

Nota de prensa

El Ministerio de Sanidad aprueba la financiación de la primera Terapia Génica en Hemofilia B en España

- La Comisión Interministerial de precios de los Medicamentos se reunió el 26 de septiembre de 2024 y propuso la financiación, entre otros, de Hemgenix, de CSL Behring, la primera Terapia Génica para personas con hemofilia B

(Madrid, a 27 de septiembre de 2024)

La Comisión Interministerial de Precios de Medicamentos (CIMP) aprobó ayer la financiación de **la primera Terapia Génica para personas con Hemofilia B**. Este es un hito muy importante para las personas con hemofilia, “*estamos muy emocionados de este gran avance terapéutico llegue por fin a las personas con hemofilia*”, explica **Daniel-Aníbal García Diego, presidente de la Federación Española de Hemofilia (Fedhemo)**, “*desde Fedhemo llevamos mucho tiempo trabajando con todos los agentes implicados para que esta **nueva terapia sea accesible** para las personas con hemofilia en nuestro país*”, continúa Daniel-Aníbal García.

La hemofilia B es una coagulopatía causada por el **déficit del factor IX** en el sistema de coagulación. Sin suficiente cantidad de este factor, la sangre no se puede coagular apropiadamente para controlar el sangrado. Es el tipo de hemofilia menos frecuente y **afecta a 1 entre 50.000 casos en la población**. En España se estima que tienen la enfermedad unas 319 personas. Los episodios de sangrados repetidos pueden ocasionar graves problemas articulares, sangrados en las articulaciones, músculos y graves complicaciones.

En diciembre del 2022 la EMA concedió la autorización de la comercialización, desde entonces, esta terapia se ha aprobado en **diferentes países de la UE llegando a España ahora**.

“*Recibimos ayer con gran emoción la aprobación por el Consejo Interministerial de precios de la primera terapia génica para pacientes con hemofilia B en España*”, nos cuenta la **Dra. M^ª Teresa Álvarez, Presidenta de la Comisión Científica de la Real Fundación Victoria Eugenia**.

Hemgenix, se aprueba para pacientes adultos diagnosticados de hemofilia B grave o moderadamente grave sin inhibidor. La aprobación de Hemgenix se basa en los resultados del ensayo HOPE-B, que mostró que una única infusión de etranacogen dezaparvovec incrementó los niveles medios de actividad del FIX a 36,9% a 18 meses, los cuales se mantuvieron estables a los 36 meses, con una actividad FIX de 38,6%. Este aumento de la actividad media de FIX, que normaliza la hemostasia o convierte la enfermedad en leve dio lugar, como era de esperar, a una reducción del 64% en la tasa de sangrado anualizada (ABR) a los 36 meses después de una única dosis, en comparación con el período inicial de 6 meses en el que los pacientes estaban recibiendo infusiones profilácticas. Además, después de la infusión **de etranacogen dezaparvovec**, el 94% de los pacientes del estudio HOPE-B interrumpió la profilaxis rutinaria con FIX, lo que significa que no necesitaron tratamiento profiláctico intravenoso regulares durante un máximo de 36 meses, **“Es un momento histórico en el tratamiento de la hemofilia, los pacientes podrán liberarse de la carga de la enfermedad, de los sangrados, del dolor, del desarrollo de artropatía y a la vez se liberarán de la carga del tratamiento que requería hasta ahora múltiples administraciones intravenosas”**, nos explica M^ªTeresa Álvarez.

“Agradecemos el papel de todos los miembros de la CIPM, tanto de la Administración General del Estado como los de las Comunidades Autónomas, recomendando la inclusión de este medicamento en el SNS, ahora esperamos que todas las Comunidades Autónomas lo pongan a disposición de las personas con hemofilia B”, apunta Daniel-Aníbal García.

Fedhemo

Se constituyó en 1971 como Asociación Española de Hemofilia con el fin de representar y defender los derechos de las personas con esta y otras Coagulopatías Congénitas. En 1989 su forma jurídica cambió a la actual Federación Española de Hemofilia. Su objetivo es realizar acciones que contribuyan a la mejora de la calidad de vida de los niños y jóvenes con discapacidad por hemofilia u otras coagulopatías y sus familiares, siendo ésta la principal misión de la entidad. En la actualidad agrupa a 21 asociaciones de hemofilia. A su vez forma parte de la Confederación Española de Personas con Discapacidad Física y Orgánica (COCEMFE), Foro Español de Pacientes, Eurordis, Federación Mundial de Hemofilia y Consorcio Europeo de Hemofilia.

Real Fundación Victoria Eugenia

La Real Fundación Victoria Eugenia (RFVE) es una entidad benéfica, asistencial y científica de carácter particular y privado, sin ánimo de lucro y constituida el 14 de febrero de 1989. La RFVE es miembro activo de la Asociación Española de Fundaciones y se encuentra bajo la supervisión del Protectorado de Fundaciones. Desde 1998 la Real Fundación Victoria Eugenia cuenta con la cédula acreditativa del jefe de la Casa de S.M. el Rey, autorizando a llevar el nombre de Real Fundación. Su finalidad es proteger la salud y remediar aquellas situaciones precarias de las personas con hemofilia u otras coagulopatías congénitas, y sus familiares. Los objetivos de la RFVE son promover la investigación, dotar de becas de investigación, promocionar cursos, congresos, seminarios, mesas redondas y conferencias relacionadas con las coagulopatías congénitas. Del mismo modo promueve la edición de publicaciones y la creación de fondos documentales, preparando campañas de sensibilización que favorezcan la inserción social y la rehabilitación psíquica de los afectados por coagulopatías congénitas o enfermedades asociadas.

Contacto:

Alejandra de Miguel García
Gabinete de Comunicación
Federación Española de Hemofilia
C. de Enrique Larreta, 3, Bajo B, Chamartín, 28036 Madrid
913 14 65 08 | 669 47 42 05
comunicacion@fedhemo.com | <https://fedhemo.com/>

Contacto:

Real Fundación Victoria Eugenia
rfve@rfve.org | www.rfve.es
C/Sinesio Delgado, nº4. 28029 - Madrid