0,045, 0,075 mg/kg) nebo 1x měsíčně (0,225, 0,45, 0,9 a 1,8 mg/kg) nebo byla podávána 1 fixní dávka 80 mg. Při léčbě se neobjevily žádné trombotické příhody. Nejčastějším nežádoucím účinkem byla mírná reakce v místě vpichu. Plazmatická hladina fitusiranu se zvyšovala závisle na dávce a po opakovaném podávání se neobjevila akumulace. Při léčbě 1x měsíčně byl antitrombin redukován o 70 až 89 %. Redukce antitrombinu o více než 75 % došlo také u zdravých dobrovolníků. Podávání fitusiranu 1x měsíčně snižuje hladinu antitrombinu a zvyšuje tvorbu trombinu u pacientů s hemofilií A nebo B.

[Targeting of Antithrombin in Hemophilia A or B with RNAi Therapy](#)

NEJM, Vol. 377 No. 9, August 31, 2017

Top Articles:

- [Alectinib versus Crizotinib in Untreated ALK-Positive Non-Small-Cell Lung Cancer](#)
- [Eosinophilic Bronchitis](#)
- [A New Chapter for Diabetic Kidney Disease](#)