

ΠΑΡΟΔΙΚΗ ΕΜΦΑΝΙΣΗ ΥΨΗΛΟΥ ΤΙΤΛΟΥ ΑΝΑΣΤΟΛΕΑ ΣΕ ΒΡΕΦΟΣ ΜΕ ΑΙΜΟΡΡΟΦΙΛΙΑ Α ΥΠΟ ΣΥΝΔΥΑΣΤΙΚΗ ΘΕΡΑΠΕΙΑ ΜΕ EMICIZUMAB ΚΑΙ ΣΥΜΠΥΚΝΩΜΑ FVIII: ΠΡΩΤΗ ΠΕΡΙΓΡΑΦΗ ΠΕΡΙΠΤΩΣΗΣ ΣΤΟΝ ΕΛΛΑΔΙΚΟ ΧΩΡΟ

Άλκηστis Αδραμερινά¹, Ευθυμία Παύλου², Ευφροσύνη Νομικού², Maria Elisa Mancuso³, Μαρίνα Οικονόμου¹

¹ Α' Παιδιατρική Κλινική, Τμήμα Ιατρικής, Σχολή Επιστημών Υγείας Α.Π.Θ., Γ.Ν.Θ. Ιπποκράτειο ² Τμήμα Αιμόστασης- Αιμορροφιλικών ασθενών, Γ.Ν.Α. Ιπποκράτειο

³ Center of Thrombosis and Hemorrhagic Diseases of IRCCs Humanitas Research Hospital, Milan, Italy

Εισαγωγή:

Η κλασική αντιαιμορροφιλική προφυλακτική αγωγή περιλαμβάνει ενδοφλέβια χορήγηση του ελλείποντα παράγοντα αρκετές φορές την εβδομάδα. Η εφαρμογή προφύλαξης με το μονοκλωνικό αντίσωμα emicizumab, αντί της κλασικής αγωγής, προσφέρει το πλεονέκτημα της υποδόριας χορήγησης άπαξ εβδομαδιαίως, περιορίζοντας το μεγάλο φορτίο των ενδοφλέβιων εγχύσεων. Ωστόσο, τα δεδομένα χρήσης του σε μη προθεραπευμένους ασθενείς είναι περιορισμένα.

Επιπλέον, με δεδομένο τον κίνδυνο εμφάνισης αναστολέα έναντι του FVIII όταν η χορήγηση του ελλείποντα παράγοντα γίνει σε μεγάλη δόση υπό το στρες μίας αιμορραγίας, η περιοδική έκθεση που επιτυγχάνεται με την κλασική προφυλακτική αγωγή φαίνεται να προφυλάσσει, ως ένα βαθμό, από την επικίνδυνη αυτή επιπλοκή.

Με αυτό το σκεπτικό, η συγχορήγηση emicizumab με FVIII κατά τις πρώτες ημέρες έκθεσης θα μπορούσε, ίσως, να επιτύχει την επιθυμητή ανοσοανοχή, περιορίζοντας ταυτόχρονα το φορτίο των τακτικών ενδοφλέβιων εγχύσεων.

Μεθοδος:

Αναδρομική περιγραφή περίπτωσης μη προθεραπευμένου αιμορροφιλικού βρέφους, που τέθηκε σε «πειραματική» συνδυαστική προφυλακτική θεραπεία με emicizumab και ανασυνδυασμένο FVIII.

Περιγραφή περίπτωσης

Αγόρι, ηλικίας 20 ημερών, διαγνώσθηκε με αιμορροφιλία Α βαριάς μορφής στα πλαίσια διερεύνησης αιματοουρίας μετά από υπερηβική παρακέντηση.

Σε ηλικία 6 μηνών τέθηκε σε **συνδυαστική προφυλακτική αγωγή με emicizumab και FVIII** μία φορά εβδομαδιαίως, ακολουθώντας κλινικά ανεπίπλεκτη πορεία όσον αφορά στην εμφάνιση αιμορραγιών.

Δύο μήνες μετά την έναρξη προφύλαξης, έλεγχος ρουτίνας την **11^η ημέρα έκθεσης** ανέδειξε **παρουσία υψηλού τίτλου αναστολέα** έναντι του παράγοντα VIII (90 BU), παρά την απουσία εμφανών αιμορραγιών και τη συνεχώς αυξανόμενη φυσική δραστηριότητα του μικρού ασθενή.

Αποφασίστηκε η **συνέχιση του ίδιου προφυλακτικού σχήματος** αντί της επίτονης κλασικής θεραπείας ανοσοανοχής (ενδοφλέβιων καθημερινών, υψηλών δόσεων FVIII). Οχτώ μήνες μετά (~ **60 ημέρες έκθεσης**) και με μηδενική καταγραφή αιμορραγιών, ο επανέλεγχος ανέδειξε **απουσία αναστολέα**, επιτρέποντας τη διακοπή του FVIII.

Ο ασθενής συνέχισε τη **μονοθεραπεία με emicizumab**, χωρίς εμφάνιση αιμορραγικών επεισοδίων ή επανεμφάνιση του αναστολέα έως την ηλικία, πλέον, των 2 ετών.

Συμπέρασμα:

Η περιοδική, τακτική συγχορήγηση FVIII με emicizumab κατά τις πρώτες ημέρες έκθεσης, ενδεχομένως, να επιτυγχάνει το συνδυασμό προφύλαξης από αιμορραγίες, ανοσοανοχής και μικρού φορτίου ενδοφλέβιων εγχύσεων.