

HEMOFILIA

Sábado 17 de julio

SSC Sessions: Factor VIII, Factor IX and Rare Coagulation Disorders

In Patients on Non-Factor Therapies, Exposure to Clotting Factor Replacement Should Be Early (Debate)

Manuel Carcao

Jayanthi Alamelu

En esta sesión del debate el Dr. Carcao y la Dra. Alamelu nos presentan su punto de vista sobre la administración o no de Factor VIII concomitante en PUPs en tratamiento con emicizumab para tolerizar a los pacientes.

Non-Factor Replacement Therapy Versus Factor Replacement Therapy Risks -There Is No Free Lunch (Debate)

Bhavya Doshi

Gili Kenet

De nuevo tenemos la oportunidad de ver los argumentos a favor de las terapias de reemplazo de mano de la Dra. Gili Kenet, con una interesante revisión de los ensayos clínicos y los datos en vida real vs la Dra. Doshi que nos habla de las razones o incertidumbres que existen aún para apoyarse en las alternativas terapéuticas.

Beyond Annualized Bleed Rates What Should Be the Alternative Endpoints for Non-Replacement Therapies

Alok Srivastava

Parte de la necesidad de estandarizar las definiciones de ABR dado que desde su punto de vista hay demasiada subjetividad y presenta las medidas “beyond ABR” o más allá del ABR como la forma de abordar un futuro con menos sangrados. Interesante revisión de objetivos beyond ABR disponibles.



[Link a las sesiones](#)

HEMOFILIA

Sábado 17 de julio

SSC Sessions: Factor VIII, Factor IX and Rare Coagulation Disorders

Anti Adeno-Associated Virus Antibodies Antibodies: What Are the Standardization Issues?

David Lillicrap

Revisión sobre los Anticuerpos aAAV enfatizando la variabilidad entre ensayos, impacto en la elegibilidad, y lanza la pregunta de si es por ellos por los que se observa gran variabilidad de respuesta. Reclama ensayos estandarizados para evitar las incertidumbres.

Rationale for Adeno-associated Virus (AAV) Mediated Gene Therapy in Patients With Anti Adeno-associated Virus Antibodies

David Cooper

Justificación del uso de AAV-5 en TG y teorizan sobre si los NABs de AAV5 preexistentes no afectarán a la capacidad de los pacientes de responder a la terapia génica.

What Should We Be Following-up Post Gene Therapy?

Barbara A. Konkle

Revisión de "knowns unknowns" y "unknowns unknowns" de la terapia génica y los efectos a largo plazo. Destacó la importancia del registro de terapia génica de la FMH, en colaboración con la ATHN.

Proposal for New Nomenclature for Previously Untreated Patients

Guy Young

El Dr. Young propone cambiar la nomenclatura con la que se refiere a PUPs o pacientes minimamente tratados debido a que cambia el abordaje con la llegada de las nuevas terapias con categorías según y exposición al factor.



[Link a las sesiones](#)

HEMOFILIA

Domingo 18 de julio

State of the Art: Clinical Care for Hemophilia in 2021 and Beyond

Current and future Hemophilia Treatments Options

Dr. Michael Makris

Repaso del estado del arte en relación a los tratamientos actuales, como los factores de coagulación (standard vs vida media extendida) y Emicizumab, entre otros, así como de las diferentes moléculas en investigación (fitusiran, concizumab, BIV001, Terapia Génica,...), analizando tanto su potencial como diferentes aspectos a tener en cuenta durante su desarrollo y la post-comercialización.

Impact of Novel Therapies Around the World

Margareth C. Ozelo

La presentación muestra el Impacto a nivel mundial de las nuevas terapias para la hemofilia y resalta la diferencia de acceso en el mundo a los diferentes tratamientos. Se destaca también, con el fin de corregir esta diferencia entre países, la importancia de los Programas de Ayuda Humanitaria de la WFH en los que laboratorios como Sanofi, Sobi o Roche, entre otros, han contribuido activamente.

Gene Therapy for Bleeding and Thrombotic Disease

Edward George Denley Tuddenham

Se realiza un repaso de los avances en la terapia génica, desde los primeros estudios realizados ya en 2010 así como los EECC más recientes Fase II y III, tratando aspectos como la respuesta inmunitaria y su manejo, los niveles de factor generados, entre otros.



[Link a las sesiones](#)

HEMOFILIA

Domingo 18 de julio

Oral Communication Session: Monitoring Joint Health in Hemophilia

Implementation of Tele-guidance for Patient Self-imaging of Arthropathic Joints Using Mobile Ultrasound Devices – – Results from a Pilot Study

Peter Aguero

Este estudio de telemedicina plantea como la autoimagen puede desempeñar un papel en la evaluación de la salud ósea y articular. Serían las personas con Hemofilia quienes se realicen las ecografías articulares, y pone de manifiesto el impacto y la importancia que tiene la tele-asistencia a la hora de tomar las imágenes, la calidad, el tiempo requerido, entre otras variables.

The Role of Point-of-Care Musculoskeletal Ultrasound for Routine Joint Evaluation and Management Considerations in Hemophilia Clinic

Nicolas Gallastegui

El estudio tiene como objetivo evaluar el papel de la ecografía en la toma de decisiones en el tratamiento de los pacientes con Hemofilia, presentando cómo sus resultados han influido a la hora de tomar decisiones clínicas.

Long-term Joint Outcomes in Hemophilia through Ultrasound: 2-year Interim Results from the Prospective J-DaUPHIN Study

Azusa Nagao

Resultados de un estudio prospectivo de 174 pacientes con Hemofilia en profilaxis para evaluar la salud articular mediante ecografías. Muestra como la evaluación y detección de sinovitis subclínica tuvo impacto directo en la modificación del tratamiento.

Detection of Joint Effusions in Pediatric Patients with Hemophilia Using Artificial Intelligence-assisted Ultrasound Scanning; Early Insights from the Development of a Self-management Tool

Pascal Tyrrell

El Dr Tyrrel presenta esta prueba de concepto innovadora al implementar un sistema de inteligencia artificial capaz de identificar sangrados o cambios en el sinovio a partir de imágenes generadas por Ecografías en articulaciones de pacientes pediátricos con Hemofilia.



[Link a las sesiones](#)

HEMOFILIA

Domingo 18 de julio

Oral Communication Session: RWD/RWE

First Interim Analysis of a 24-month French, Multicentre, Prospective, Non-interventional Study Evaluating the Real-world Usage and Effectiveness of the Extended Half-life Recombinant Factor IX Fc Fusion Protein (rFIXFc) in People with Haemophilia B (B-SURE)

Antoine Rauch

Long-term Outcomes in Adolescents with Moderate or Severe Hemophilia A: A PedNet Study

David Emanuel Schmidt

Peri-operative PK-guided Dosing of Desmopressin Combined with FVIII Concentrates in Hemophilia A: Final Results of the DAVID Study

Lorenzo Gaetano Renata Romano

Real-world Use of Damoctocog Alfa Pegol in Patients with Hemophilia A: Analysis of PK Profiles and Treatment Regimen Data from the WAPPS-Hemo Database

Maria Elisa Mancuso

Análisis intermedio del estudio B-SURE de rFIXFc que incluye al menos 9 meses de seguimiento centrándose en la eficacia y seguridad vs FIX escandar y la satisfacción de ambos, pacientes y clínicos con el tratamiento

Cohorte de pednet de adolescentes (15 de media) con HA grave y moderada para evaluar la salud articular a largo plazo, centrándose en HJHS y HEADUS.

El estudio DAVID nos presenta los resultados obtenidos tras hacer una administración de desmopresina y FVIII guiada por farmacocinética en HA, analizando la eficacia y seguridad de la combinación de tratamientos así como su impacto en la generación de posibles ahorros.

La Dra. Mancuso nos presenta una revisión de la serie en visa real de este fármaco obtenida a través de la base de datos WAPPS-Hemo para mostrar las frecuencias y valles obtenidos por los pacientes, confirmando el perfil farmacocinético del mismo



[Link a las sesiones](#)

HEMOFILIA

Domingo 18 de julio

Oral Communication: Hemophilia-Novel Therapeutic Approaches and Mechanisms

<p>Transplacental Delivery of Maternal FVIII for Induction of FVIII-specific Immune Tolerance</p> <p><i>Angelina Mimoun</i></p>	<p>Utilizando el paso transplacentario de IgGs, este estudio de prueba de concepto en ratones pretende evaluar si la administración sobre la madre gestante puede inducir la tolerancia al FVIII..</p>
<p>A Single-domain Antibody Anti-protein Z Dependent Protease Inhibitor Improves Thrombin Generation in Hemophilia</p> <p><i>Claire Auditeau</i></p>	<p>Presentan un potencial agente rebalanceador de la vía de la proteína Z y la ZPI, cuya inhibición puede tener efecto moderado pro-coagulante. Presentan resultados precoces del primer agente anti-ZPI.</p>
<p>Development of Monoclonal Antibodies that Protect FV/FVa from APC-mediated Inactivation for the Treatment of Bleeding</p> <p><i>Sean Quinn</i></p>	<p>El Dr. Quinn nos presenta cómo han desarrollado un AC para entender el mecanismo de inactivación APC de FV, de alta afinidad por FV/FVa. El candidato, actualmente se encuentra en estudio como abordaje para la HA en modelos animales</p>
<p>Thrombin Generation Rescued in Hemophilia A by Low-normal Levels of FV Is Confirmed to Be Partially due to Substrate Competition</p> <p><i>Karin Leiderman</i></p>	<p>Estudian los mecanismos por los cuales ciertos pacientes graves compensan la deficiencia de FVIII y explique la variabilidad fenotípica a través de un modelo matemático. Observaron que la inhibición parcial del FV mejora el depósito de fibrina en HA por lo que hipotetizan sobre los mecanismos que lo expliquen por la potencial aplicación</p>



[Link a las sesiones](#)