

ESTUDIO DE UTILIZACIÓN DE ECULIZUMAB EN PACIENTES CON HEMOGLOBINURIA PAROXÍSTICA NOCTURNA

Servicio Catalán de la Salud (CatSalut)

Autores: Roig M, Paladio N, Prat A, Espinosa C, Gilabert A.

MARCO DEL ESTUDIO – CatSalut

Nuevos medicamentos (TAC) - Nuevas realidades:

- ✓ Medicamentos huérfanos, terapias avanzadas, aprobaciones condicionadas, circunstancias excepcionales
- ✓ Incompletos datos de eficacia y seguridad. Coste/efectividad?
- ✓ Elevado coste, impacto en el presupuesto del hospital

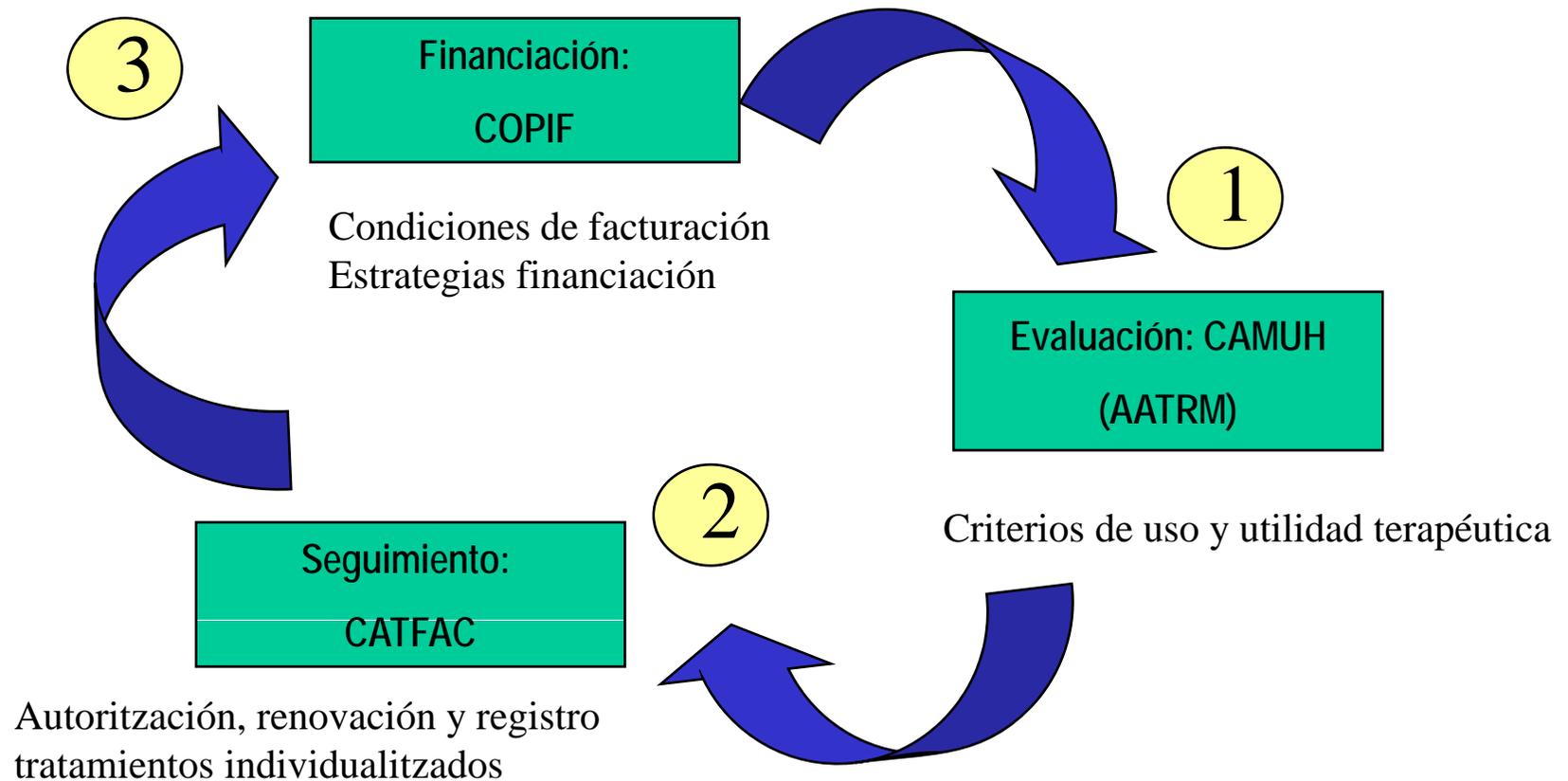


Nuevas estrategias – Mejora de los resultados en salud:

- ✓ Implantar políticas de evaluación y selección de medicamentos
- ✓ Garantizar equidad en el acceso
- ✓ Sostenibilidad del sistema – uso racional de los medicamentos

MARCO DEL ESTUDIO – CatSalut

Programa de Evaluación, Seguimiento y Financiación de
Tratamientos Farmacológicos de Alta Complejidad (PASFTAC)



MARCO DEL ESTUDIO – Eculizumab

- Eculizumab es un anticuerpo monoclonal aprobado para el tratamiento de la hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN)
- Desde noviembre de 2008 el tratamiento en Cataluña se autoriza de manera individualizada
- Se creó un **grupo multidisciplinar de expertos**
 - *Criterios clínicos en relación con eculizumab en el tratamiento de personas enfermas diagnosticadas de HPN*

MARCO DEL ESTUDIO – Eculizumab

Crterios clínicos en relación con eculizumab en el tratamiento de personas enfermas diagnosticadas de HPN

Candidatos a tratamiento:

- Adultos
- ≥ 8 unidades de CH en 12 meses
- $\geq 10\%$ eritrocitos HPN tipo III
- $>30 \times 10^9/l$ plaquetas
- LDH ≥ 3 veces LSN
- Vacunados *Neisseria meningitidis*

Candidatos a seguimiento*:

- No transfusiones
- LDH $< 1,5$ veces LSN
- no aplasia o síndrome mielodisplásico
- no toxicidad limitante
- no reacciones adversas por el fármaco
- no gestación

*1r año: cada 12 semanas, posteriormente cada 24 semanas

MARCO DEL ESTUDIO – Eculizumab

Crterios Clínicos en relación con eculizumab en el tratamiento de personas enfermas diagnosticadas de HPN

- **Plan de gestión de riesgos:**
 - Proceso de información a todos los profesionales relacionados con la administración
 - Correcta información al paciente
 - Consentimiento informado
 - “Tarjetas de paciente”
 - Sistema de farmacovigilancia del laboratorio fabricante

OBJETIVO DEL ESTUDIO

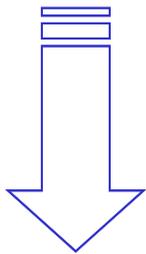
- El objetivo de este estudio es describir la utilización de eculizumab en pacientes con HPN en Cataluña.

CARACTERÍSTICAS DEL ESTUDIO

- Estudio retrospectivo y descriptivo de la utilización de eculizumab.
- **FUENTE DE DATOS:** Registro de pacientes *ad hoc*
- **MUESTRA:** Todos los pacientes que han solicitado tratamiento (de inicio o seguimiento) con eculizumab en los hospitales públicos de Cataluña entre noviembre 2008 y abril 2009

RESULTADOS

- 8 solicitudes de tratamiento

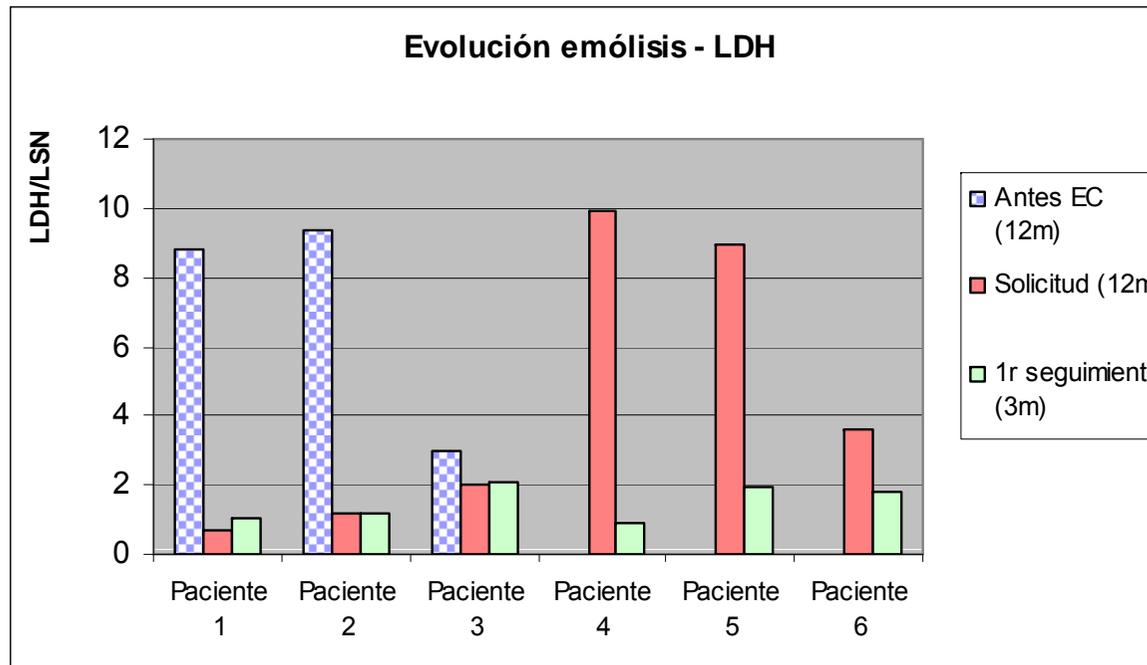


- Media de edad 45 años (rango 19-74)
- Tiempo desde el diagnóstico 6,4 años (rango 1-13)

- 6 pacientes autorizados
 - 3 pacientes en EC previo*
 - 3 pacientes naive

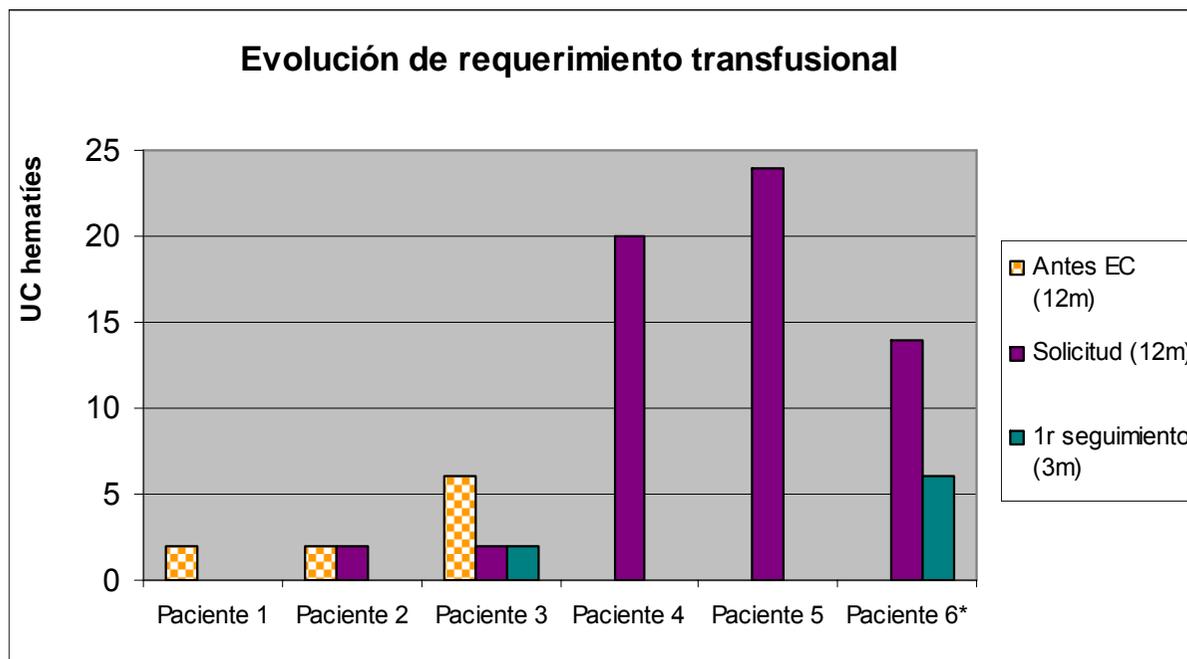
*EC pivotal Triumph

RESULTADOS - Hemólisis (LDH)



Primer seguimiento \longrightarrow todos redujeron LDH
3 pacientes LDH < 1,5 LSN

RESULTADOS – Requerimientos transfusionales



Pacientes en EC



promedio antes tratamiento: 3,33

Pacientes naive



promedio antes tratamiento: 19,33

* Justificado por ITU

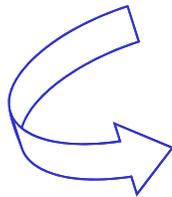
RESULTADOS

Seguimiento a las 12 semanas postautorización

- Reducción hemólisis en 6/6 pacientes (el 50% LDH < 1,5 LSN)
- No requerimiento de transfusiones en 4/6 pacientes
- No se han descrito episodios de trombosis
- No se han descrito efectos adversos por eculizumab

CONCLUSIONES

- Se **observa respuesta clínica** en las primeras 12 semanas de tratamiento, según criterios



Reducción de hemólisis
Reducción requerimiento transfusional

- Hasta el momento, buen perfil de seguridad

CONCLUSIONES

Necesidad de Criterios de utilización de TAC,
garanticen RESULTADOS EN SALUD:

- ✓ Selección de pacientes candidatos
- ✓ Seguimiento y evaluación de los resultados
- ✓ Sostenibilidad del sistema – uso racional de los medicamentos

Muchas gracias

maroig@catsalut.cat