



A Comisión Autonómica Central de Farmacia e Terapéutica (CACFT) reunida en data 31 de outubro de 2024, **CONSIDERA PERTINENTE**, de acordo a instrución 4/2010 do 26 de abril da Xerencia do Servizo Galego de Saúde, a inclusión dos medicamentos considerados de alto impacto, sanitario, social e económico **RAVULIZUMAB e PEGCETACOPLÁN**, na guía farmacoterapéutica das institucións sanitarias do Servizo Galego de Saúde, e a actualización do ditame de ECULIZUMAB

no tratamento da Hemoglobinuria Paroxística Nocturna **(HPN)**, **segundo o protocolo adxunto**.

Esta resolución e comunicada nesta data a Comisión de Farmacia e Terapéutica do seu hospital.

Alfredo José Silva Tojo
O presidente da Comisión Autonómica Central de Farmacia e Terapéutica

Santiago de Compostela, data e sinatura dixital

Xerentes das Áreas Sanitarias do Servizo Galego de Saúde



PROTOCOLO DE TRATAMENTO DA HEMOGLOBINURIA PAROXÍSTICA NOCTURNA (HPN)

O uso dos medicamentos inhibidores C5 do complemento (eculizumab biosimilar e ravulizumab) e pegcetacoplán en pacientes adultos e nenos con HPN debe seguir os seguintes criterios:

1-. Ao non dispoñer de evidencia que mostre diferencias en eficacia e seguridade entre os inhibidores C5 do complemento e o pegcetacoplán, **a elección basearase en criterios de eficiencia.** Por ser unha oportunidade de eficiencia nunha patoloxía de elevado impacto económico e para calquera destes medicamentos, **deberá priorizarse o uso do ECULIZUMAB BIOSIMILAR.**

O RAVULIZUMAB poderá utilizarse de forma excepcional en pacientes en idade pediátrica ou adultos con necesidade xustificada de reducir a frecuentación ao hospital. (*actualización CACFT-outubro 2024*).

2-. O uso dos inhibidores C5 do complemento na HPN con hemólise, con un ou mais síntomas clínicos indicativos dunha alta actividade da enfermidade están indicados nas seguintes condicións:

- Requirimentos transfusionais elevados debidos a hemólise.
- Anemia hemolítica intravascular crónica definida por: anemia grave e LDH >1,5 LSN, xunto con síntomas clínicos incapacitantes debidos a anemia hemolítica.

Debería valorarse individualmente o uso dos inhibidores C5 do complemento en pacientes sen as características anteriores que presenten complicacións graves producidas pola hemólise, como trombose grave ou trombose de repetición baixo anticoagulación ou dano tisular importante (hipertensión pulmonar ou insuficiencia renal crónica clinicamente significativas, episodios repetidos de insuficiencia renal aguda debidas a HPN, afectación de músculo liso que curse con síntomas invalidantes como dor intensa abdominal, lumbar ou espasmo esofáxico que requira de hospitalización ou toma de opioides).

Non se dispón de datos sobre o uso de ravulizumab nos pacientes que non responden o tratamento con eculizumab e a experiencia con ravulizumab en pacientes de idade avanzada é limitada.

3-. O uso de pegcetacoplán está indicado na seguinte condición:

- Anemia persistente, con valores de Hb < 10,5g/dl, despois de ser tratados con un inhibidor de C5 do complemento durante alo menos 3 meses a doses estables. A presenza de anemia persistente, a pesar do tratamento de soporte con transfusións segundo criterio médico, debese documentar de forma adecuada. (*actualización CACFT-outubro 2024*).

Así mesmo a CACFT toma os seguintes acordos (*actualización CACFT-outubro 2024*):

- Realizárase unha avaliación do beneficio do tratamento aos 3 meses do inicio e posteriormente de forma semestral, incluído o beneficio clínico, analítico e outros aspectos como o cumprimento terapéutico e o emprego óptimo do resto de medidas de soporte.
- Os anexos I e II de rexistro de inicio e seguimento de pacientes con HPN mantense para uso interno dos centros.
- No caso do medicamento ravulizumab é obrigatorio o rexistro de seguimento de pacientes en Valtermed nas indicacións de HPN (e SHUa) de acordo co establecido na Resolución de financiamento no SNS.

