



Informe público sobre la decisión de inclusión en la prestación farmacéutica de efanesoctocog alfa (Altuvact®) en pacientes de todos los grupos de edad para el tratamiento y profilaxis de las hemorragias en pacientes con hemofilia A (deficiencia congénita de factor VIII).

Fecha de publicación: 28 de abril de 2025

¿Qué es efanesoctocog alfa y para qué se utiliza?

Altuvact® es el nombre comercial de un medicamento que contiene el principio activo efanesoctocog alfa, que se utiliza para prevenir y tratar las hemorragias en pacientes adultos y niños con hemofilia A. El titular de la autorización de comercialización en la Unión Europea es Swedish Orphan Biovitrum AB.

La hemofilia A es un trastorno hemorrágico hereditario causado por una deficiencia de factor VIII, una proteína que ayuda a la coagulación sanguínea.

¿Cómo funciona efanesoctocog alfa?

Los pacientes con hemofilia A padecen una deficiencia del factor VIII, una proteína del organismo que contribuye a la coagulación sanguínea.

El principio activo de Altuvact®, efanesoctocog alfa, se asemeja y sustituye al factor VIII que falta, ayudando a la sangre a coagular y controlando temporalmente el trastorno hemorrágico. Efanesoctocog alfa se diseñó para permanecer activo en el organismo durante más tiempo que el factor VIII natural.

Altuvact® se administra mediante inyección intravenosa. La dosis a utilizar depende del peso corporal del paciente y de si el medicamento se utiliza para prevenir o tratar la hemorragia. Para prevenir las hemorragias (profilaxis), Altuvact® se administra en dosis de 50 UI/ kg una vez a la semana. Para tratar las hemorragias activas (tratamiento a demanda), primero se administra al paciente una única inyección de 50 UI/kg de Altuvact®, seguida de inyecciones adicionales cada 2 a 3 días, si fuera necesario. El número de unidades de factor VIII administradas se expresa en unidades internacionales (UI), que es la unidad estándar actual de concentrado para los productos de factor VIII. Los pacientes o sus cuidadores pueden administrar Altuvact® por sí mismos en casa una vez que hayan recibido la formación adecuada.

Información básica sobre la autorización

Altuvact® está autorizado por un procedimiento centralizado, es decir, tiene una autorización válida para toda la Unión Europea, concedida el 17 de junio de 2024 por la Comisión Europea tras la opinión favorable del Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA)¹.

La Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Altuvact® eran mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE. Se ha demostrado que Altuvact® previene las hemorragias en adultos y niños con hemofilia A.

¹ Puede consultar la información en el siguiente enlace:

https://www.ema.europa.eu/es/documents/overview/altuvact-epar-medicine-overview_es.pdf

En el momento de la autorización, la mayoría de los tratamientos preventivos con factor VIII autorizados requerían una inyección cada 2 a 4 días. Altuvoc[®] se administra mediante una dosis fija de 50 UI/kg una vez a la semana, lo que resulta más conveniente para los pacientes y puede ayudarles a cumplir con su tratamiento.

El tratamiento a demanda con Altuvoc[®] es eficaz para tratar los episodios hemorrágicos, la mayoría de los cuales se resuelven después de una sola inyección (dosis fija de 50UI/Kg). Altuvoc[®] también es eficaz en la prevención de hemorragias en pacientes sometidos a cirugía.

Altuvoc[®] es un medicamento huérfano para una enfermedad rara (se entiende como enfermedad rara en Europa a aquella patología que tiene una prevalencia inferior a 5 casos por cada 10.000 habitantes).

Conclusiones de la evaluación comparada de Altuvoc[®]

La Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios ha publicado el Informe de Posicionamiento Terapéutico de Altuvoc[®]². El informe concluye que efanesoctocog alfa ha mostrado una actividad alta y sostenida del factor VIII, tasas bajas de sangrado por año, un perfil de seguridad manejable y representa una opción de tratamiento más dentro del arsenal terapéutico para pacientes con hemofilia A.

Su pauta de administración extendida permite una administración semanal, lo que constituye una ventaja relevante que podría mejorar el cumplimiento del tratamiento profiláctico por parte de los pacientes. La elección de cada régimen posológico deberá valorarse de forma individualizada para cada paciente, teniendo en cuenta que no se ha comparado de forma directa con la profilaxis con otras alternativas como los concentrados de FVIII o con el medicamento Hemlibra, de principio activo emicizumab y de administración semanal, quincenal o mensual subcutánea.

En un estudio de 52 semanas de duración en 133 pacientes, la profilaxis semanal de 50 UI/kg de efanesoctocog alfa ha demostrado ser eficaz, con una tasa media anual de sangrados tratados estimada de 0,71. Un 65% de los pacientes no experimentaron sangrados que requirieran tratamiento. Asimismo, y de forma consistente, se observaron tasas medias anualizadas de sangrado cercanas a 0 cuando se evaluaron otros tipos de sangrados. La profilaxis semanal con 50 UI/kg de efanesoctocog alfa también demostró ser eficaz en población pediátrica.

No existen datos del uso de efanesoctocog alfa para el tratamiento de hemorragias que ocurran en pacientes bajo tratamiento profiláctico con emicizumab. Tampoco existe evidencia que permita comparar a efanesoctocog alfa frente a la terapia génica.

Los datos de eficacia y seguridad a largo plazo son aún muy limitados.

Decisión de la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos

La Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos, en su sesión de 23 de octubre de 2024, acordó proponer a la Dirección General de Cartera Común del SNS y Farmacia la inclusión en la prestación farmacéutica del SNS de este medicamento y su financiación en la prevención y el tratamiento de las hemorragias en pacientes con hemofilia A en pacientes de todos los grupos de edad.

²La última versión de 13 de febrero de 2025 se puede consultar en el siguiente enlace: <https://www.aemps.gob.es/medicamentosUsoHumano/informesPublicos/docs/2025/IPT-340-Altuvoc-efanesoctocog-alfa.pdf>



Información específica sobre restricciones o condiciones de financiación especiales

Su financiación se limita a la población descrita en el apartado anterior.

Más información

La situación de financiación de los medicamentos puede consultarse a través del buscador BIFIMED, accesible a través de la página del Ministerio de Sanidad, en el siguiente link:

<https://www.sanidad.gob.es/profesionales/medicamentos.do>

La búsqueda puede realizarse por principio activo, nombre del medicamento o código nacional.

Una vez se accede al medicamento en cuestión en el apartado “Más información” aparecen las indicaciones que están financiadas, las que no lo están, así como la fecha de alta en la financiación, entre otros.