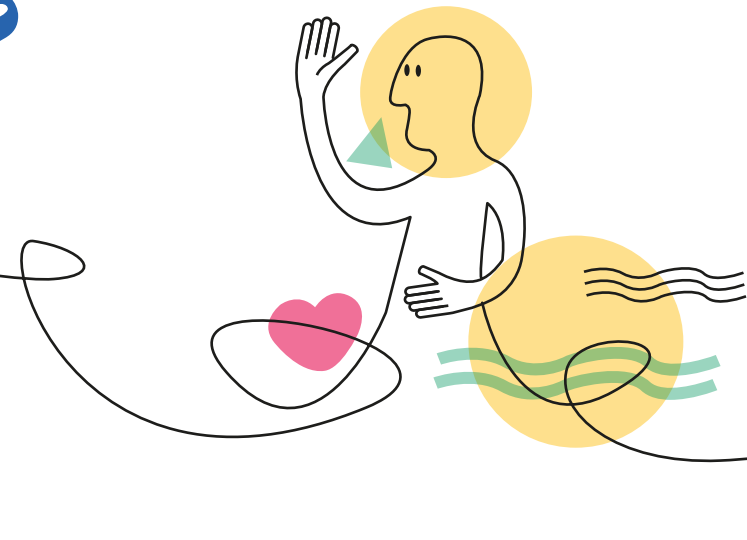


Що таке гемофілія А?

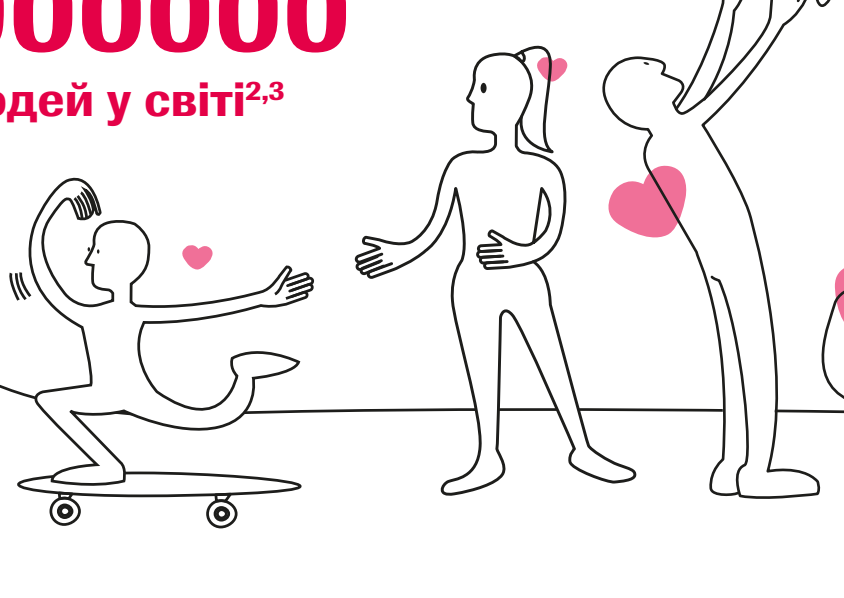


Гемофілія — це спадкове **серйозне порушення згортання крові**, коли кров людини не згортається належним чином, спричиняючи неконтрольовану кровотечу, яка може виникнути спонтанно або після травми.

Це може **суттєво погіршити якість життя** хворих, а також їхніх сімей і осіб, що здійснюють догляд.¹

Гемофілія А — найпоширеніша форма, на яку страждають

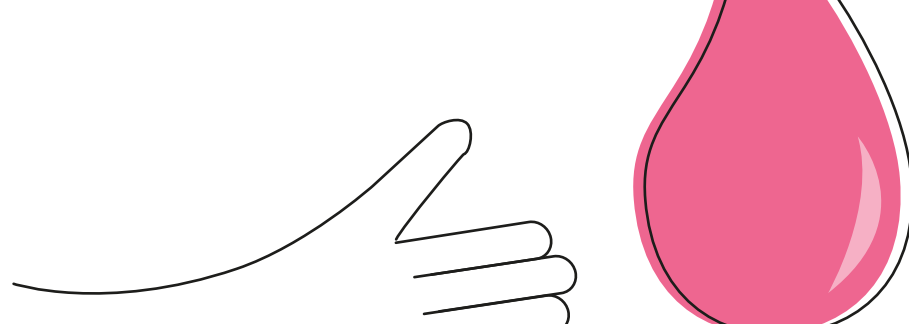
900000 людей у світі^{2,3}



35–39% із них мають тяжку форму гемофілії.³

Що відбувається в крові людини з гемофілією А?

У здорової людини білки, що називаються **факторами згортання крові**, працюють разом, утворюючи тромб і допомагаючи зупинити кровотечу.

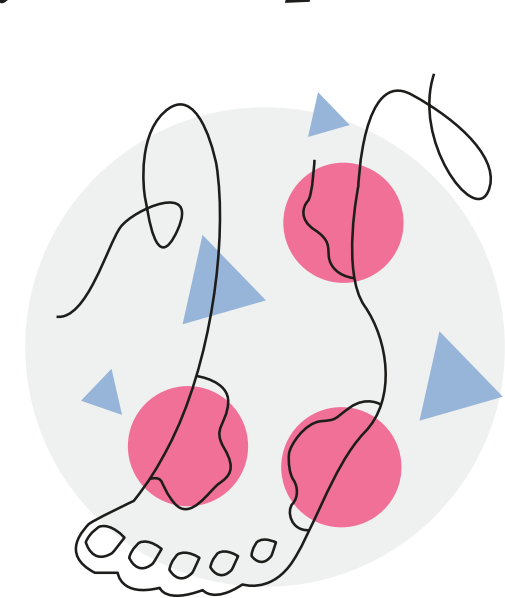


Люди з гемофілією А **або не мають зовсім, або мають недостатньо** фактора згортання крові, який називається

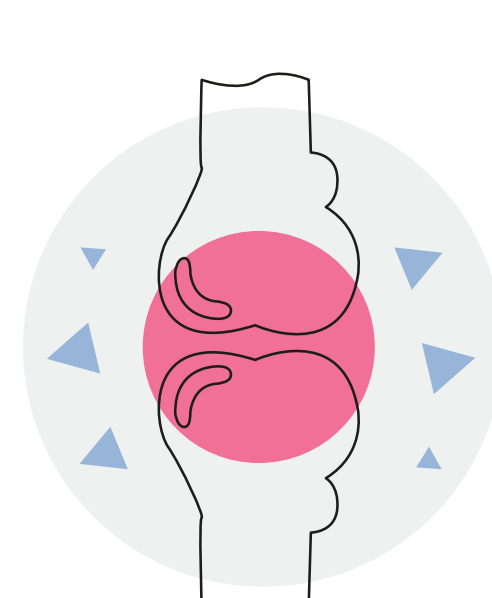
фактор VIII

це призводить до того, що їхня кров не може згортатися належним чином

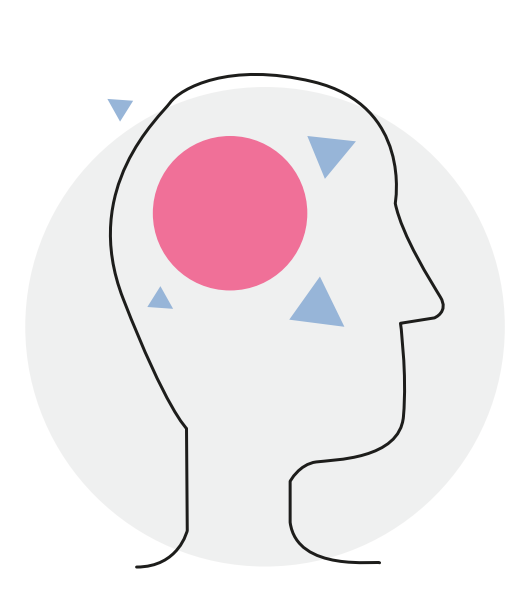
Без лікування люди з гемофілією можуть страждати від:



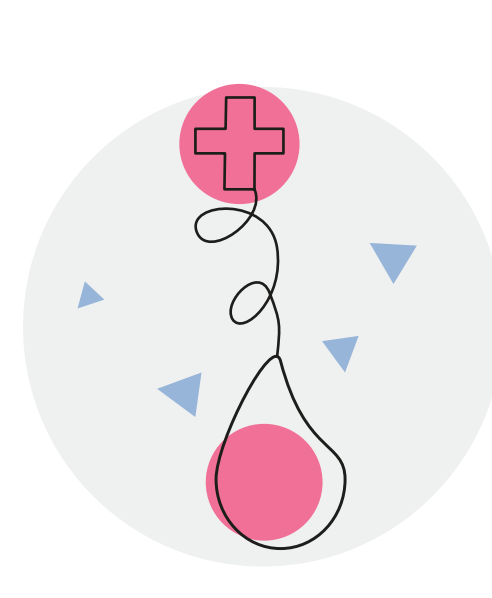
Утворення гематом



Повторної кровотечі в м'язі і суглоби, що може спричинити тривалу інвалідизацію або захворювання суглобів^{4,5}

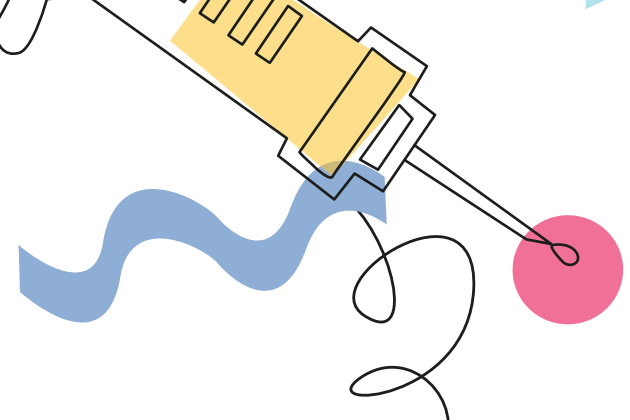


Спонтанної кровотечі, яка може бути небезпечною для життя, якщо вона сталася в життєво важливих органах, зокрема в головному мозку⁶



Тривалої та неконтрольованої кровотечі після травми або операції²

Існує багато видів лікування гемофілії:



Профілактика

Профілактика — це профілактичне, регулярне лікування, яке полягає або в терапії, що замінює **фактор VIII**, або в нефакторній терапії, з метою **попередити кровотечу** та дозволити людям із гемофілією **вести активний спосіб життя та мати таку ж якість життя**, що й в людей, які не страждають на гемофілію.² Це стандартна терапія для людей із тяжкою формою гемофілії А та деяких людей із гемофілією середнього ступеня тяжкості.²

Препарати для профілактичного лікування можна вводити внутрішньовенно або підшкірно.² Лікування нефакторними засобами можна здійснювати вдома, **не частіше одного разу на 2–4 тижні**. Це спрощує режим лікування для людей із гемофілією та дозволяє їм вести відносно нормальне життя.²

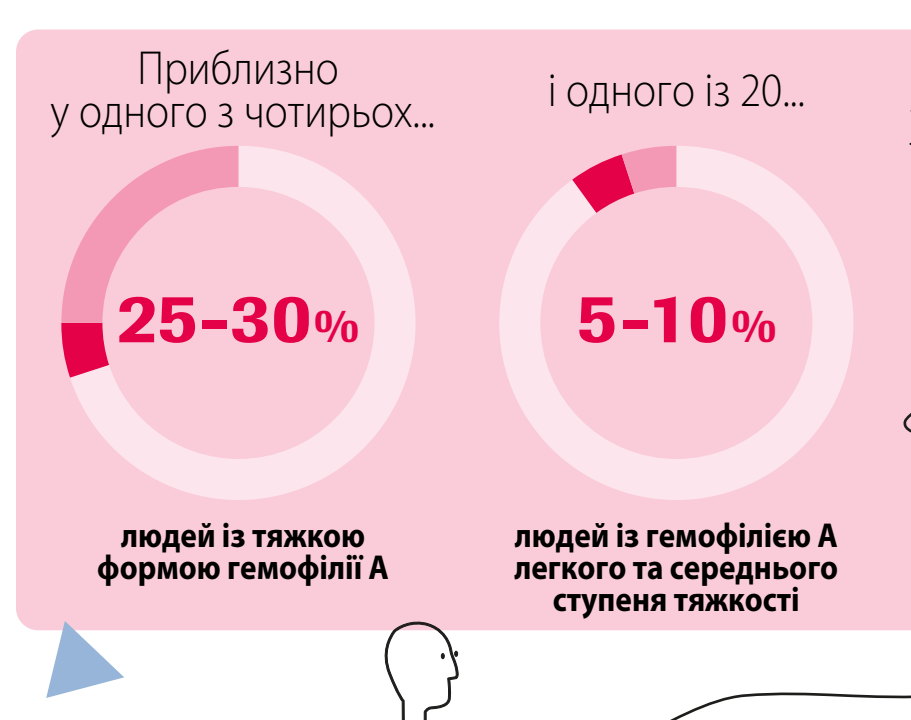
У деяких пацієнтів, особливо дітей, може бути важко знайти вену для внутрішньовенного введення фактора VIII.⁷

Епізодична замісна терапія фактором VIII

Епізодичну замісну терапію фактором VIII можна **здійснювати за потребою** (якщо необхідно зупинити кровотечу), коли профілактика недоцільна.

Препарат має вводити внутрішньовенно² сам пацієнт або особа, що здійснює догляд.

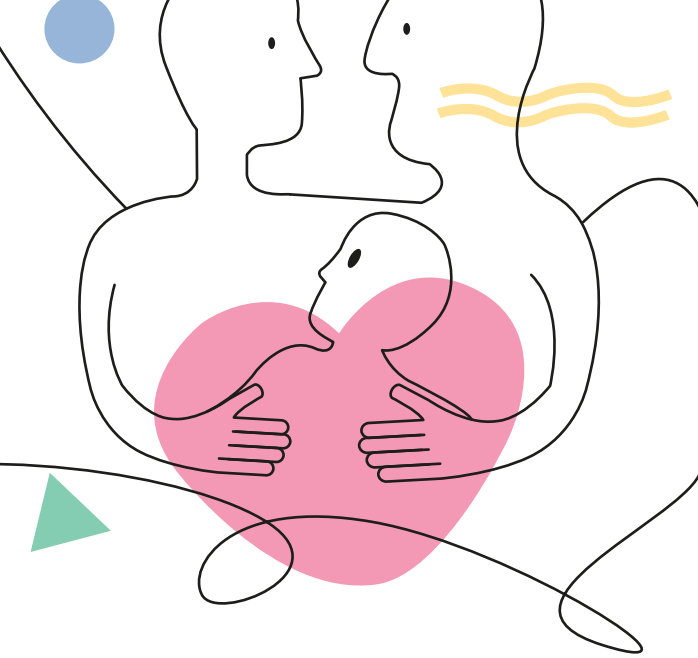
Боротьба з інгібіторами: ІІТ і препарати обхідного шляху



...відповідно, виробляються «інгібітори» до замісної терапії фактором VIII.^{2,8}

Інгібітори — це антитіла, які атакують і руйнують заміщений фактор VIII, оскільки розпізнають його як чужорідний.⁹ Це серйозна **ускладнення лікування**,¹⁰ **багатьох людей із гемофілією А лякає поява інгібіторів**.

Людей, які страждають гемофілією А з інгібіторами, можна **лікувати за допомогою профілактичної нефакторної терапії**.² Якщо профілактична нефакторна терапія недоступна, або в разі кровотеч, які виникають між інфузіями фактора згортання, можуть знадобитися **замісна інфузія фактора VIII**, а також можна спробувати провести «індукцію імунної толерантності» (ІІТ), коли пацієнтові протягом тривалого періоду вводять дуже високі дози фактора VIII.²



ІІТ може тривати багато років, це дуже дорого та неефективно для



«Препарати обхідного шляху» — це один спосіб лікування людей з інгібіторами, який часто застосовується в разі неефективності ІІТ. Однак вони мають короткотривалу дію, їх потрібно часто приймати та зводити різні аналізи на згортання крові.¹³

Список літератури

- Flood E, et al. Illustrating the impact of mild/moderate and severe haemophilia on health-related quality of life: hypothesised conceptual models. *European Journal of Haematology* 2014; 93: Suppl. 75, 9–18.
- Srivastava A, et al. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. *Haemophilia*. 2020; 26 (Suppl 6): 1–158.
- Iorio A, et al. Establishing the Prevalence and Prevalence at Birth of Hemophilia in Males. *Ann Intern Med* 2019 Oct 15;171(8):540–546.
- Franchini M, Mannucci PM. Hemophilia A in the third millennium. *Blood Rev* 2013;179–84.
- Young G. New challenges in hemophilia: long-term outcomes and complications. *Hematology Am Soc Hematol Educ Program* 2012; 2012: 362–8.
- Zanon E, et al. Intracranial haemorrhage in the Italian population of haemophilia patients with and without inhibitors. *Haemophilia* 2012; 18: 39–45.
- Ljung R. The risk associated with indwelling catheters in children with haemophilia. *British Journal of Haematology* 2007; 138: 580–586.
- Gomez K, et al. Key issues in inhibitor management in patients with haemophilia. *Blood Transfus*. 2014; 12: s319–s329.
- Whelan SF, et al. Distinct characteristics of antibody responses against factor VIII in healthy individuals and in different cohorts of hemophilia A patients. *Blood* 2013; 121: 1039–48.
- Astermark J. Overview of Inhibitors. *Semin Hematol* 2006; 43 (suppl 4):S3–S7.
- Rocino A, et al. Immune tolerance induction in patients with haemophilia a and inhibitors: effectiveness and cost analysis in an European Cohort (The ITER Study). *Haemophilia* 2015; 10.
- Mancuso ME, et al. US Immune tolerance induction in haemophilia. *Clinical Investigation*. 2015; 5(3), 321–335.
- Berntorp E. Differential response to bypassing agents complicates treatment in patients with haemophilia and inhibitors. *Haemophilia*. 2009; 15: 3–10.