

ВАША ПЕРСОНАЛИЗИРОВАННАЯ ТЕРАПИЯ ГЕМОФИЛИИ А



СПРАВОЧНЫЙ / НАУЧНО-ИНФОРМАЦИОННЫЙ МАТЕРИАЛ ДЛЯ ПАЦИЕНТОВ С ГЕМОФИЛИЕЙ А /
ИХ РОДИТЕЛЕЙ И ОПЕКУНОВ



<https://www.takeda.com>

срок действия до 07.2023г. VV-MEDMAT-46771



ВАШ ДИАГНОЗ - «ГЕМОФИЛИЯ А»?

Гемофилия А – редкое наследственное заболевание, которое характеризуется нарушением свертывания крови (коагуляции).

Суть болезни состоит в том, что в вашей крови не хватает фактора VIII – белка, который необходим для свертывания крови. Дефицит фактора VIII может приводить как к спонтанным эпизодам кровотечений, так и кровотечениям в результате травм, порезов или хирургического вмешательства. Некоторые кровотечения могут быть жизне-угрожающими и требуют госпитализации и немедленного лечения.

Кровоизлияния могут возникать в разных органах и тканях, но наиболее распространенными местами кровоизлияний являются суставы и мышцы рук и ног. Чаще всего поражаются крупные суставы – коленные, локтевые, голеностопные.

Кровоизлияния в суставы (гемартрозы) и мышцы могут стать причиной проблем в будущем, таких как артрит, хроническая боль, артропатия. Даже 2-3 перенесенных кровотечения в сустав могут привести к необратимым повреждениям суставов, хроническому болевому синдрому, ограничению подвижности, снижению качества жизни. Иногда могут потребоваться серьезные хирургические вмешательства на суставы.

В основе лечения пациентов с гемофилией А лежит заместительная терапия, т. е. внутривенное введение препаратов, содержащих недостающий белок – фактор свертывания крови VIII. Для предупреждения возникновения кровотечений Всемирная Федерация Гемофилии рекомендует пациентам с гемофилией А проводить профилактику – регулярное внутривенное введение концентрата фактора VIII каждые 2 – 3 дня.

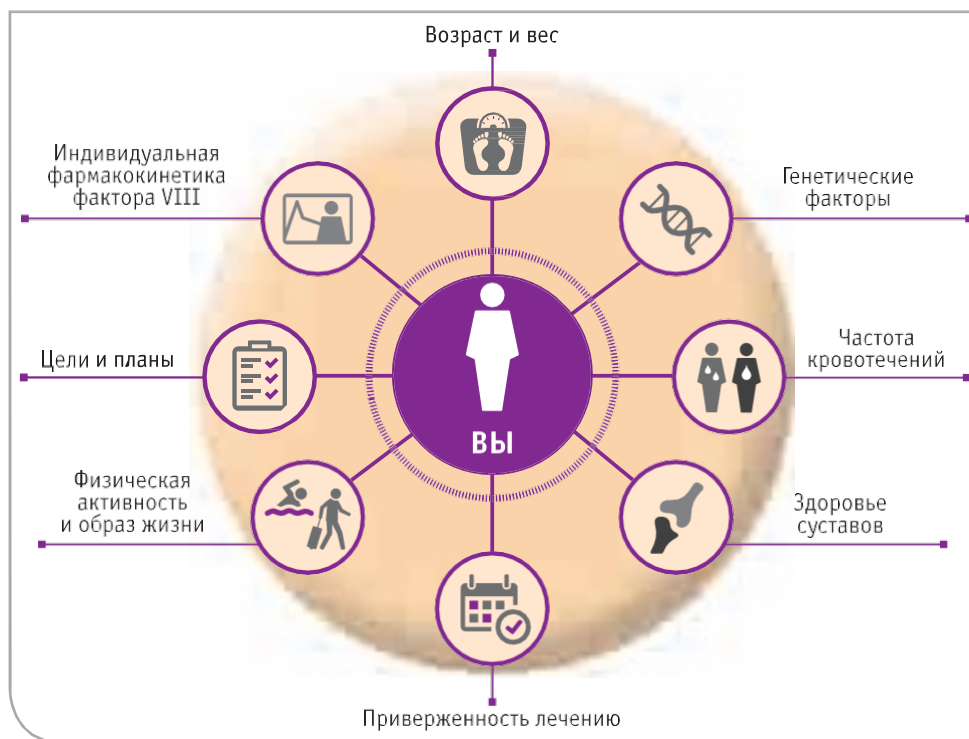


ПОЧЕМУ ТАК ВАЖНА ПЕРСОНАЛИЗАЦИЯ/ ИНДИВИДУАЛИЗАЦИЯ?

Все мы разные! Организм каждого человека уникален! Соответственно, лекарственные препараты, попадая в разные организмы, ведут себя и взаимодействуют с организмом по-разному. Это касается и препарата фактора VIII, который вам прописал ваш гематолог для заместительной терапии в режиме профилактики.

Принимая это во внимание, ваш доктор поможет подобрать вам дозу и режим дозирования, которые будут учитывать индивидуальные нужды вашего организма и ваш образ жизни.

Ваши индивидуальные характеристики, которые лечащий доктор принимает во внимание при подборе персонализированной профилактики¹



1. World Federation of Hemophilia, Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. www.wfh.org/guidelines

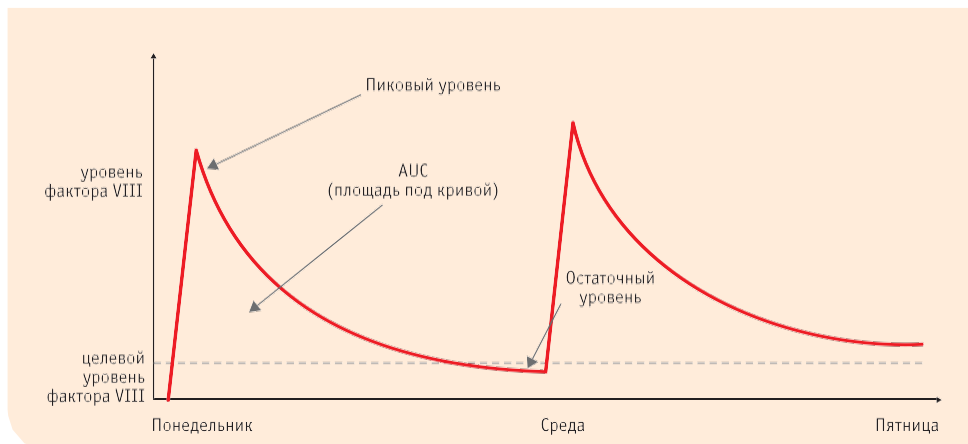
ЧТО ТАКОЕ ФАРМАКОКИНЕТИКА?

Возможно, вы уже слышали от своего врача термины «фармакокинетика», «фармакокинетический» (сокращенно «ФК»). Это судьба (биохимическая трансформация) лекарственного препарата в организме, то есть то, как препарат при попадании внутрь распределяется, метаболизируется в разных органах и тканях и с какой скоростью выводится из организма.

При внутривенном введении препаратов фактора VIII, уровень фактора резко повышается, достигая пика сразу после инфузии, затем фактор начинает выводиться из организма и его уровень постепенно снижается до минимального остаточного (базового) уровня.

Время, за которое концентрация фактора VIII в крови снижается вдвое называется периодом полувыведения фактора VIII.

ФК-кривая показывает какого максимального пика достигает фактор VIII в крови и как быстро выводится из организма^{2,3}



2. Collins PW, et al. Implications of coagulation factor VIII and IX pharmacokinetics in the prophylactic treatment of haemophilia. *Haemophilia*. 2011;17(1):2–10.

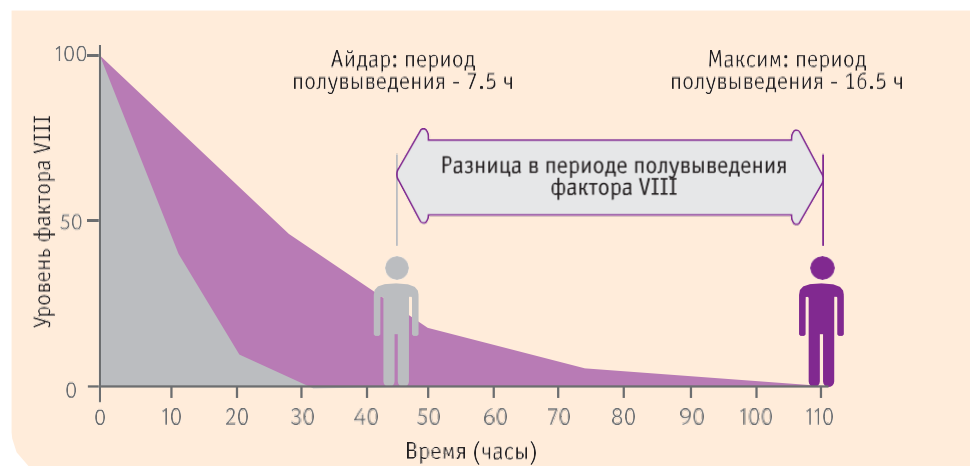
3. Valentino LA, et al. Association of peak factor VIII levels and area under the curve with bleeding in patients with haemophilia A on every third day pharmacokinetic-guided prophylaxis. *Haemophilia*. 2016;22(4):514–520

ВАШ ИНДИВИДУАЛЬНЫЙ ФК-ПРОФИЛЬ

Лица с гемофилией А получают заместительную терапию препаратами фактора VIII, но все по-разному реагируют на введение препарата. Время, за которое фактор достигает пика в крови, а затем постепенно выводится из организма – у всех пациентов с гемофилией А разное. У вас оно тоже отличается от других. Это и есть ваш индивидуальный ФК-профиль.

К примеру, у Айдар фактор VIII быстро выводится из организма и период полувыведения фактора VIII составляет 7.5 часов. У Максима фактор VIII выводится из организма гораздо медленнее и период полувыведения фактора VIII может достигать 16.5 часов. Даже не смотря на то, что Айдар и Максим могут быть схожи по возрасту и массе тела.

Гипотетический пример того, как ФК-профиль фактора VIII может варьировать у 2-х разных пациентов^{4,5}

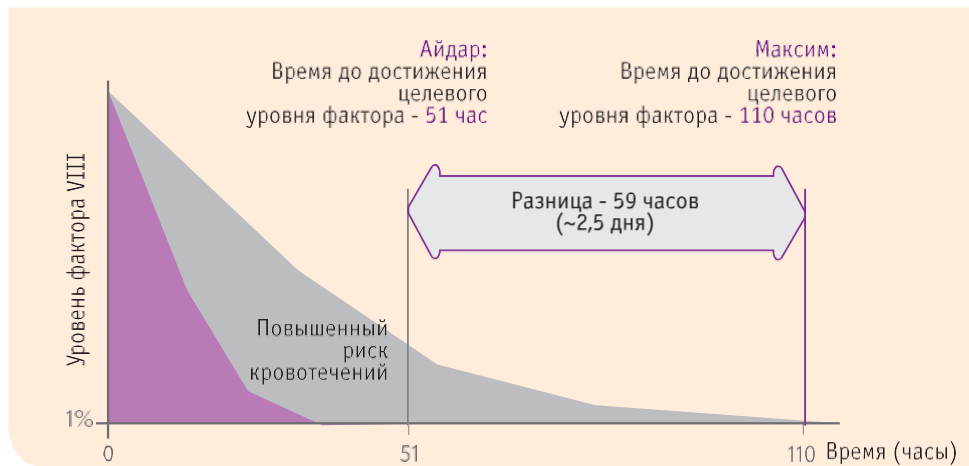


4. Collins PW et al. Factor VIII requirement to maintain a target plasma level in the prophylactic treatment of severe hemophilia A: influences of variance in pharmacokinetics and treatment regimens. J Thromb Haemost 2010; 8:269–275. 5. Bjorkman S et al. Pharmacokinetics and dose requirements of factor VIII over the age range 3–74 years: a population analysis based on 50 patients with long-term prophylactic treatment for haemophilia A. Eur J Clin Pharmacol 2009; 65:989–998

ПОЧЕМУ ВРАЧУ ВАЖНО ПОНИМАТЬ ВАШИ ИНДИВИДУАЛЬНЫЕ ФК-ПАРАМЕТРЫ?

Когда у вашего врача гематолога есть возможность оценить ваш индивидуальный ФК-профиль, у него есть понимание как ваш организм реагирует на инфузию препарата фактора VIII, какого максимального пика достигает фактор, через сколько времени фактор достигает пика, выводится из организма и падает до минимального уровня. Это поможет врачу оценить через какое время после инфузии возникает риск кровотечений и когда необходима следующая инфузия, какой режим дозирования будет оптимальным для вас. К примеру, у Айдара быстрый метаболизм и уровень фактора снижается до целевого через 51 час после внутривенной инфузии. Тогда как у Максима, у которого более медленный метаболизм фактора VIII, уровень фактора достигает целевого через 110 часов после инфузии. Если врач назначит обоим молодым людям стандартный режим дозирования фактора VIII без учета их индивидуальных ФК-параметров, у Айдара повысится риск развития кровотечений. А у Максима врач так и не увидит возможности сократить количество инфузий.

Знание индивидуального ФК-профиля помогает врачу подобрать оптимальный режим дозирования для уменьшения риска кровотечений!^{6,7,8}



Повышенный риск кровотечений у Айдара!

Возможность сокращения частоты инфузий у Максима!

6. Björkman S et al. Population pharmacokinetics of recombinant factor VIII: the relationships of pharmacokinetics to age and body weight. *Blood*. 2012;119(2):612-618. 7. Collins PW et al. Implications of coagulation factor VIII and IX pharmacokinetics in the prophylactic treatment of haemophilia. *Haemophilia*. 2011;17(1):2-10. 8. Dargaud Y et al. Individualized PK-based prophylaxis in severe haemophilia. *Haemophilia*. 2018;24(Suppl.2):3-17



ЧТО ТАКОЕ ЦЕЛЕВОЙ УРОВЕНЬ ФАКТОРА VIII?

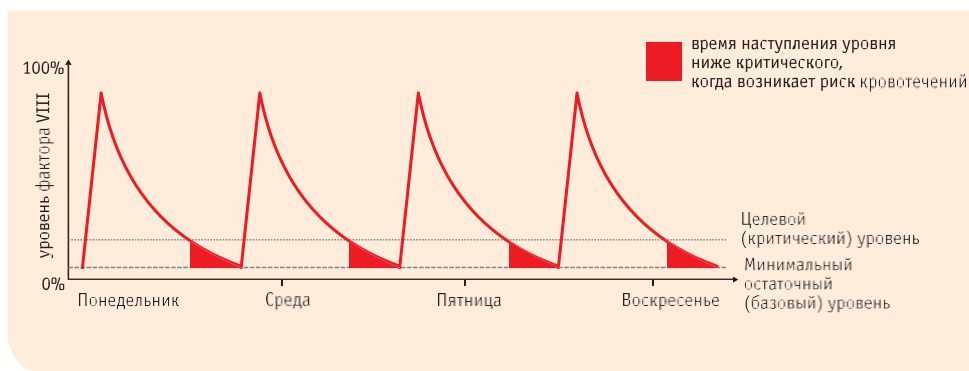
Врачу при выборе профилактического лечения важно понимать какой целевой (критический) уровень фактора VIII оптимальный для вас. Если уровень фактора VIII в крови опускается ниже этого целевого уровня, то возникает риск спонтанных кровотечений.

Целевой уровень фактора VIII врач подбирает с учетом вашей ежедневной активности и образа жизни. Для некоторых пациентов, которые предпочитают сидячий и пассивный образ жизни, этот уровень составляет 1%. Если вы любите кататься на велосипеде, занимаетесь танцами, ведете активный образ жизни и планируете занятия спортом, возможно, 1% для вас будет недостаточно.

В этом случае врач вместе с вами подберет для вас более высокий целевой уровень фактора VIII (2%, 3% и т.д.), который необходим для предупреждения кровотечений.

Поэтому очень важно, чтобы вы обсудили с врачом ваши текущие физические нагрузки, а также ваши планы на активные виды деятельности.

Для профилактики кровотечений важно, чтобы уровень фактора VIII никогда не опускался ниже целевого уровня^{9,10}



9. Collins PW, et al. Break-through bleeding in relation to predicted factor VIII levels in patients receiving prophylactic treatment for severe hemophilia A. *J Thromb Haemost.* 2009;7:413–20. 10. Jim nez-Yuste V, et al. Achieving and maintaining an optimal trough level for prophylaxis in haemophilia: the past, the present and the future. *Blood Transfus.* 2014;12:314–9