



veritsushaiguste ravi

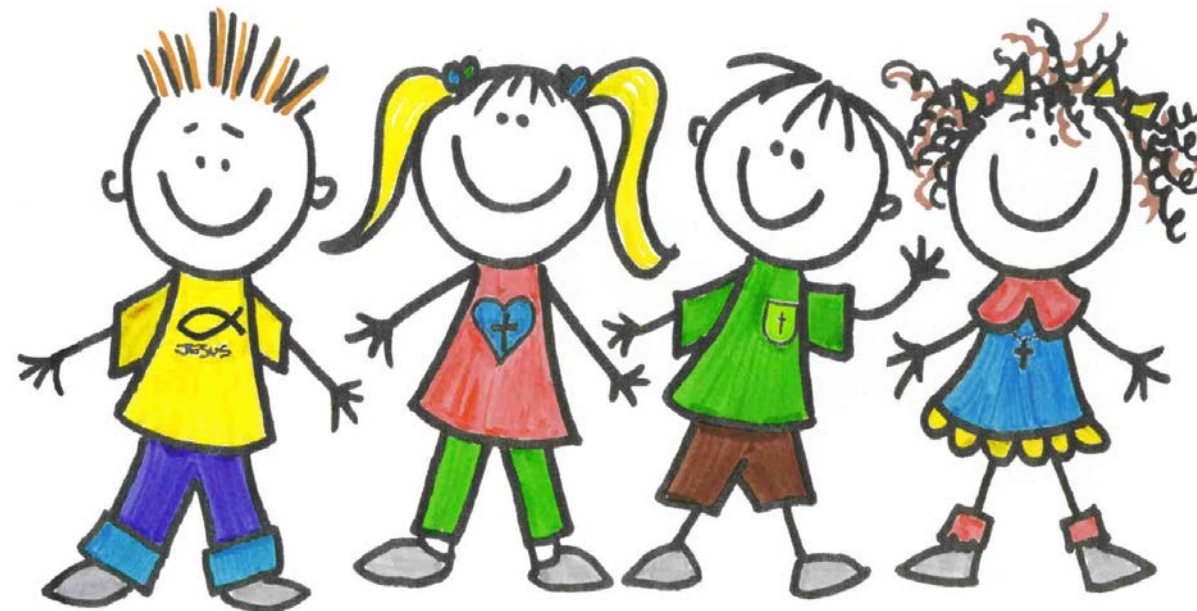
Kadri Saks

Perepäev 27.05 2023

PROTO avastustehas

Veritsushaigustega lapsed Tallinna Lastehaiglas

- Von Willebrandi tõbi- 56 patsienti
 - 1 patsient III tüüp
 - 3 patsienti II tüüp
 - 3 patsienti I tüübi raske vorm
- Hemofiila A- 24 patsienti
 - 10 last raske vormiga
 - 4 last mõõduka vormiga
 - 9 last kerge vormiga
 - Teadmata raskusaste 1 lapsel
- Hemofiilia B
 - Kerge vormiga 5 last
- FVII defitsiit
 - 3 last kellest 1 laps profülaktilisel ravil
- Muud
 - 2 last FV defitsiidiga
 - 2 last FX defitsiidiga
 - 2 last FXI defitsiidiga
 - 2 last kombineeritud faktori defitsiidiga



von Willebrandi tõbi ja trombotsüütide funktsioonihäired

- **von Willebrandi tõbi**

- Desmopressiin (DDAVP)
 - Ei sobi 3 ja 2 tüübiga patsientidele
 - 2B patsientidele vastunäidustatud kuna põhjustab trombotsütopeeniat süvenemist
 - **NB! Vanadel inimestel tõstab tromboosi riski**
- Faktori kontsentraadid

- **Trombotsüütide funktsioonihäired**

- Antifibrinolüütilised ravimid
 - Traneksaam hape
 - Aminokapron hape
- Muud
 - Kontratseptiivid
 - Rauapreparaadid

von Willebrandi tõve korral kasutatavad faktori konsentraadid

- *vWF/VIIIF sisaldavad plasma konsentraadid*
 - Wilate jne.
- *Plasmapõhine vWF konsentraat*
 - Wilfactin/Wilfact
- *Rekombinantne vWF konsentraat*
 - Veyvondi e. vonicog alfa
 - 72h

von Willebrandi tõbi ja trombotsüütide funktsioonihäired

- **von Willebrandi tõbi**

- Desmopressiin (DDAVP)
 - Ei sobi 3 ja 2 tüübiga patsientidele
 - 2B patsientidele vastunäidustatud kuna põhjustab trombotsütopeeniat süvenemist
 - **NB! Vanadel inimestel tõstab tromboosi riski**
- Faktori kontsentraadid

- **Trombotsüütide funktsioonihäired**

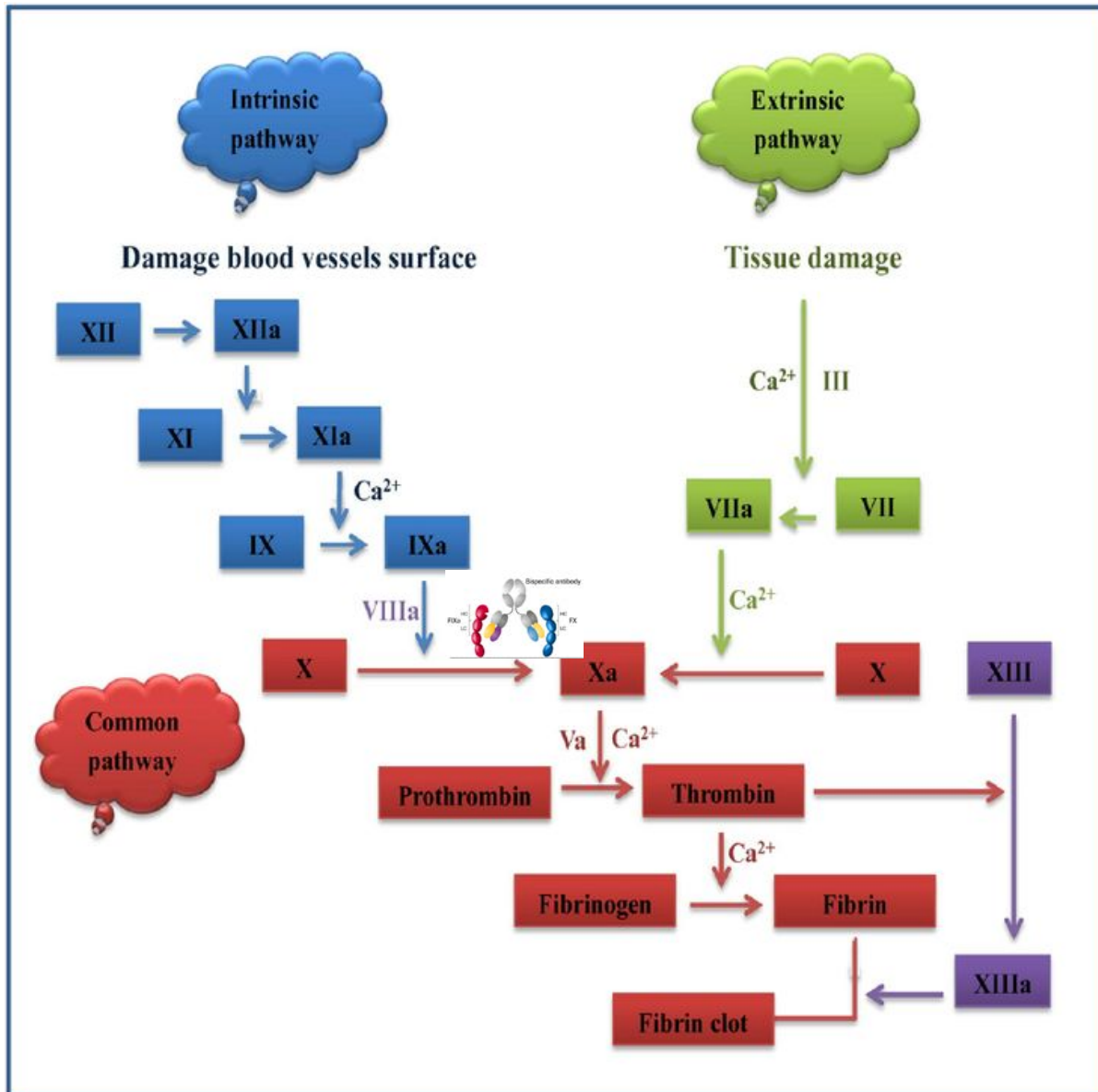
- Antifibrinolüütilised ravimid
 - **Traneksaam hape**
 - Aminokapron hape
- Muud
 - Kontratseptiivid
 - Rauapreparaadid

Hemofiilia A

- Kerge
 - Desmopressiin
 - Traneksaam hape
 - FVIII kontsentraadid- verejooksu korral
- Mõõdukas
 - Desmopressiin
 - Traneksaam hape
 - FVIII kontsentraadid
 - verejooksu korral
 - verejooksu profülaktikaks
 - **Emicizumab- profülaktika**
- Raske
 - **Emicizumab- profülaktika**
 - FVIII kontsentraadid
 - verejooksu korral
 - verejooksu profülaktikaks
 - Muud



Emicizumab (Hemlibra)



- .. on humaniseeritud monoklonaalne modifitseeritud immunoglobuliin G4 (IgG4) antikeha, millel on bispetsiifiline antikeha struktuur
- on näidustatud nii inhibiitoritega kui ka inhibiitoriteta raske A hemofiilia verejooksuepisoodide tavapäraseks profülaktikaks
- ... võib kasutada kõigis vanuserühmades
- ... manustatakse subkutaanse süstina
 - 3 mg/kg üks kord nädalas esimese 4 nädala jooksul (küllastusannus)
 - säilitusannus kas:
 - 1,5 mg/kg üks kord nädalas
 - 3 mg/kg iga kahe nädala järel
 - 6 mg/kg iga nelja nädala järel
- Rasked kõrvaltoimed kasutamisel koos aktiveeritud protrombiini kompleksi kontsentratsiooniga (Feiba)
 - trombootiline mikroangiopaatia
 - trombemboolia
- ... muudab sisemisel hüübimisrajal (APTT) põhinevad koagulatsiooni laboratoorsed testid liigselt lühenevaks
 - Liigselt lühenenud sisemine hüübimisaeg häirib seejärel kõiki ühe faktori analüüse, mis põhinevad aPTT-l, nagu näiteks üheetapiline FVIII aktiivsuse analüüs

Hemofiilia A

- Kerge
 - Desmopressiin
 - Traneksaam hape
 - FVIII kontsentraadid- verejooksu korral
- Mõõdukas
 - Desmopressiin
 - Traneksaam hape
 - FVIII kontsentraadid
 - verejooksu korral
 - verejooksu profülaktikaks
 - **Emicizumab- profülaktika**
- Raske
 - **Emicizumab- profülaktika**
 - FVIII kontsentraadid
 - verejooksu korral
 - verejooksu profülaktikaks
 - Muud



Hemofiilia ravi

- Viirus inaktiveeritud plasmakonsentraadid (1987)
 - Toodetud doonorite verest
 - Spetsiaalselt puhastatud
 - Peamiste verega ülekantavate viiruste suhtes inaktiveeritud
- Rekombinantsed hüübimisfaktorite konsentraadid
 - Toodetud ilma inimese või looma valgu lisandita
 - Modifitseeritud:
 - B domeen lühendatud või eemaldatud
- Pikatoimelised rekombinantsed hüübimisfaktorite konsentraadid
 - Toodetud ilma inimese või looma valgu lisandita
 - Modifitseeritud:
 - Fc fusioonvalk (rFVIII_{FC})
 - Konjugeeritud polüetüleenglükooliga (PEG)
 - Albumiini fusioon

Hemofiilia B

- FIX kontsentraadid
 - **Plasmapõhised**
 - Rekombinantsed
 - Rekombinantsed modifitseeritud
- Traneksaam hape
- Geeniravi
 - Hemgenix e. etranacogene dezaparvovec



Hemofiilia B

- FIX kontsentraadid
 - Plasmapõhised
 - Rekombinantsed
 - Rekombinantsed modifitseeritud
- Traneksam hape
- Geeniravi
 - Hemgenix e. etranacogene dezaparvovec

HEMGENIX: The first and only FDA-approved gene therapy for hemophilia B

STEP INTO A WORLD OF ELEVATED FACTOR IX LEVELS THAT LAST FOR YEARS

A one-time infusion delivers greater bleed protection*

[See the benefits](#) [Steps to get started](#)

*In the clinical trial, annualized bleed rate (ABR) for all bleeds decreased from an average of 4.1 for patients on prophylaxis (prophy) during the lead-in period to 1.9 (54% reduction) in months 7-18 after treatment.

David
Factor IX level of
37% at 2 years
Patient portrayal;
HEMGENIX not intended
for women

Muud faktori defitsiidid

- FVII defitsiit
 - Rekombinantne aktiveeritud FVII
 - Novo Seven
 - FVIII inhibiitorid
 - Plasmapõhine FVII konsentraat
 - Traneksaam hape



Faktori kontsentraadid

- Faktor XI kontsentraat
- Faktor XIII kontsentraat
- Aktiveeritud protrombiini kompleksi kontsentraat
 - FII ja FX defitsiidid
 - FVIII inhibiitorid
- Fibrinogeen
- Värskest külmutatud plasma





Tänan kuulamast!