

Resultados del ensayo clínico: resumen para el público en general

Estudio para investigar los efectos secundarios de la administración de emicizumab en personas con hemofilia A leve o moderada sin inhibidores del factor VIII y la eficacia del emicizumab para la prevención de las hemorragias

Consulte al final del resumen el título completo del estudio y un glosario de términos médicos a los que dirigen los hipervínculos. Los términos con hipervínculo aparecen en **negrita y subrayados**.

Acerca de este resumen

- Este es el resumen de los resultados de un **ensayo clínico** (denominado «estudio» en este documento), redactado para:
 - los participantes adolescentes y adultos,
 - el público en general y
 - los cuidadores de los niños que participaron en el estudio.

El estudio comenzó en febrero de 2020 y se espera que finalice en abril de 2023. Este resumen contiene los resultados del análisis principal realizado en octubre de 2021 (cuando los participantes habían estado en el estudio durante una media de 55,6 semanas). Antes del análisis principal, se realizó un análisis intermedio en abril de 2021 (cuando los participantes llevaban en el estudio durante una media de 27,5 semanas). En este resumen también se incluyen algunos resultados del análisis intermedio. El estudio seguía en curso en el momento de redactar este resumen y los médicos del estudio siguen recogiendo información.

Ningún estudio individual puede darnos toda la información sobre los riesgos y beneficios de un medicamento. Se necesita la participación de muchas personas en diversos estudios para averiguar todo lo que necesitamos saber. Los resultados de este estudio pueden ser diferentes de los obtenidos en otros estudios realizados con el mismo medicamento.

- No debe tomar decisiones basadas en este resumen; hable siempre con su médico antes de tomar decisiones relacionadas con su tratamiento.

Contenido de este resumen

1. Información general sobre este estudio
2. ¿Quién participa en este estudio?
3. ¿Qué ocurre durante este estudio?
4. ¿Qué efectos secundarios se comunicaron en este estudio?
5. ¿Qué otros resultados se comunicaron en este estudio?
6. ¿Cómo ayuda este estudio a la investigación?
7. ¿Está previsto realizar otros estudios?
8. ¿Dónde puedo encontrar más información?
9. Resumen infográfico
10. Glosario

Gracias a las personas que participaron en este estudio

Las personas que participaron en este estudio han ayudado a los médicos a responder preguntas importantes sobre la hemofilia A y el medicamento en estudio, el emicizumab.

1. Información general sobre este estudio

¿Qué es la hemofilia A?

La hemofilia A es un raro trastorno de la sangre **hereditario** causado por la presencia de un **gen** anormal en el **cromosoma X**. En consecuencia, la hemofilia A afecta principalmente a hombres y niños; en general, alrededor del 3,5% de las personas con hemofilia A son mujeres.

Las personas con hemofilia A tienen una actividad escasa o nula de una **proteína** de la sangre llamada «factor VIII de la coagulación» (también llamado «FVIII»). Sin esta proteína activa, la sangre no se coagula con normalidad. Esto supone que las personas con hemofilia A pueden sufrir muchos sangrados, que pueden durar mucho tiempo, incluso en las articulaciones y los músculos. Estas hemorragias pueden ser causadas por lesiones leves o no tener una causa evidente.

Se puede agrupar a las personas con hemofilia A en función de la poca cantidad de factor VIII que tengan. La hemofilia A «**grave**» significa que las personas tienen una actividad del factor VIII inferior al 1% del nivel observado en personas sin hemofilia A. Hemofilia A «**moderada**» significa que las personas tienen una actividad del factor VIII de entre el 1% y el 5% del nivel observado en personas sin hemofilia A, mientras que hemofilia A «**leve**» significa que las personas tienen una actividad del factor VIII de entre el 5% y el 40% del nivel observado en personas sin hemofilia A.

¿Cómo se trata la hemofilia A?

Uno de los tratamientos habituales de las personas con hemofilia A consiste en reponer la proteína factor VIII ausente o inactiva con «**factor VIII de reposición**». Este tratamiento aumenta la cantidad de factor VIII activo en la sangre, lo que mejora la capacidad de la sangre para formar coágulos. El factor VIII de reposición se administra mediante una inyección en una vena (llamada en ocasiones «**inyección IV**»).

Cuando se administra factor VIII de reposición para ayudar a detener una hemorragia únicamente después de que esta se ha producido, es lo que se denomina «**tratamiento a demanda**».

El factor VIII de reposición también puede administrarse periódicamente para prevenir las hemorragias. Este tipo de tratamiento preventivo se denomina tratamiento «**profiláctico**».

Cuando se administra factor VIII de reposición para prevenir las hemorragias, debe administrarse dos veces a la semana o con más frecuencia. Esto se debe a que el factor VIII de reposición permanece en la sangre durante un período breve; la duración exacta depende de cómo lo procesa el organismo de cada persona y del tipo de tratamiento con factor VIII de reposición que se administre.

Hay muchos tipos diferentes de tratamiento con factor VIII de reposición. Distintas personas pueden recibir diferentes dosis. Las personas con hemofilia A pueden recibir tratamiento a demanda o profiláctico.

¿Cuál es el medicamento del estudio?

El medicamento del estudio se llama «emicizumab» (HEMLIBRA®). Es otro tipo de tratamiento para la hemofilia A.

- Se pronuncia “e-mi-ci-zu-mab”.
- Emicizumab actúa como un tratamiento de sustitución del factor VIII actuando sobre otras proteínas de la coagulación presentes en la sangre.
- Emicizumab mejora la capacidad de la sangre para formar coágulos, lo que hace que los sangrados sean menos probables en las personas con hemofilia A.
- Emicizumab es un tratamiento preventivo (profiláctico), lo que significa que se administra periódicamente para prevenir los sangrados.
- Emicizumab se administra mediante una inyección bajo la piel (lo que a veces se denomina «**inyección subcutánea**»). Es diferente del tratamiento con factor VIII de reposición, que se administra mediante una inyección en una vena.

¿Qué quieren averiguar los médicos?

Los médicos están realizando este estudio para investigar los efectos secundarios en personas de todas las edades con hemofilia A leve o moderada sin inhibidores del factor VIII que reciben emicizumab (véase la sección 4 «¿Qué efectos secundarios se comunicaron en este estudio?»).

Aunque no es el objetivo principal, en este estudio se investiga también el número de sangrados que presentan las personas con hemofilia A leve o moderada sin inhibidores del factor VIII cuando reciben emicizumab (véase la sección 5 «¿Cuáles fueron los otros resultados de este estudio?»).

¿Qué tipo de estudio es este?

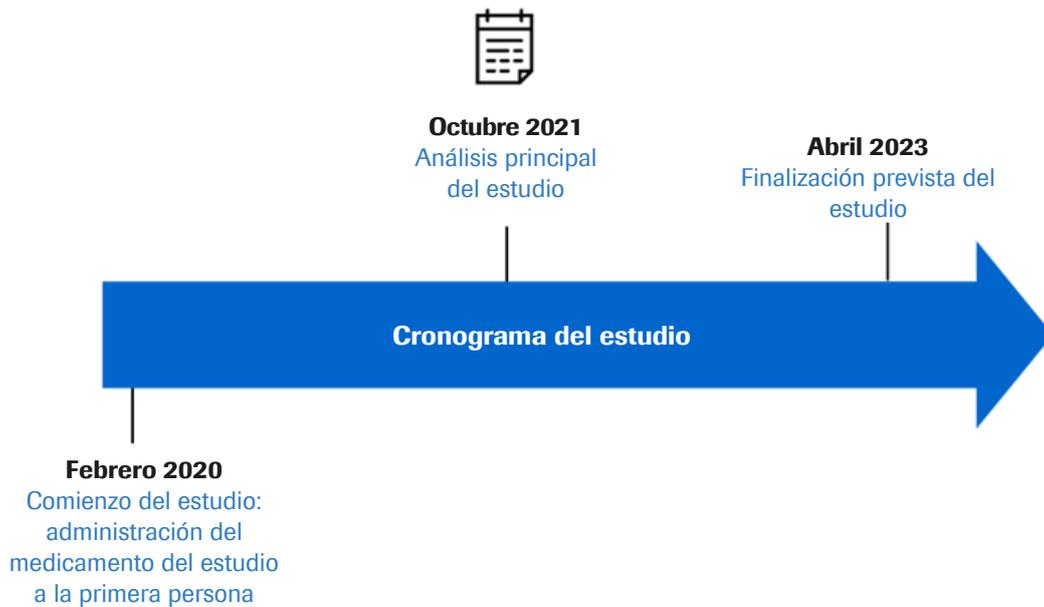
Se trata de un estudio de «**fase 3**». Cuando se demuestra que un medicamento nuevo es eficaz y tiene un **perfil de seguridad** favorable en un estudio de fase 3, los resultados pueden utilizarse para obtener la aprobación de las autoridades sanitarias de diferentes países con el fin de poner el medicamento a disposición de los médicos para que lo puedan recetar a sus pacientes.

Este estudio tiene un diseño «**abierto**», lo que significa que tanto los médicos como las personas que participan en el estudio saben qué medicamento están recibiendo.

El emicizumab no se compara directamente con ningún otro medicamento en este estudio.

¿Cuándo y dónde se está realizando este estudio?

Este estudio comenzó en febrero de 2020 y se espera que finalice en abril de 2023. Este resumen se centra en los resultados del análisis principal hasta octubre de 2021, más de un año después del inicio del estudio. En el momento de redactar este resumen, el estudio sigue en curso; los médicos del estudio están recogiendo información y las personas que participan en el estudio continúan en seguimiento.



El símbolo del calendario en el cronograma (📅) indica el momento en que se recogieron los resultados presentados en este resumen, octubre de 2021 para el análisis principal.

Este estudio se está realizando en 22 centros del estudio de 10 países. El mapa siguiente muestra los países donde se está realizando el estudio.



2. ¿Quién participa en este estudio?

Aunque estaba previsto que participaran 73 personas en el estudio, una lo abandonó antes de recibir emicizumab. En el momento del análisis intermedio (abril de 2021), habían participado en este estudio 71 personas con hemofilia A. En el momento del análisis principal (octubre de 2021), una persona más había participado en el estudio, lo que supone un total de 72 personas. De estas 72 personas, 51 tenían hemofilia A moderada y 21 tenían hemofilia A leve. La mayoría de las personas del estudio eran varones, en concreto, 69 varones y 3 mujeres. La edad de los participantes en el estudio estaba comprendida entre 2 y 71 años.

En este estudio pudieron participar personas con las características siguientes:

- Peso de 3 kg o más
- Diagnóstico de hemofilia A leve o moderada sin inhibidores del factor VIII
- Necesidad clínica de tratamiento preventivo regular (tratamiento profiláctico), según lo determinado por su médico
- Documentación del número de episodios hemorrágicos que habían tenido durante al menos 24 semanas antes del comienzo del estudio.

En el estudio no pudieron participar personas con estas características:

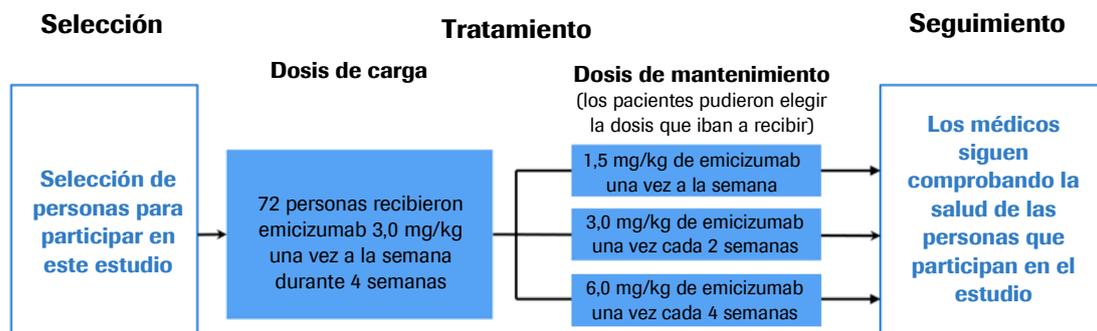
- Presencia de enfermedades distintas de la hemofilia A que podrían haber aumentado el riesgo de hemorragias
- Haber recibido tratamiento para los coágulos de sangre en los 12 meses anteriores.

3. ¿Qué ocurre durante este estudio?

Las 72 personas de este estudio recibieron primero 3,0 mg/kg de emicizumab una vez a la semana durante 4 semanas para conseguir rápidamente niveles altos de emicizumab en el organismo («**dosis de carga**»).

Después de las 4 primeras semanas y con el asesoramiento de su médico, se dio a los participantes la opción de recibir: 1,5 mg/kg de emicizumab una vez a la semana, 3,0 mg/kg de emicizumab una vez cada 2 semanas o 6,0 mg/kg de emicizumab una vez cada 4 semanas («**dosis de mantenimiento**»).

En el momento del análisis principal, la mayoría de las personas del estudio habían recibido emicizumab durante aproximadamente 1 año. Este estudio aún se encuentra en curso en el momento de escribir este resumen, por lo que los participantes siguen recibiendo tratamiento con el medicamento del estudio. Cuando termine el estudio, las personas participantes pueden seguir recibiendo emicizumab o cambiar a un tratamiento diferente si lo prefieren. A continuación se facilita más información sobre lo que está sucediendo en el estudio.



4. ¿Qué efectos secundarios se comunicaron en este estudio?

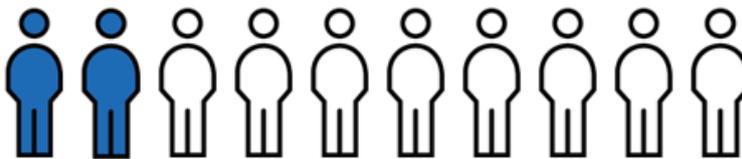
Pregunta 1: ¿Qué efectos secundarios relacionados con el emicizumab tuvieron los participantes?

Los **efectos secundarios** (también llamados «reacciones adversas») son problemas médicos no deseados (como, por ejemplo, estar mareado) que aparecen durante el estudio. Se describen en este resumen porque los médicos del estudio consideran que los efectos secundarios descritos estuvieron relacionados con el tratamiento con emicizumab.

- No todos los participantes en este estudio tuvieron efectos secundarios relacionados con el emicizumab.
- Los efectos secundarios pueden ser desde leves hasta graves y pueden variar de unas personas a otras.
- Es importante tener en cuenta que los efectos secundarios aquí descritos pueden ser diferentes de los observados en otros estudios o de los que se indican en el prospecto del medicamento.

En el momento del análisis principal, un total de 15 de los 72 participantes (es decir, 2 de cada 10 personas, 21%) en este estudio presentaron efectos secundarios relacionados con el emicizumab.

¿Cuántas personas sufrieron efectos secundarios relacionados con el tratamiento con emicizumab?



Aledor de 2 de cada 10 personas (21%) tuvieron un efecto secundario relacionado con el tratamiento con emicizumab.

Un efecto secundario se considera «**leve**» si causa molestias leves, dura menos de dos días y no necesita tratamiento. Un efecto secundario se considera «**moderado**» si causa una limitación leve o moderada de la actividad de la persona, puede hacer que la persona necesite cierta ayuda y no necesita ningún tratamiento o solo un tratamiento suave.

La mayoría de los efectos secundarios del emicizumab consistieron en enrojecimiento de la piel en el lugar de la inyección, lo que se denomina «**reacción en el lugar de inyección**». Los médicos del estudio consideraron que eran leves. En el momento del análisis principal, 12 de las 72 personas (17%) habían notificado reacciones en el lugar de inyección que fueron efectos secundarios relacionados con el tratamiento con emicizumab.

En esta tabla se enumeran todos los efectos secundarios relacionados con el emicizumab que se habían comunicado en el momento del análisis principal de este estudio. También se muestra el número de personas del estudio que presentaron cada uno de estos efectos secundarios. Los participantes también han podido presentar más de un tipo de efecto secundario.

Efecto secundario	Número de personas que habían tenido el efecto secundario cuando se hizo el análisis principal (de los 72 participantes)
Reacción en el lugar de inyección	12
Dolor de cabeza	12
Cansancio	1
Aumento de los niveles de proteínas hepáticas	1
Dolor de articulaciones	1
Dolor muscular	1
Sobredosis accidental de emicizumab*	1

*Una sobredosis accidental de emicizumab es un error de medicación debido a la administración accidental de emicizumab en una cantidad superior a la dosis asignada. Se trata de una situación especial asociada a emicizumab, no de un efecto secundario en sí mismo. Este error de medicación no provocó efectos secundarios.

Efectos secundarios frecuentes del emicizumab

Un efecto secundario se considera «frecuente» si se observa en más del 5% de las personas (1 de cada 20). Las reacciones en el lugar de inyección fueron el único **efecto secundario frecuente** que los médicos del estudio consideraron que podría estar relacionado con el emicizumab.

Efectos secundarios graves relacionados con el emicizumab

Un efecto secundario se considera «grave» si pone en peligro la vida, requiere atención hospitalaria, causa problemas duraderos y una limitación importante de la actividad o provoca la muerte. Ningún participante en este estudio presentó un **efecto secundario grave** que el médico del estudio considerase que podría estar relacionado con el emicizumab.

Pregunta 2: ¿Hubo alguien que presentara un coágulo de sangre mientras recibía emicizumab?

Cuando se forma un coágulo de sangre y bloquea un vaso sanguíneo, esto se denomina «**episodio trombótico**». Los coágulos de sangre muy pequeños (también llamados microscópicos) se denominan «**microangiopatía trombótica**» o **MAT**.

En un estudio anterior de emicizumab en personas con inhibidores del factor VIII, dos personas presentaron un episodio trombótico y tres, una MAT. Estas cinco personas también estaban tomando un agente bypass llamado «**concentrado de complejo protrombínico activado**» para tratar las hemorragias. Cuando se produjeron los coágulos, este agente bypass se había administrado varias veces hasta alcanzar una determinada dosis y se mantuvo en esa dosis durante más de un día. Después de estos episodios, los promotores del estudio dieron instrucciones sobre cómo utilizar este agente bypass de forma más segura en las personas tratadas con emicizumab.

Los médicos del estudio querían comprobar si alguien tenía estos problemas de formación de coágulos en este estudio. Una persona de este estudio presentó un coágulo de sangre en una hemorroide (lo que a veces se denomina «**hemorroide trombosada**», un tipo de episodio trombótico). Los médicos del estudio consideraron que este episodio de coagulación no tuvo relación con emicizumab y que, en su lugar, estuvo relacionado con alguna enfermedad distinta de la hemofilia A. El coágulo de sangre no fue grave, la persona se recuperó y no dejó de recibir emicizumab. Ninguno de los participantes en este estudio presentó coágulos de sangre microscópicos (MAT).

5. ¿Qué otros resultados se comunicaron en este estudio?

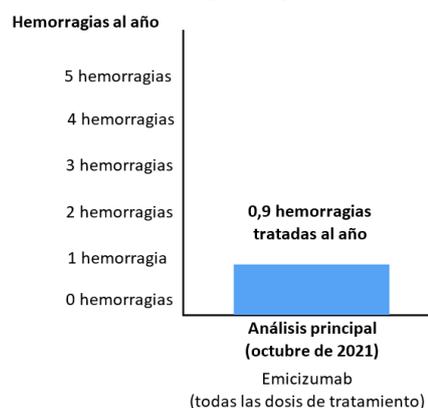
Pregunta 3: ¿Cuántas hemorragias tuvieron las personas con hemofilia A leve o moderada sin inhibidores del factor VIII cuando recibieron emicizumab?

En caso de que una persona tuviese una hemorragia durante su participación en el estudio, podía tratarse con otro tipo de medicación, como factor VIII de reposición. Las hemorragias tratadas de esta forma se llaman «**hemorragias tratadas**».

Los médicos del estudio determinaron el número de hemorragias tratadas que tuvieron los participantes, por término medio, a lo largo del estudio mientras recibían emicizumab para prevenir las hemorragias. Los médicos utilizaron entonces el número de hemorragias tratadas que tuvieron los participantes durante este tiempo y calcularon cuántas hemorragias tratadas sería probable que tuviera ese participante a lo largo de un año.

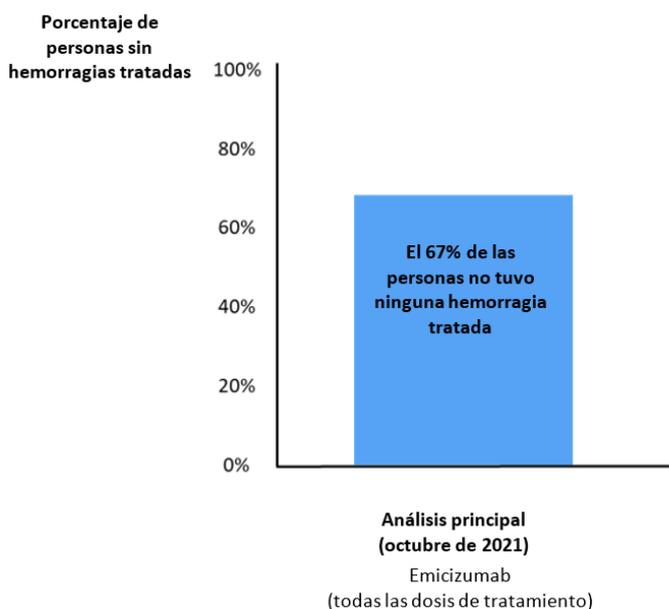
Los participantes tuvieron, por término medio, menos de una hemorragia tratada al año (0,9 hemorragias al año, notificadas en el análisis principal).

Número medio de hemorragias al año en el análisis principal



Los médicos del estudio también determinaron cuántos participantes en el estudio no tuvieron ninguna hemorragia durante el tiempo que recibieron emicizumab. En el momento del análisis intermedio (abril de 2021), las personas habían participado en el estudio durante una media de 27,5 semanas. En ese momento, 57 de las 71 personas tratadas con emicizumab (80%) no habían presentado ninguna hemorragia tratada. Algunas personas sin hemorragias tratadas en el momento del análisis intermedio tuvieron una hemorragia tratada más adelante. En el momento del análisis principal (octubre de 2021), las personas habían participado en el estudio durante más tiempo, una media de 55,6 semanas. En ese momento, 48 de las 72 personas tratadas con emicizumab (67%) no habían presentado ninguna hemorragia tratada.

Personas del estudio sin hemorragias tratadas



En este apartado sólo se muestran los resultados más importantes de este estudio. Puede encontrar información sobre todos los demás resultados en los sitios web indicados al final de este resumen (véase el apartado 8).

6. ¿Cómo ayuda este estudio a la investigación?

Los resultados que se presentan en este documento están ayudando a los médicos a saber más sobre el efecto del emicizumab en personas con hemofilia A leve o moderada sin inhibidores del factor VIII.

Los resultados demuestran que aproximadamente 2 de cada 10 personas que recibieron emicizumab en el estudio presentaron un efecto secundario relacionado con el tratamiento con emicizumab. Estos efectos secundarios consistieron fundamentalmente en reacciones en el lugar de inyección y se consideraron leves. Una persona de este estudio presentó un coágulo de sangre en una hemorroide (episodio trombótico). Los médicos del estudio consideraron que este episodio no estuvo relacionado con el emicizumab.

Los resultados muestran que las personas tratadas con emicizumab que tenían hemofilia A leve o moderada sin inhibidores del factor VIII presentaron, por término medio, menos de una hemorragia tratada al año.

Ningún estudio individual puede darnos toda la información sobre los riesgos y beneficios de un medicamento. Se necesita la participación de muchas personas en diversos estudios para averiguar todo lo que necesitamos saber. Esto significa que no debe tomar decisiones basadas en este resumen; hable siempre con su médico antes de tomar decisiones relacionadas con su tratamiento.

7. ¿Está previsto realizar otros estudios?

Se están realizando otros estudios sobre el tratamiento con emicizumab y hay más estudios previstos.

8. ¿Dónde puedo encontrar más información?

Puede encontrar más información sobre este estudio en los siguientes sitios web:

- <https://clinicaltrials.gov/ct2/show/NCT04158648> (en inglés)
- [https://www.thelancet.com/journals/lanhae/article/PIIS2352-3026\(22\)00377-5/fulltext](https://www.thelancet.com/journals/lanhae/article/PIIS2352-3026(22)00377-5/fulltext) (en inglés)
- <https://www.ensayosclnicosroche.es/es/trials/hematologic-diseases/Hemophilia/a-study-to-evaluate-the-safety--efficacy--pharmacokinet-22898.html> (en español)

Si desea obtener más información sobre los resultados de este estudio, el título completo del resumen científico relevante para los resultados del análisis intermedio (abril de 2021) es “Emicizumab Prophylaxis in Persons with Mild or Moderate Hemophilia A: Results from the Interim Analysis of the HAVEN 6 Study”. Los autores del resumen científico son: Claude Négrier, Johnny Mahlangu, Michaela Lehle, Pratima Chowdary, Olivier Catalani y otros. Está publicado en la revista *'Blood'*, volumen número 138 (Suplemento 1), en la página 343.

El título completo del resumen científico relevante para los resultados del análisis principal (octubre de 2021) es “Emicizumab Prophylaxis for the Treatment of People with Moderate or Mild Hemophilia A without Factor VIII Inhibitors: Results from the Primary Analysis of the HAVEN 6 Study”. Los autores del resumen científico son: Cedric Hermans, Claude Négrier, Michaela Lehle, Pratima Chowdary, Olivier Catalani y otros. Está publicado en la revista *«Research and Practice in Thrombosis and Haemostasis»*, volumen número 6 (Suplemento 1), página 78.

El título completo del artículo científico relevante para los resultados del análisis principal (octubre de 2021) es “Emicizumab in people with moderate or mild haemophilia A (HAVEN 6): a multicentre, open-label, single-arm, phase 3 study”. Los autores del artículo científico son: Claude Négrier, Johnny Mahlangu, Michaela Lehle, Pratima Chowdary, Olivier Catalani y otros. El artículo está publicado en Internet en *«Lancet Haematology»*, doi:10.1016/S2352-3026(22)00377-5.

¿A quién puedo dirigirme si tengo preguntas sobre este estudio?

Si ha participado en este estudio y tiene alguna pregunta sobre los resultados:

- Hable con el médico o con el personal del estudio en el hospital o en el centro del estudio.

Si tiene preguntas sobre su propio tratamiento:

- Hable con el médico responsable de su tratamiento.

¿Quién ha organizado y financiado este estudio?

Este estudio ha sido organizado y financiado por F. Hoffmann-La Roche Ltd., con sede en Basilea, Suiza.

Título completo del estudio y otra información identificativa

El título completo de este estudio es «estudio abierto multicéntrico para evaluar la seguridad, la eficacia, la farmacocinética y la farmacodinamia de emicizumab en pacientes con hemofilia a leve o moderada sin inhibidores del FVIII (HAVEN 6)».

El estudio se conoce como «HAVEN 6».

- El código del protocolo correspondiente a este estudio es: BO41423.
- El identificador de este estudio en ClinicalTrials.gov es: NCT04158648.
- El número EudraCT de este estudio es: 2019-002179-32.

9. Resumen infográfico

Roche

Estudio para investigar los efectos secundarios de la administración de emicizumab en personas con hemofilia A leve o moderada sin inhibidores del factor VIII - y la eficacia de emicizumab para la prevención de las hemorragias



Este es un resumen de los resultados de un estudio, redactado para los participantes adolescentes y adultos, el público en general y los cuidadores de los niños que participaron. Este estudio comenzó en febrero de 2020 y se espera que finalice en abril de 2023. Este resumen se centra en los resultados del análisis principal realizado en octubre de 2021.

¿Por qué se realiza este estudio?

Las personas con hemofilia A, un raro trastorno hemorrágico hereditario, tienen una enfermedad en la cual la sangre no coagula correctamente, y es probable que sufran muchos sangrados. Las personas con hemofilia A pueden tener formas graves, moderadas o leves de hemofilia A.

Se ha demostrado que un medicamento llamado emicizumab ayuda a prevenir los sangrados en las personas con **hemofilia A grave**.



Los médicos están haciendo este estudio para investigar los efectos secundarios de **emicizumab** en personas con **hemofilia A leve o moderada** sin **inhibidores del factor VIII**, y si el emicizumab puede prevenir las hemorragias en estas personas.

¿Quién participa en este estudio?

Este estudio se realiza en: **22** centros de todo el mundo **10** países de todo el mundo



72 personas que habían participado: 69 varones y 3 mujeres.
51 personas tenían **hemofilia A moderada**
21 personas tenían **hemofilia A leve**

La edad de los participantes en el estudio estaba comprendida entre **2** y **71 años**.

¿Qué ocurre durante este estudio?



Después de recibir la **dosis de carga** (emicizumab 3 mg/kg una vez a la semana) durante las cuatro primeras semanas del estudio, los pacientes pudieron elegir la **dosis de mantenimiento** de emicizumab que iban a recibir.



Emicizumab 1,5 mg/kg **una vez a la semana**

O



Emicizumab 3 mg/kg **una vez cada dos semanas**

O



Emicizumab 6 mg/kg **una vez cada cuatro semanas**

- Los médicos comprobaron cuántos **efectos secundarios** tenían las personas con hemofilia A leve o moderada durante el tratamiento con emicizumab.
- Los médicos comprobaron el número de **hemorragias tratadas** que tuvieron los participantes, por término medio, a lo largo de un año.

¿Qué efectos secundarios relacionados con el medicamento del estudio se comunicaron en este estudio?

Efectos secundarios relacionados con el emicizumab
Aproximadamente **2 de cada 10 personas (21%)** presentaron un efecto secundario relacionado con el emicizumab.

Un efecto secundario se considera «frecuente» si se observa en más del 5% de las personas (1 de cada 20).

La reacción en el lugar de inyección (enrojecimiento de la piel en el lugar de la inyección) fue el único efecto secundario «frecuente» relacionado con emicizumab; la mayoría de los síntomas fueron leves.

No se produjeron efectos secundarios graves relacionados con emicizumab.

¿Hubo alguien que presentara un coágulo de sangre mientras recibía emicizumab?



Una persona de este estudio presentó un coágulo de sangre en una hemorroide (lo que a veces se denomina «**hemorroide trombosada**», un tipo de **episodio trombótico**). La persona se recuperó y los médicos del estudio consideraron que este episodio **no estuvo relacionado con emicizumab**.

¿Qué otros resultados se comunicaron en este estudio?

Las personas tuvieron, por término medio, **menos de una hemorragia tratada al año**.

0,9

hemorragias al año notificadas.

La mayoría de las personas no tuvo **ninguna hemorragia tratada**.

67%

no tuvieron hemorragias tratadas.

¿Qué nos indica este estudio?

Los resultados demuestran que aproximadamente 2 de cada 10 personas que recibieron emicizumab en este estudio presentaron un efecto secundario relacionado con el tratamiento con emicizumab, en su mayoría, reacciones leves en el lugar de inyección. Una persona tuvo un coágulo en una hemorroide y los médicos del estudio consideraron que no estuvo relacionado con el emicizumab. Los resultados también muestran que las personas que recibieron emicizumab en este estudio tuvieron, por término medio, menos de una hemorragia tratada al año.

Este estudio se conoce como «HAVEN 6» (NCT04158648) y fue organizado y financiado por F. Hoffmann-La Roche Ltd. | M-XX-00012536 | Fecha de preparación: Febrero de 2023.

Las definiciones de «**dosis de carga**», «**dosis de mantenimiento**», «**hemofilia A leve**», «**hemofilia A moderada**», «**inhibidores del factor VIII**», «**hemofilia A grave**», «**efectos secundarios**», «**efectos secundarios graves**», «**episodio trombótico**», «**hemorroide trombosada**» y «**hemorragias tratadas**», se recogen en el glosario del resumen para el público en general.

10 Glosario

Concentrado de complejo protrombínico activado	Tipo de agente bypass que facilita la coagulación de la sangre en las personas que tienen inhibidores del factor VIII.
Ensayo clínico	Estudio en el que los investigadores administran un medicamento a un grupo de personas para obtener más información sobre cómo actúa el medicamento, si ayuda a mejorar el estado de las personas y si causa efectos secundarios. Los investigadores hacen un seguimiento periódico de las personas que toman el medicamento y realizan pruebas médicas.
Efecto secundario o acontecimiento adverso frecuente	Efecto secundario o acontecimiento adverso que se observa en más del 5% de las personas (1 de cada 20).
Gen	Los genes son unidades de ADN heredadas de los padres que contienen toda la información necesaria para hacer que las personas sean como son, desde el color de los ojos hasta el grupo sanguíneo. El ADN es el código que contiene las instrucciones para construir todos los organismos vivos conocidos, desde las bacterias hasta los seres humanos.
Hereditario	Transmitido de una generación a la siguiente por medio de determinados genes.
Inhibidores del factor VIII	Anticuerpos producidos como reacción del sistema inmunitario del organismo en respuesta al tratamiento con factor VIII de reposición. Los inhibidores del factor VIII pueden impedir que el tratamiento con factor VIII de reposición actúe para prevenir las hemorragias. Los inhibidores del factor VIII suelen aparecer a una edad temprana cuando se trata a los niños por primera vez con factor VIII de reposición.
Reacción en el lugar de inyección	Enrojecimiento, dolor o hinchazón de la piel en el lugar donde se administra una inyección.
Inyección IV	Inyección intravenosa. Inyección en una vena.
Dosis de carga	Una dosis inicial más alta de un medicamento que se administra al comienzo de un tratamiento para aumentar rápidamente la concentración del medicamento en la sangre antes de pasar a una dosis de mantenimiento más baja de ese mismo medicamento.
Dosis de mantenimiento	Cantidad de medicamento administrada para mantener una concentración del medicamento en la sangre que se espera que sea eficaz y cause efectos secundarios mínimos.

Hemofilia A leve	Las personas con hemofilia A tienen poca o ninguna actividad de una proteína de la sangre llamada «factor VIII de la coagulación». Hemofilia A leve significa que las personas tienen una actividad del factor VIII de entre el 5% y el 40% del nivel observado en las personas sin hemofilia A.
Efecto secundario o acontecimiento adverso leve	Efecto secundario o acontecimiento adverso que causa molestias leves, dura menos de 2 días y no necesita tratamiento.
Hemofilia A moderada	Las personas con hemofilia A tienen una actividad escasa o nula de una proteína de la sangre llamada «factor VIII de la coagulación». Hemofilia A moderada significa que las personas tienen una actividad del factor VIII de entre el 1% y el 5% del nivel observado en las personas sin hemofilia A.
Efecto secundario o acontecimiento adverso moderado	Efecto secundario o acontecimiento adverso que causa una limitación leve o moderada de la actividad, puede hacer que la persona necesite cierta ayuda y no necesita ningún tratamiento o solo un tratamiento suave.
Tratamiento a demanda	Tratamiento administrado inmediatamente después que se ha producido una hemorragia y que ayuda a detenerla.
Abierto	Ensayo clínico en el que tanto los investigadores como los participantes saben cuál de los medicamentos del estudio están recibiendo los participantes.
Ensayo de fase 3	Ensayo clínico para obtener más información sobre la eficacia y la seguridad de un nuevo medicamento. Cuando se demuestra que un medicamento nuevo es eficaz y tiene un perfil de seguridad favorable en un estudio de fase 3, los resultados pueden utilizarse para obtener la aprobación de las autoridades sanitarias de diferentes países con el fin de poner el medicamento a disposición de las personas.
Tratamiento profiláctico	Tratamiento administrado de forma regular. En las personas con hemofilia A se administra para prevenir las hemorragias y el consiguiente daño articular y muscular.
Proteína	Cadena larga de unidades muy pequeñas que tenemos en el organismo llamadas aminoácidos, que se organizan en estructuras simples y complejas y que forman casi todas las partes de un organismo vivo, desde el pelo y la piel hasta enzimas y anticuerpos. La información sobre cómo formar proteínas se encuentra en los genes.
Factor VIII de reposición	Tratamiento con factor VIII administrado para reponer el factor VIII ausente o inactivo en personas con hemofilia A. Puede obtenerse a partir de donaciones de sangre humana o crearse artificialmente en un laboratorio.

Efecto secundario o acontecimiento adverso grave	Efecto secundario o acontecimiento adverso que pone en peligro la vida, requiere atención hospitalaria, causa problemas duraderos y una limitación importante de la actividad o provoca la muerte.
Hemofilia A grave	Las personas con hemofilia A tienen una actividad escasa o nula de una proteína de la sangre llamada «factor VIII de la coagulación». Hemofilia A moderada grave que las personas tienen una actividad del factor VIII inferior al 1% del nivel observado en las personas sin hemofilia A.
Efecto secundario	Efecto médico no deseado que se produce cuando se usa un medicamento y que los médicos consideran relacionado con ese medicamento.
Inyección subcutánea	Inyección bajo la piel.
Episodio trombótico	Episodio que se produce cuando se forma un coágulo de sangre y obstruye un vaso sanguíneo.
Hemorroide trombosada	Una hemorroide es una vena hinchada situada alrededor del ano o la parte inferior del recto. La hemorroide trombosada se produce cuando un coágulo de sangre queda atrapado dentro de la hemorroide.
Microangiopatía trombótica (MAT)	Formación de un coágulo de sangre muy pequeño (microscópico).
Hemorragia tratada	Hemorragia tratada con otro tipo de medicación, como factor VIII de reposición.
Cromosoma X	Uno de los dos cromosomas determinantes del sexo en los seres humanos; los varones tienen uno y las mujeres tienen dos.