

TRATAMENTUL PROFILACTIC IN HEMOFILIE EXPERIENTA CLINICII DE PEDIATRIE I.C. FUNDENI

Dr. Adriana DIACONU

Clinica de Pediatrie

Institutul Clinic Fundeni, Bucuresti

Opțiuni terapeutice în Hemofilie

Tratament de substituție:

- concentrate de FVIII (Hemofilia A)*
- concentrate de FIX (Hemofilia B)*



Tratament “on demand”



Tratament profilactic

Tratamentul profilactic

Profilaxia este considerată terapia optimă la pacienții cu hemofilie A formă severă (factor VIII <1%).

- Federația Mondială de Hemofilie(WFH)¹
- Organizația Mondială a Sănătății (WHO)²
- Fundația Națională de Hemofilie SUA (NHF), Consiliul de Consultanță Științifică și Medicală (MASAC)³

Scopul tratamentului profilactic în hemofilie

- 1. Prevenirea episoadelor hemoragice amenințătoare de viață (ex, hemoragii intracraniene)^{1,2}**
- 2. Prevenirea hemartrozelor și a consecințelor sale structurale și funcționale¹**
- 3. Menținerea nivelului bazal de FVIII la >1% în intervalul dintre administrări³**

Regimul de profilaxie

Hemofilia A

Protocol international	Protocol Romania
<ul style="list-style-type: none">▪ 20-40 UI factor VIII/kg, la intervale de 2 - 3 zile▪ Copiii < 6 ani: 20-50 UI factor VIII/kg corp, administrate de 3 - 4 ori pe săptămână.	25 UI factor VIII/kg, 3 zile pe saptamana

Hemofilia B

Protocol international	Protocol Romania
25–40 IU FIX/kg la intervale de 3-4 zile	25 UI factor IX/kg, 2 zile pe saptamana

Evaluarea pacientilor:

- 6 luni anterior profilaxiei
- La 6 luni dupa initierea profilaxiei

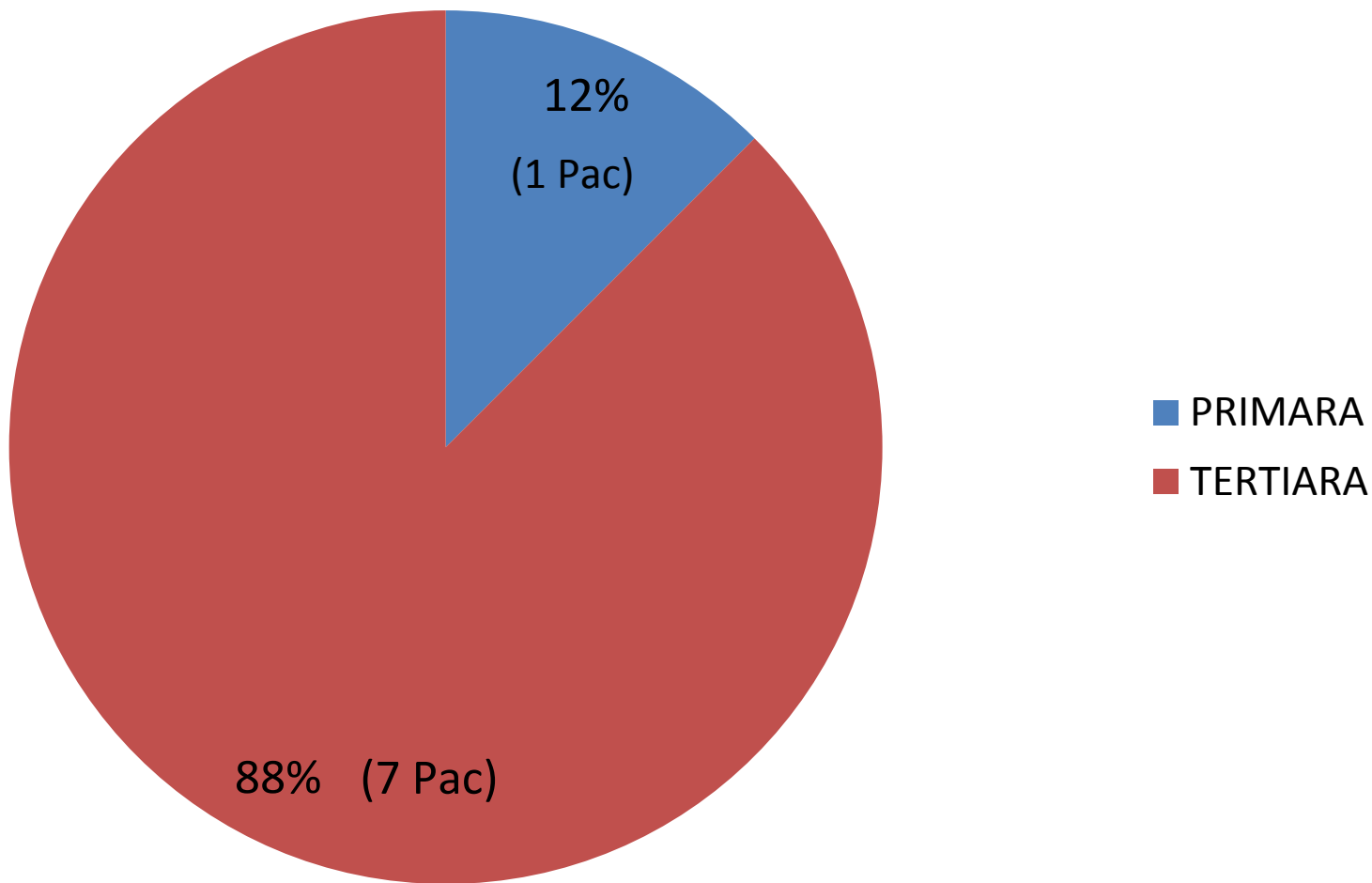
1. Episoade hemoragice

2. Numar articulatii tinta

3. Zile de spitalizare continua

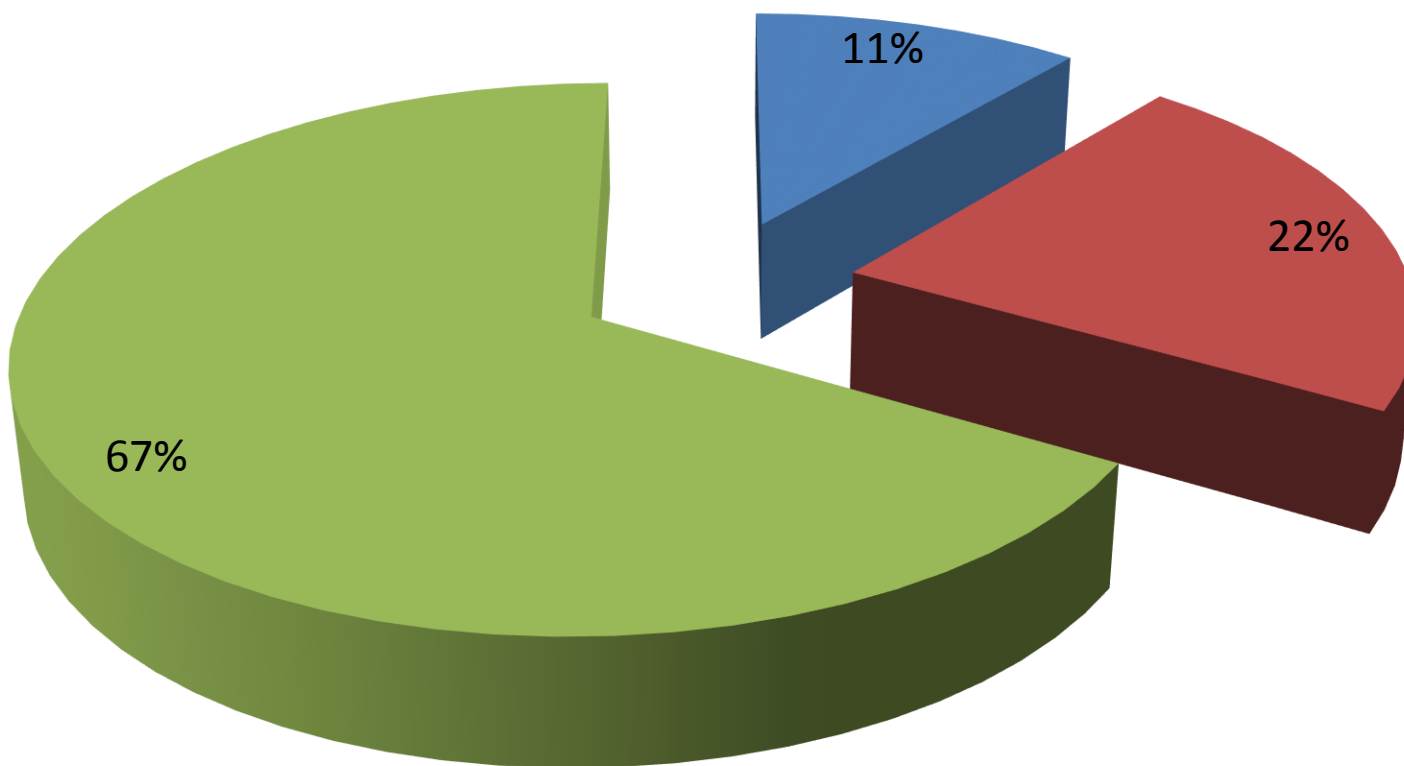
4. Nr UI FVIII

Tipuri profilaxie

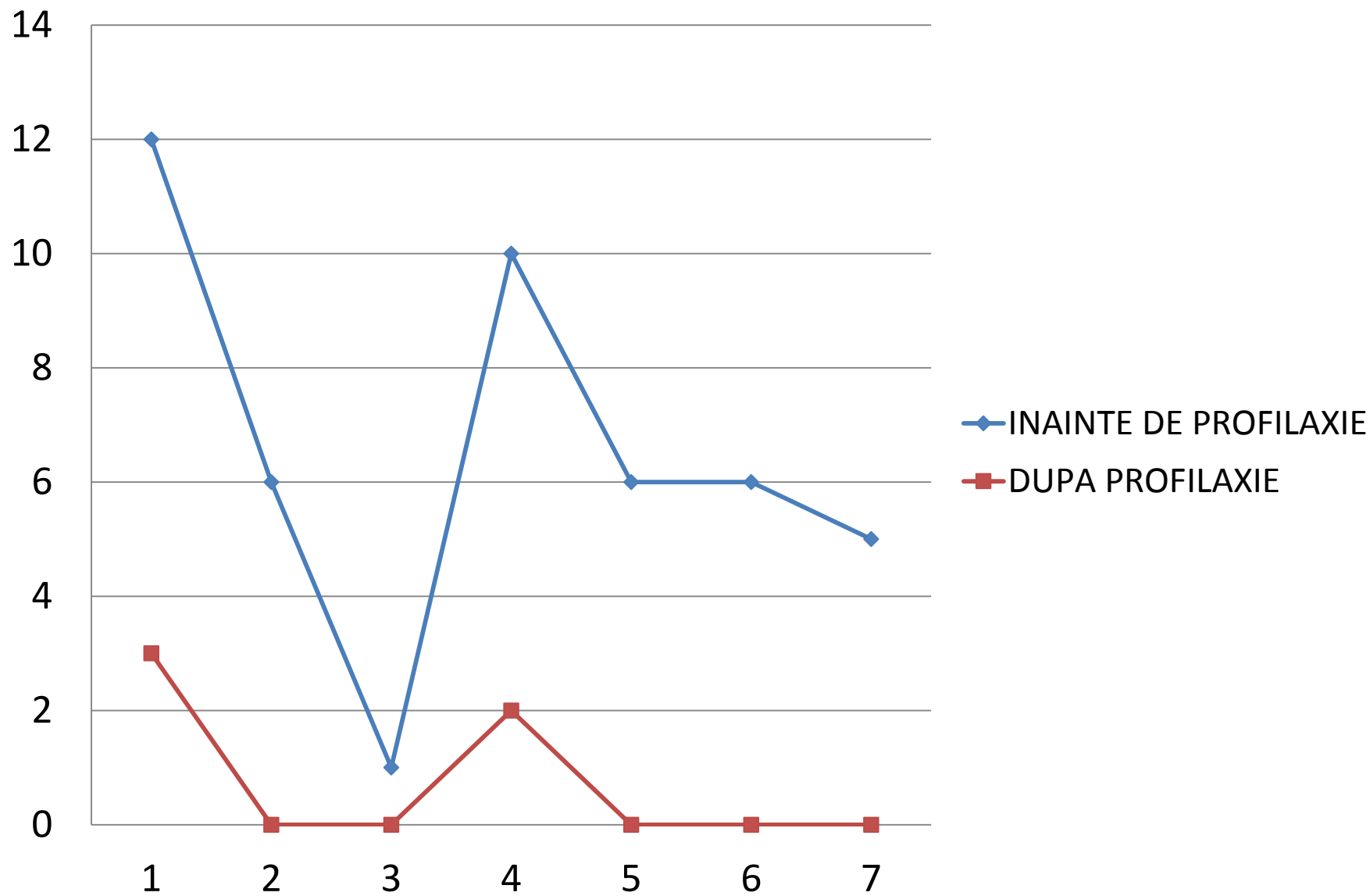


COMPLIANTA LA TRATAMENT

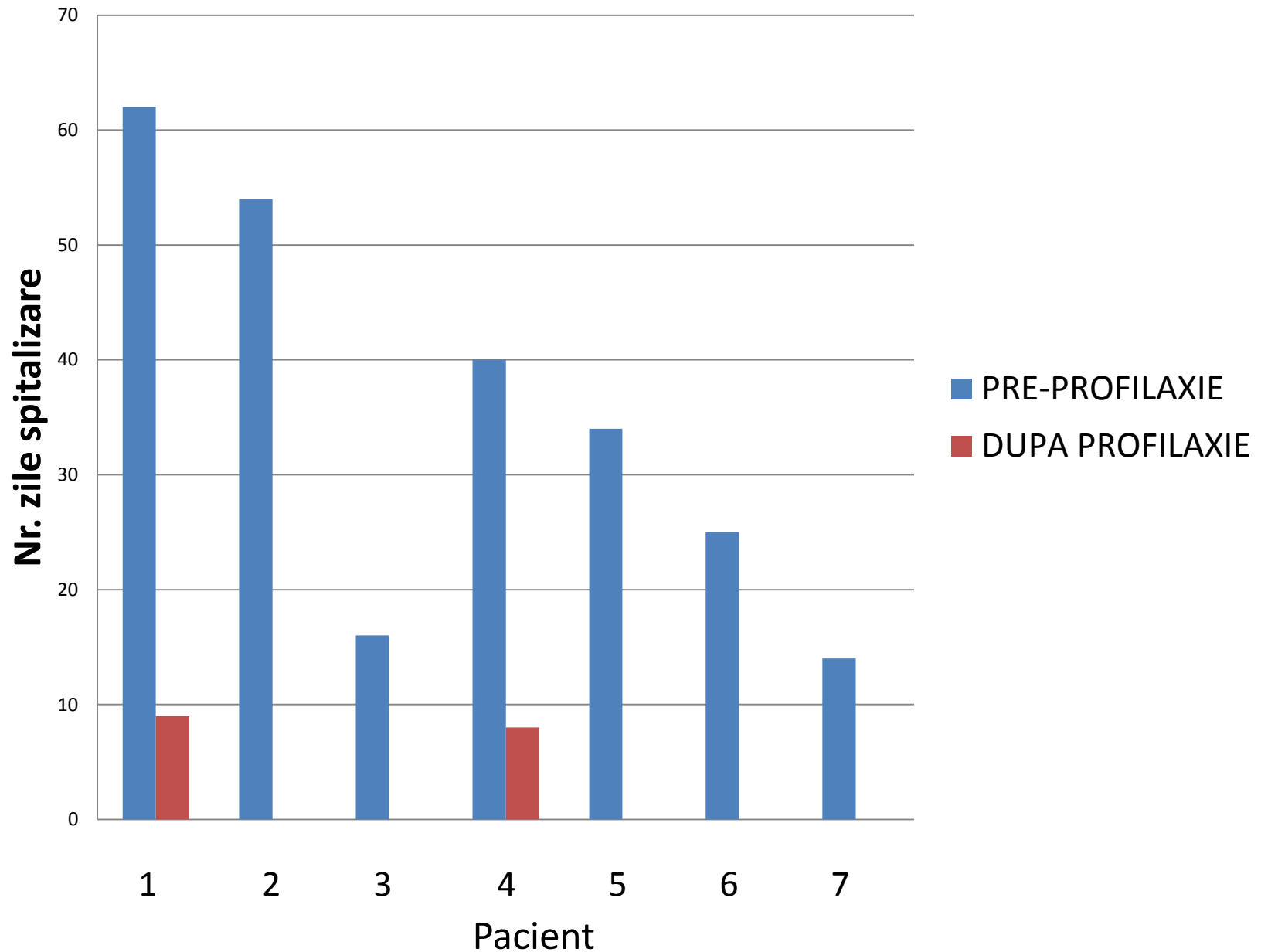
■ PARTIAL COMPLIANT ■ NECOMPLIANT ■ COMPLIANT



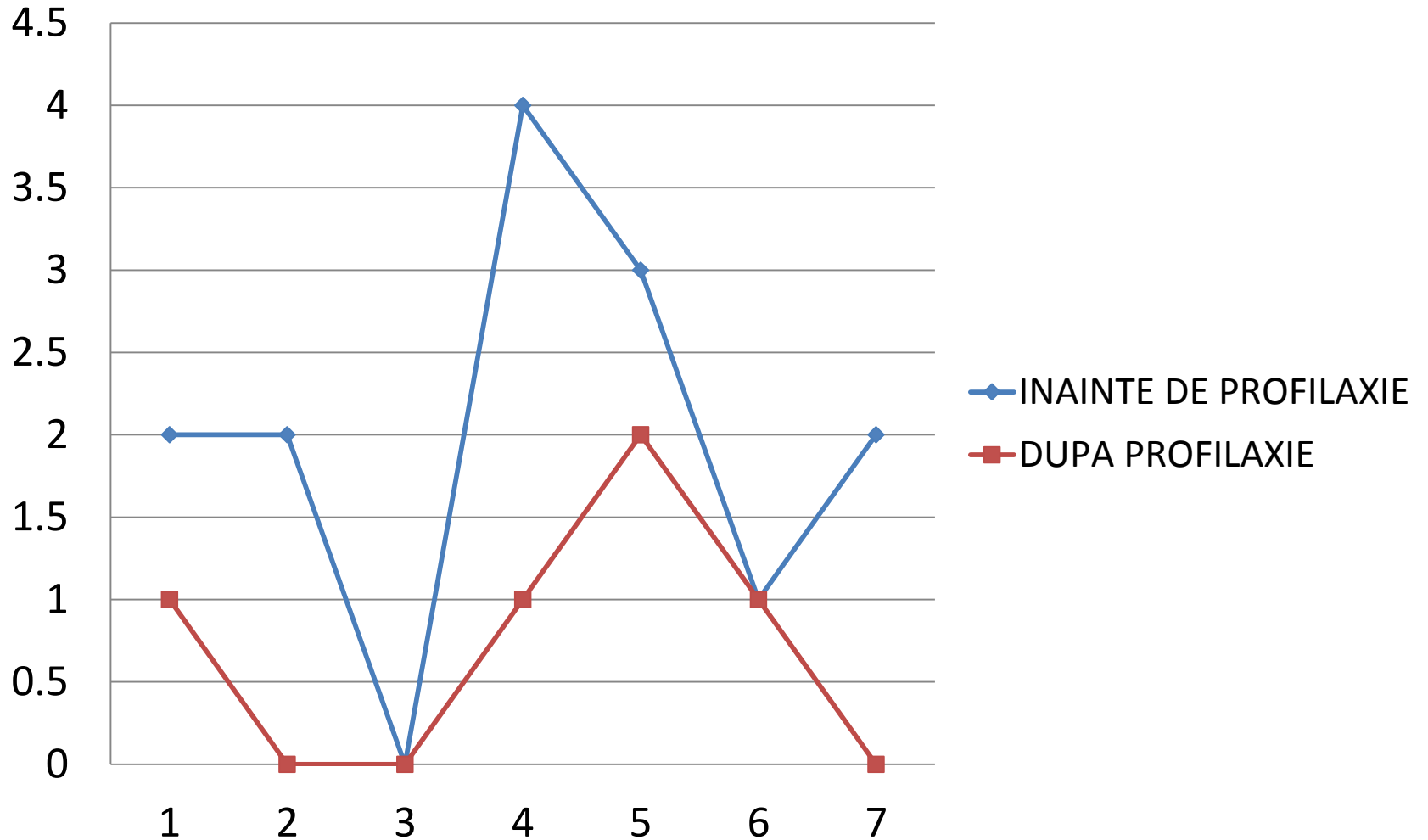
Episoade hemoragice



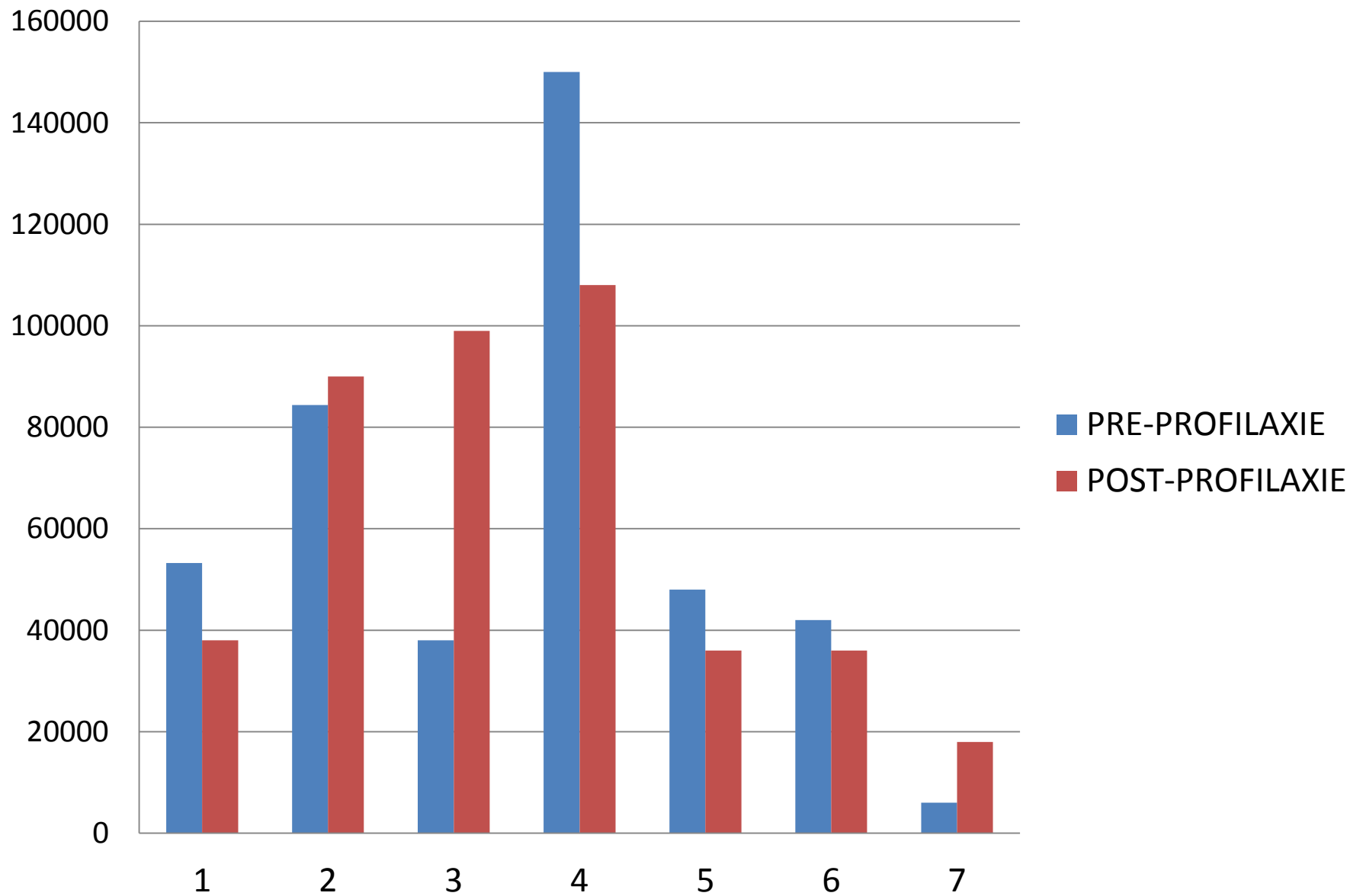
Zile spitalizare



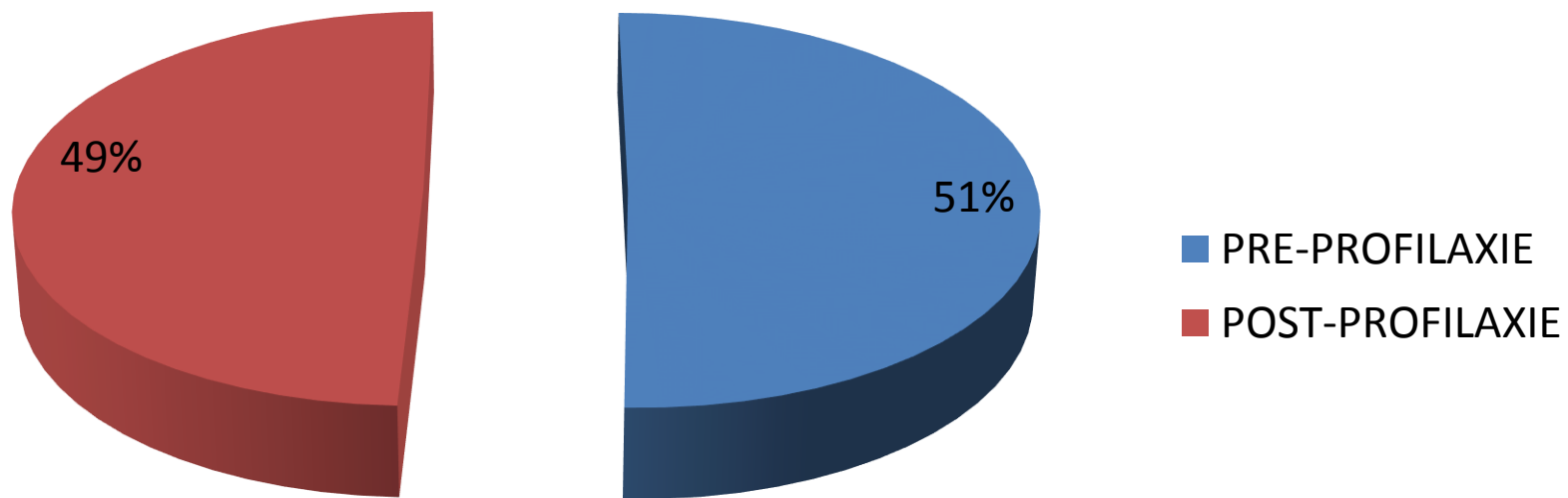
Nr. articulatii tinta



Nr. UI FVIII PRE- / POST-PROFILAXIE – 6 LUNI



Nr. total UI FVIII la pacientii cu profilaxie terciara



Profilaxie

- Doza F VIII
- Monitorizare periodica la medicul specialist (pediatru, hematolog)
- Calitatea vietii ↑
- Integrare socio-economica (contribuabil)

“On demand” (episoade sangerare)

- Doza F VIII
- Spitalizarea
- Medicatia adjuvanta
- Investigatii
 - HLG, coagulare, F VIII,
 - imagistic: min2 examinari /internare
- Fizioterapie
- Interventie ortopedica
- Recuperare
- Pensie de handicap
- Pensie de insotitor
- Scaderea calitatii vietii

COSTURI

Principalele probleme privind tratamentul pacienților cu Hemofilie în România

- **Organizarea Centrelor Comprehensive**
 - diagnostic: concentrația F VIII/F IX, teste genetice
 - tratament (echipa multidisciplinară)
- **Modificarea Protocolului de profilaxie:**
 - doza: 25 UI/kgc (actual) → 40-50 UI/kgc
 - frecvența administrărilor
 - **personalizarea schemei adaptată fiecărui pacient**
- **În viitor: acces la tratamentul specific** pt pacienții cu inhibitori (actual: lipsa ITI și a tratamentului profilactic)
- **Tratament la domiciliu:** implicarea medicilor de familie
- **Accesul la medicii specialiști** – problematic în situații de urgență
- **Educația** aparținătorilor