

## Pfizer presenta resultados positivos del estudio en fase 3 para pacientes con hemofilia A o B con inhibidores

- El estudio sobre marstacimab (Hypmazvi®) muestra una reducción estadísticamente significativa y clínicamente relevante en la tasa anualizada de sangrado en comparación con el tratamiento a demanda en pacientes de 12 años o más, con un perfil de seguridad bien tolerado.
- Esta nueva alternativa representa la última contribución de Pfizer tras más de 40 años de avances en el manejo de la hemofilia, ofreciendo protección frente a los sangrados con una administración subcutánea semanal sencilla, mediante una pluma precargada.

**Madrid, 30 de junio de 2025** – Pfizer ha anunciado resultados preliminares positivos del estudio fase 3 BASIS (NCT03938792), que evalúa marstacimab (Hypmazvi®) en adultos y adolescentes con hemofilia A o B con inhibidores. El estudio alcanzó su objetivo primario y así como los objetivos secundarios claves relacionados con sangrados, demostrando la superioridad de este tratamiento semanal administrado por vía subcutánea en comparación con el tratamiento a demanda en una población de pacientes con opciones terapéuticas limitadas.<sup>1,2,3,4</sup>

Los inhibidores, o anticuerpos que neutralizan las terapias sustitutivas con factores de coagulación, pueden desarrollarse en personas con hemofilia reduciendo la eficacia de los tratamientos tradicionales.<sup>5</sup> En este sentido, de los más de 800.000 pacientes con hemofilia A o B en el mundo, aproximadamente el 20 % de las personas con hemofilia A y el 3 % de las personas con hemofilia B no pueden continuar con tratamientos sustitutivos, ya que desarrollan inhibidores frente al FVIII (factor VIII) o al FIX (factor IX), lo que impide que dichas terapias dejen de prevenir o detener los episodios de sangrado.<sup>6,7</sup>

*“Los pacientes con inhibidores suelen enfrentarse a complicaciones frecuentes, y el manejo del tratamiento puede resultar complejo y aumentar significativamente la carga de la enfermedad”<sup>1,2,3,4,8</sup>*, ha explicado el **doctor Víctor Jiménez Yuste, investigador principal del estudio BASIS y jefe de servicio de hematología del Hospital Universitario La Paz**. *“La notable reducción de los episodios de sangrado observada con este medicamento frente al tratamiento a demanda en el estudio Fase 3 BASIS, unida a su administración semanal, supone una opción muy prometedora para estos pacientes, que necesitan urgentemente nuevas opciones terapéuticas”*, concluye el **experto**.

El ensayo BASIS demostró que el tratamiento profiláctico con marstacimab redujo de forma estadísticamente significativa y clínicamente relevante la tasa anualizada de sangrados (ABR, por sus siglas en inglés) en personas con hemofilia A o B grave con inhibidores. Un total de 48 pacientes recibieron el tratamiento durante un periodo de 12 meses, en comparación con el régimen intravenoso a demanda con agentes *bypass*, administrado como parte de la atención habitual durante un periodo inicial de seis meses. Esta opción terapéutica demostró ser superior al tratamiento a demanda, con una reducción del 93 % en la ABR durante 12 meses (ABR 1,39 frente a ABR a demanda 19,78;  $p < 0,0001$ ). Además, se obtuvo superioridad en todos los criterios secundarios relacionados con sangrados: espontáneos, articulares, en articulaciones diana y sangrados totales. Fue bien tolerado, de forma consistente con la cohorte sin inhibidores del estudio BASIS y con los resultados de las fases 1 y 2. No se registraron muertes ni eventos tromboembólicos.

*"Estos resultados alentadores demuestran el potencial de este medicamento para ayudar a las personas con hemofilia A o B con inhibidores, cubriendo una necesidad clave en aquellos pacientes cuyos anticuerpos neutralizan la mayoría de las opciones profilácticas basadas en factores", afirmó el **doctor José Chaves, director médico de Pfizer España**. "Se trata de la última contribución de Pfizer tras más de 40 años trabajando para avanzar en el manejo y atención de la hemofilia, con una alternativa que puede contribuir a la disminución de sangrados mediante una sencilla administración subcutánea semanal a través de una pluma precargada", ha subrayado.*

El análisis completo de los datos de la cohorte con inhibidores del estudio Fase 3 BASIS sigue en curso y se presentará en futuros congresos médicos. La compañía tiene previsto compartir estos datos con las autoridades regulatorias, con el objetivo de iniciar los trámites para la aprobación de este tratamiento para pacientes con hemofilia con inhibidores.

Descubierto por científicos de Pfizer, este tratamiento presenta un mecanismo de acción diferenciado al de los tratamientos sustitutivos con FVIII y FIX. En lugar de reemplazar los factores de coagulación ausentes o insuficientes, está diseñado para dirigirse al inhibidor de la vía del factor tisular (TFPI), uno de los mecanismos naturales del cuerpo que inhibe el inicio de la coagulación. Al actuar sobre el dominio Kunitz 2 del TFPI, puede ayudar a restablecer el equilibrio entre sangrado y coagulación, con el objetivo de ofrecer una combinación de protección frente a los sangrados, buena tolerancia y una administración sencilla.

#### **Pfizer, innovaciones que cambian la vida de los pacientes®**

Pfizer, como compañía biomédica que trabaja para mejorar la salud de las personas, se dedica al desarrollo de terapias y vacunas innovadoras para curar y prevenir enfermedades o aliviar sus síntomas. Con una trayectoria de más de 175 años, Pfizer mantiene su compromiso con la sociedad y apuesta por la I+D para dar respuesta a las necesidades médicas de hoy y del mañana. El avance de la ciencia y la tecnología, así como su aplicación médica, exige colaborar con todos los implicados para maximizar la cartera de medicamentos y que la innovación farmacéutica llegue a todas las



personas que la necesitan de manera rápida, asequible, fiable y con transparencia, de acuerdo con los más altos estándares de calidad y seguridad. Para más información [www.pfizer.es](http://www.pfizer.es)

### **Pfizer Comunicación**

María Pinilla – 615 01 86 19  
[maria.pinilla@pfizer.com](mailto:maria.pinilla@pfizer.com)

### **IPG PR**

Ana Gómez – 699 119 888  
[agomezpalomo@ipg-pr.com](mailto:agomezpalomo@ipg-pr.com)

Mario Corcho – 662 256 018  
[mcorcho@ipg-pr.com](mailto:mcorcho@ipg-pr.com)

### **Referencias:**

- <sup>1</sup> Shapiro AD, Ragni MV, Borhany M, et al. Natural history study of factor IX deficiency with focus on treatment and complications (B-Natural). *Haemophilia*. 2021;27(1):49-59. doi: 10.1111/hae.14139.
- <sup>2</sup> Valentino LA, Ewenstein B, Navickis RJ, Wilkes MM. Central venous access devices in haemophilia. *Haemophilia*. 2004;10(2):134-46. doi: 10.1046/j.1365-2516.2003.00840.x.
- <sup>3</sup> Nugent D, Kalnins W, Querol F, et al. Haemophilia Experiences, Results and Opportunities (HERO) study: Treatment-related characteristics of the population. *Haemophilia*. 2015;21(1):e26-38. doi: 10.1111/hae.12545.
- <sup>4</sup> Soucie JM, Symons Jt, Evatt B, Brettler D, Huszti H, Linden J. Home-based factor infusion therapy and hospitalization for bleeding complications among males with haemophilia. *Haemophilia*. 2001;7(2):198-206. doi: 10.1046/j.1365-2516.2001.00484.x.
- <sup>5</sup> Teiu P, Chan A, Matino D. Molecular Mechanisms of Inhibitor Development in Hemophilia. *Mediterr J Hematol Infect Dis*. 2020 Jan 1;12(1):e2020001. doi: [10.4084/MJHID.2020.001](https://doi.org/10.4084/MJHID.2020.001).
- <sup>6</sup> Centers of Disease Control and Prevention. Testing for Inhibitors and Hemophilia. Accessed May 14, 2025. Available at: [https://www.cdc.gov/hemophilia/testing/testing-for-inhibitors-and-hemophilia.html?CDC\\_AAref\\_Val=https://www.cdc.gov/ncbddd/hemophilia/inhibitors.html](https://www.cdc.gov/hemophilia/testing/testing-for-inhibitors-and-hemophilia.html?CDC_AAref_Val=https://www.cdc.gov/ncbddd/hemophilia/inhibitors.html).
- <sup>7</sup> World Federation of Hemophilia. World Federation of Hemophilia Global Report on the Annual Global Survey 2022. <https://www1.wfh.org/publications/files/pdf-2399.pdf>.
- <sup>8</sup> Meeks S, Batsuli G. Hemophilia and inhibitors: Current treatment options and potential new therapeutic approaches. *Hematology Am Soc Hematol Educ Program*. 2016 Dec 2;2016(1):657–662. doi:[10.1182/asheducation- 2016.1.657](https://doi.org/10.1182/asheducation-2016.1.657).

