

HEMOFILIA A

Lunes 19 de julio

Oral Communication OC 24: Hemophilia Basic Science

Evaluation of the Tissue Factor-Independent Mechanism of Action for Eptacog Beta

Jean-Luc Plantier

De entre las 3 vías a través de las cuales el FVIIa favorece la formación del coágulo, este estudio plantea la hipótesis de que la vía independiente del factor tisular en plaquetas (TF-independent pathway on platelets) esté directamente relacionada con la actividad clínica de la terapia en investigación Eptacog Beta (rFVIIa)

Neutralizing and non-neutralizing Anti-FVIII Antibodies Black and White Hemophilia A Subjects: A natural History

Kathleen P. Pratt

Trabajo que se pregunta si los haplotipos F8 juega un papel en HA en cuanto al riesgo de desarrollo de inhibidores observando que ni los títulos de anticuerpos totales ni los inhibitorios se correlacionaron con los desajustes del halotipo F8, abriendo una nueva vía de investigación basándose en las uniones de los anticuerpos con BDD-FVIII

Pharmacokinetic Analysis of fVIII Exposure Identifies an Immunogenicity Threshold after AAV-FVIII Gene Therapy in a Murine Hemophilia A Model

Taran S. Lundgren

Estudio que parte de la hipótesis que el diseño del vector es principalmente responsable de la respuesta a la inducción anti-FVIII mediante un modelo para analizar la farmacocinética del FVIII producido a partir de la terapia génica

Altered vWF-FVIII Binding Modulates the Factor VIII Immune Response

Amelia Wilhelm

Mediante el diseño de diferentes variantes de FVIII humano unido al vWF, este estudio pretende testar la hipótesis de que el vWF pueda tener un rol importante en la respuesta inmune ante el FVIII y la generación de inhibidores.

 [Link a las sesiones](#)

HEMOFILIA A

Lunes 19 de julio

Oral Sessions: Novel Biotherapeutics in Hemophilia: Clinical

Ex vivo Assessment of the Importance of Activated Factor IX (FIXa) Levels in the Procoagulant Effect of Recombinant FIX Concentrates in Emicizumab-treated Patients

Elena G Arias-Salgado

La investigadora del Hospital Universitario La Paz, a través de pruebas de coagulación como ROTEM, CAT, analiza el papel pro-coagulante de rFIXa y cómo este podría tener un impacto sobre el efecto hemostático de Emicizumab en PCHA.

Emicizumab Prophylaxis and Monitoring: Real World Data

Gili Kenet

Tras los resultados de las 2 primeras cohortes de este estudio en neonatos y pacientes pediátricos, la Dra Kenet presenta los resultados de la cohorte completa de 113 pacientes tratados en su centro con Emicizumab, comparando adultos y niños y proporcionando evidencia en vida real sobre eficacia, cirugías y seguridad.

Immunogenicity in the Concizumab Phase 2 Clinical Trials: Clinical Impact of Anti-drug Antibodies

Giancarlo Castaman

El ponente repasa los casos de desarrollo de anticuerpos anti fármacos, la durabilidad de los mismos, el tipo de anticuerpo y sus implicaciones clínicas en los pacientes tratados con Concizumab en el contexto de los estudios Explore 4 y 5.

Long-term Safety and Efficacy of the Anti-TFPI Monoclonal Antibody Marstacimab in Patients with Severe Haemophilia A or B: Results from a Phase 2 Long-term Treatment Study

Johnny Mahlangu

Tras 1 año de seguimiento, se presentan los resultados relativos a la seguridad, tasa de sangrados, el desarrollo de ADAs, entre otros, para las dosificaciones de 150 y 300 mg de la molécula en investigación Marstacimab.

 [Link a las sesiones](#)

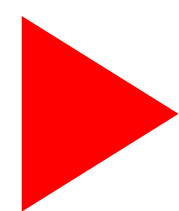
HEMOFILIA A

Lunes 19 de julio

Oral Communication: Hemostatic Agents and Hemostatic Efficacy (OC 26)

Efficacy and Safety of Valoctocogene Roxaparvovec Adeno-associated Virus Gene Transfer for Severe Hemophilia A: Results from the Phase 3 GENER8-1 Trial

Margareth C. Ozelo



[Link a las sesiones](#)

Resultados a las 52 semanas del estudio en fase 3 de Valoctocogene roxaparvovec, terapia génica en HA que incluye 134 pacientes sin inhibidores y seronegativos a AAV5, mostrando la actividad de factor VIII, ABR y la seguridad de la terapia

Oral Sessions: The Immune Response to Factor VIII

The Role of VWF/FVIII Association in Anti-FVIII Immune Responses in Hemophilia A Mice

Yuanhua Cai

Trabajo de investigación en modelos animales sobre el papel de la asociación del factor von willebrand y factor VIII en la respuesta inmune a los inhibidores de FVIII

Oral Delivery of Factor VIII Reduces the Magnitude of the Anti-FVIII Immune Response and Increases Splenic Treg Numbers

Tanzila Afrin

Estudio que busca identificar el rol de la inmunotolerancia oral para erradicar inhibidores sugiriendo que reduce la magnitud de la respuesta inmune

BAFF Inhibition Prevents FVIII Inhibitor Formation in a Marginal Zone B Cell-independent Manner

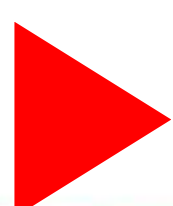
Bhavya Doshi

Estudio que investiga BAFF como biomarcador basándose en que su depleción promueve la tolerancia en ratones con HA.

Elimination of Factor VIII Inhibitors by the IgG-degrading Enzyme of Streptococcus pyogenes

Melissa Bou-Jaoudeh

Investigación sobre el papel de IdeS en hemofilia A con inhibidores y su rol para proporcionar una ventana terapéutica que permita el tratamiento con FVIII por medio de la hidrólisis de IgG FVIII



[Link a las sesiones](#)