Hemostasia y Trombosis
REVISTA IBEROAMERICANA DE TROMBOSIS Y HEMOSTASIA

PERMANYER

Check for updates

ARTÍCULO DE INVESTIGACIÓN ORIGINAL

Terapia génica con etranacogene dezaparvovec en hemofilia B: a propósito del primer paciente infundido en España

Gene therapy with etranacogene dezaparvovec in haemophilia B: about the 1st patient infused in Spain

Manuel Rodríguez-López[1], Elena Y. Romero-Ventosa[2], Antia Amoedo-Bastos[1], Raquel Iglesias-Varela[1], María E. López-Ansoar[1], Paula Sar-Fuentes[1], Raquel Ocampo-Martínez[1] y Carmen Albo-López[1]*

[1]Servicio de Hematología y Hemoterapia; [2]Servicio de Farmacia Hospitalaria. Hospital Universitario Álvaro Cunqueiro, Instituto de Investigación Sanitaria Galicia Sur, EOXI Vigo, Vigo, España

Resumen

Introducción: *Etranacogene dezaparvovec (ED) es la primera terapia génica aprobada en Europa para hemofilia B grave o moderadamente grave sin inhibidores. Su implementación en España comenzó en 2024 como alternativa a la profilaxis convencional con factor IX (FIX).* **Objetivo:** *Describir la experiencia clínica inicial y los resultados a tres meses del primer paciente tratado con ED en España, en el contexto de los datos de 5 años del ensayo HOPE-B.* **Material y métodos:** *Recogida de datos de la historia clinica electronica del paciente.* **Resultados:** *Varón de 41 años, FIX basal 1,6% y artropatía avanzada, recibió una dosis única intravenosa de ED. La infusión fue bien tolerada con suspensión inmediata de la profilaxis. La actividad de FIX aumentó progresivamente hasta el 49,9% a los tres meses, situando al paciente en el percentil 67 del ensayo HOPE-B (media 39,0 UI/dl al mes 6; 36,1 ± 15,7 UI/dl a los 5 años). Se observó transaminitis leve y transitoria, controlada con prednisona, sin complicaciones adicionales.* **Conclusiones:** *Los resultados iniciales confirman la seguridad y eficacia esperadas de ED en práctica clínica real, consistentes con el perfil a largo plazo del HOPE-B, y subrayan la importancia de una selección cuidadosa y la motivación del paciente.*

Palabras clave: *Hemofilia B. Terapia génica. Etranacogene dezaparvovec. Factor IX coagulativo.*

Abstract

Introduction: *Etranacogene dezaparvovec (ED) is the first gene therapy approved in Europe for severe or moderately severe haemophilia B without inhibitors. Its implementation in Spain began in 2024 as an alternative to conventional FIX prophylaxis.* **Objective:** *To describe the initial clinical experience and 3-month outcomes of the first patient treated with ED in Spain, in the context of the 5-year HOPE-B data.* **Materials and methods:** *Data collection from the patient's electronic medical record.* **Results:** *A 41-year-old male with baseline FIX 1.6% and advanced arthropathy received a single intravenous dose of ED. Infusion was well tolerated, with immediate discontinuation of prophylaxis. FIX activity increased progressively to 49.9% at 3 months, placing the patient at the 67th percentile of the HOPE-B trial (mean 39.0 IU/dl at month 6; 36.1 ± 15.7 IU/dl at 5 years). Mild and transient transaminitis was managed with prednisone without additional complications.* **Conclusions:** *Initial results confirm the expected safety and efficacy of ED in real clinical practice, consistent with the long-term HOPE-B profile, and highlight the importance of careful patient selection and motivation.*

Keywords: *Haemophilia B. Gene therapy. Etranacogene dezaparvovec. Factor IX coagulative activity.*

***Correspondencia:**
Manuel Rodríguez-López
E-mail: manuel.rodriguez.lopez@sergas.es

Fecha de recepción: 28-09-2025
Fecha de aceptación: 03-06-2026
DOI: 10.24875/RHT.25000021

Disponible en línea: 30-07-2026
Hemost Trombos. 2026;3(2):40-45
www.revistahemostasiaytrombosis.com

2938-8740 / © 2026 Sociedad Española de Trombosis y Hemostasia (SETH) y Grupo Cooperativo Latinoamericano de Hemostasia y Trombosis (CLAHT). Publicado por Permanyer. Este es un artículo de acceso abierto bajo la CC BY-NC-ND license (http://creativecommons.org/licenses/by-nc-nd/4.0/).

Introducción

Etranacogene dezaparvovec (ED) es la primera terapia génica aprobada por la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) en 2023 para pacientes adultos con hemofilia B (HB) grave o moderadamente grave (factor IX [FIX] ≤ 2%) sin inhibidores, con base en los resultados del ensayo clínico HOPE-B[1]. En España está disponible desde septiembre de 2024 tras la aprobación de la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos[2]. Actualmente no existe una red nacional de referencia para centros de infusión, tal y como han propuesto la EAHAD (European Association of Haemophilia and Allied Disorders) y la UKCHDO (United Kingdom Haemophilia Centre Doctors' Organisation)[3,4], que defienden la implementación de un modelo *hub and spoke* con funciones claramente definidas.

Se espera que el ED proporcione una corrección funcional a largo plazo de la HB al permitir la producción endógena de FIX tras una sola administración intravenosa. Los datos del análisis final del HOPE-B a 5 años[5] (publicado en diciembre del 2025 en el *New England Journal of Medicine*) confirman que una dosis única de ED indujo expresión duradera y efectiva del FIX Padua durante 5 años en pacientes con HB grave o moderadamente grave. En la población de análisis completo (n = 54), la tasa anualizada de sangrados (TAS) global fue de 4,16 durante el periodo de *lead-in* y de 1,52 durante los meses 7-60 posterapia génica, una reducción del 63% (IC 95%: 24-82). La actividad media de FIX endógeno se mantuvo estable a lo largo de los 5 años de seguimiento, con un valor de 36,1 ± 15,7 UI/dl al año 5; el 80% de los participantes presentaba una actividad de FIX ≥ 12 UI/dl en ese momento (Fig. 1). El consumo de FIX exógeno se redujo un 96%, de 257.339 UI/año durante el *lead-in* a 10.924 UI/año durante los meses 7-60. El 94% de los participantes (51/54) suspendieron la profilaxis continua con FIX sin reiniciarla durante los 5 años de seguimiento. No se detectaron inhibidores frente al FIX ni eventos trombóticos durante el periodo de análisis.

A pesar del elevado coste del tratamiento, la adopción de modelos de pago por resultados parece una estrategia razonable, ya que flexibiliza el impacto económico inicial para los sistemas de salud pública. Se ha estimado una durabilidad de la expresión de FIX de hasta 20-25 años para > 80% de los receptores, según modelos bayesianos[6], que requieren confirmación con datos longitudinales prospectivos. Esta estimación resulta coherente con los resultados del estudio AMT-060[7], plataforma precursora de ED que utiliza el transgén de FIX silvestre (*wild-type*) en lugar de la variante Padua, con niveles de FIX estables a 8 años (aunque en torno al 5%, inferiores a los de ED) confirmando la viabilidad y seguridad a largo plazo de la plataforma AAV5.

Método

Se describe la experiencia clínica inicial y los resultados a tres meses del primer paciente tratado con ED en España. Los datos clínicos proceden de la historia clínica electrónica y de los informes de laboratorio. El estudio fue aprobado por el comité de ética de la investigación del centro y se obtuvo consentimiento informado por escrito.

Resultados

Se trata de un varón de 41 años con HB moderadamente grave (FIX basal 1,6%; genotipo c.892C>T, exón 8, gen *F9*, variante patogénica que genera un codón *stop*) en profilaxis secundaria con eftrenonacog alfa (50 UI/kg semanales) desde 2018, sin antecedentes actuales ni previos de inhibidores frente al FIX. El paciente presentaba artropatía hemofílica avanzada (puntuación HEAD-US: 7), predominantemente en tobillos y codo izquierdo. Las características basales se recogen en la tabla 1.

Previo a la solicitud de autorización para la infusión se certificó el cumplimiento de todos los criterios de inclusión y ninguno de exclusión, conforme al IPT de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS)[8]. El paciente tenía antecedente de infección pasada por virus de la hepatitis C (VHC) curada, con rigidez hepática por FibroScan de 3,1 kPa y ecografía abdominal normal. Los títulos de anticuerpos anti-AAV5 fueron < 18,5 (límite inferior de detección, AAV5 NAb Test Precision for Medicine®), en dos determinaciones separadas 2 meses. La serología para el resto de virus hepatotropos y VIH era negativa. Los parámetros bioquímicos hepáticos y la creatina fosfocinasa (CPK) eran normales en el momento basal.

Previo a la firma del consentimiento informado, y tras entrega de la Guía de Preguntas y Respuestas de Terapia Génica para pacientes[9] y siguiendo el *roadmap* descrito por Álvarez-Román et al.[10], el paciente fue evaluado por el psicólogo clínico, quien certificó que comprendía el proceso y sus obligaciones. El consentimiento informado fue elaborado conjuntamente por los Servicios de Hematología y Farmacia, con

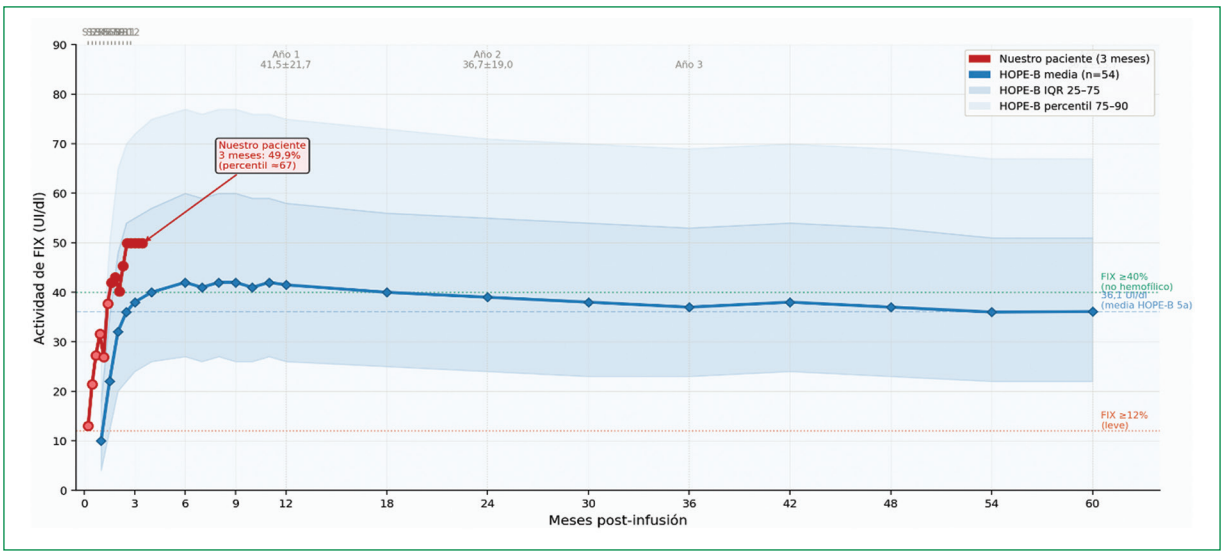

Figura 1. Niveles de FIX endógeno: nuestro paciente vs. ensayo HOPE-B (seguimiento de 5 años) (*adaptada de Pipe et al.*[5]). Comparación de la actividad de FIX endógeno (UI/dl) entre nuestro paciente (línea roja, círculos) y los participantes del ensayo HOPE-B (n = 54) durante los 5 años de seguimiento. Línea azul: media aritmética HOPE-B. Banda azul oscura: rango intercuartílico (P25-P75). Banda azul clara: percentil 75-90. Líneas de referencia: FIX ≥ 40 UI/dl (verde punteada, umbral no hemofílico), FIX ≥ 12 UI/dl (naranja punteada, umbral hemofilia leve), media HOPE-B año 5: 36,1 UI/dl (azul discontinua). El eje superior muestra la correspondencia en semanas durante los primeros 3 meses. La anotación indica la posición de nuestro paciente a la semana 15 (FIX 49,9%, percentil ≈67). FIX: factor IX.

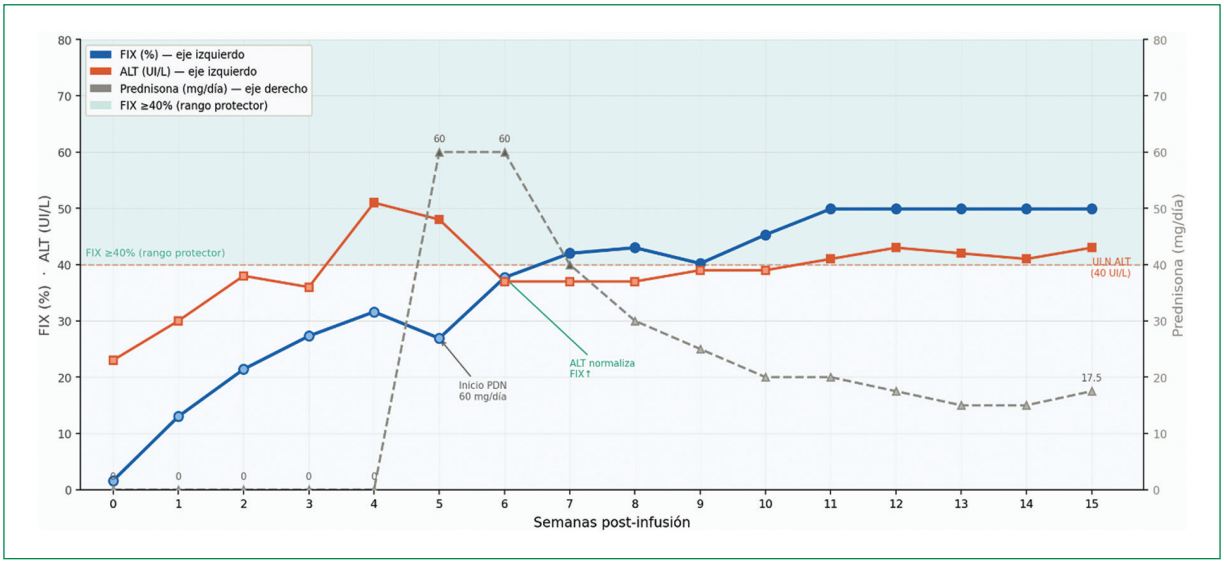

Figura 2. Evolución de la actividad de FIX, ALT y dosis de PDN (semanas 0-15 postinfusión). Primer paciente español tratado con etranacogene dezaparvovec (semanas 0-15). Evolución semanal de la actividad de FIX (%) (línea azul, círculos; eje izquierdo), ALT (UI/l) (línea naranja, cuadrados; eje izquierdo) y dosis de PDN (mg/día) (línea gris discontinua, triángulos; eje derecho) durante las primeras 15 semanas postinfusión de etranacogene dezaparvovec. La zona verde sombreada indica el rango de FIX ≥ 40% (rango protector). La línea discontinua naranja señala el LSN de ALT (40 UI/l). Puntos de FIX en azul oscuro: ≥ 40%. Puntos de FIX en azul claro: < 40%. ALT: alanina transaminasa; FIX: factor IX; LSN: límite superior de la normalidad; PDN: prednisona.

Tabla 1. Características basales del paciente

Parámetro	Valor
Edad	41 años
Sexo	Varón
Diagnóstico	Hemofilia B moderadamente grave
Actividad basal de FIX	1,6% (ensayo coagulométrico en una etapa)
Genotipo F9	c. 892C > T, exón 8 – codón stop (fenotipo moderadamente grave/grave)
Profilaxis previa	Eftrenonacog alfa 50 UI/kg/semana desde 2018
Inhibidores anti-FIX	Negativo (sin antecedentes)
Artropatía hemofílica	Avanzada (HEAD-US: 7); tobillos y codo izquierdo
Infección previa VHC	Curada. FibroScan: 3,1 kPa. Ecografía abdominal normal
Serología hepatotropos y VIH	Negativa
Anticuerpos anti-AAV5	< 18,5 (negativo; AAV5 NAb Test Precision for Medicine®; 2 determinaciones)
Función hepática basal	ALT, AST, GGT y bilirrubinas normales
CPK basal	Normal
Evaluación psicológica	Apto; comprende riesgos y obligaciones postinfusión
Consentimiento informado	Firmado tras evaluación multidisciplinar
Fecha de infusión	18 de junio de 2025
Dosis administrada	2×10^{13} gc/kg por vía intravenosa

AAV5: virus adenoasociado tipo 5; ALT: alanina transaminasa; AST: aspartato transaminasa; CPK: creatina fosfocinasa; FIX: factor IX; GGT: gamma-glutamil transferasa; VHC: virus de hepatitis C; VIH: virus de inmunodeficiencia humana; gc: copias genómicas.

especial énfasis en las obligaciones postinfusión (prohibición de consumo de alcohol y uso de métodos de barrera durante el primer año).

El 18 de junio de 2025 se procedió al ingreso del paciente en la unidad de hematología. Tras comprobar la ausencia de contraindicaciones, se administró ED a una dosis de 2×10^{13} gc/kg por vía intravenosa durante una hora. La infusión fue bien tolerada sin eventos adversos. La profilaxis con EHL-FIX se suspendió el mismo día. El paciente permaneció en observación y fue dado de alta cuatro horas después, con inicio de visitas de seguimiento semanales según protocolo del centro, basado en recomendaciones internacionales y ficha técnica del producto.

Los primeros días tras la administración, el paciente refirió mayor cansancio del habitual, permaneciendo afebril, con cefalea transitoria y mialgias durante las primeras 24 horas (síntomas que no le impidieron desarrollar su actividad laboral y que no precisaron manejo específico). Desde la semana 1 hasta la semana 4, la actividad de FIX aumentó progresivamente del 13 al 31,6% (ensayo coagulométrico en una etapa, HemosIL SynthASil®, ACLTop®), manteniéndose los niveles de alanina transaminasa (ALT) dentro del rango normal.

En la semana 4 la ALT ascendió hasta 51 UI/L (límite superior de la normalidad [LSN]: 40 UI/l; último valor basal: 30 UI/l a 6 de junio de 2025), con aspartato aminotransferasa (AST), bilirrubina total y CPK normales. Cuarenta y ocho horas después, la ALT disminuyó espontáneamente a 41 UI/l, con ligero descenso del FIX al 28,3% (inferior al umbral crítico del 20-30%). Cuatro días más tarde, la ALT volvió a ascender a 48 UI/l y el FIX descendió al 26,9% (descenso del 15% desde el pico), con el resto de parámetros normales. Conforme a nuestro protocolo y a los datos del HOPE-B, al interpretar el ascenso sostenido de ALT como respuesta inmunitaria frente al vector génico, se inició prednisona 60 mg/día. Tras 7 días (semana 6 postinfusión) la ALT se normalizó y el FIX aumentó hasta el 37,7%.

A continuación, la prednisona se redujo progresivamente a 40 mg/día, con seguimiento clínico y analítico semanal. En la semana 15, el FIX era del 49,9%, la ALT de 43 UI/l y la pauta de prednisona de 20-15 mg en días alternos. No se han producido sangrados ni se ha requerido administración de concentrado de FIX hasta la fecha de cierre de este informe (Fig. 2). Las determinaciones analíticas se realizan siempre con el mismo equipo para minimizar la variabilidad en el seguimiento longitudinal.

Conclusión

Se reportan los tres primeros meses de seguimiento de la primera infusión de ED efectuada en España. Aunque el periodo es todavía breve, la evolución del tratamiento ha sido exitosa hasta la fecha. El paciente refiere un alto grado de satisfacción, a pesar del exigente programa de seguimiento con visitas semanales durante los primeros meses, que se prolongará hasta el cese de la corticoterapia. La gran motivación del paciente hacia la terapia génica es un factor que consideramos fundamental en la selección de candidatos. A diferencia del *roadmap* descrito por Álvarez-Román et al.,[10] en nuestro caso no se incluyó al hepatólogo en el equipo multidisciplinar, dado que la evaluación hepática previa era normal.

La tolerancia a la infusión fue excelente, en línea con el perfil de seguridad del HOPE-B, donde únicamente un paciente (1,9%) interrumpió la perfusión por reacción infusional recibiendo solo el 10% de la dosis prevista[5]. Los síntomas postinfusión (astenia, cefalea y mialgias en las primeras 24 horas) corresponden a los catalogados como muy frecuentes (≥ 10%) en la ficha técnica, son autolimitados y no requieren medidas adicionales.

La evolución a tres meses sigue el patrón esperado: buena tolerancia a la infusión, elevación leve y reversible de enzimas hepáticas, y niveles satisfactorios de FIX. En el HOPE-B, la actividad detectable de FIX aparece en la primera semana postinfusión, con ascenso progresivo y meseta estable alrededor de las semanas 6-8. La media de FIX endógeno fue de 41,5 ± 21,7 UI/dl (mediana: 39,9; rango: 5,9-113) al año, de 36,7 ± 19,0 UI/dl a los 2 años[11], y de 36,1 ± 15,7 UI/dl al año 5[5], mostrando una estabilidad notable a lo largo del tiempo (Fig. 1). Los niveles de nuestro paciente (49,9% a la semana 15) son consistentes tanto en dinámica de ascenso como en magnitud, situándole en el percentil aproximado 67 del ensayo pivotal. El análisis final del HOPE-B a 5 años confirma además que el 96% de los participantes con respuesta (51/52) mantuvieron protección duradera frente al sangrado durante los meses 7-60 sin reiniciar profilaxis.

En cuanto a la monitorización analítica, el ensayo coagulométrico en una etapa es el método recomendado en práctica clínica para el seguimiento de pacientes con HB tras terapia génica con FIX Padua[12]. Astermark et al.[12] destacan que este método es adecuado y fiable (a diferencia del cromogénico, que tiende a infraestimar la actividad del FIX), y que debe mantenerse siempre el mismo reactivo para reducir la variabilidad longitudinal. En nuestro centro utilizamos HemosIL SynthASil®, para el que los autores señalan mejor concordancia entre laboratorios centrales y locales.

La transaminitis observada es consistente con una respuesta inmunomediada específica del hepatocito frente al vector AAV5 o al transgén expresado, sin daño multiorgánico ni muscular, reflejada en la normalidad de AST, CPK y bilirrubina. En el análisis a 5 años del HOPE-B[5], las elevaciones tempranas de ALT (definidas como aumento ≥ 2 × nivel basal o > LSN en los primeros 4 meses) se observaron en 11 participantes (20,4%), de los cuales 9 (16,7%) recibieron glucocorticoides sistémicos durante una media de 81,4 ± 28,6 días (rango 51-130). La incidencia de estas elevaciones fue inferior a la observada en ensayos previos de terapia génica hepática con vectores AAV. Importante: los participantes con elevación temprana de ALT presentaron niveles medios de FIX algo inferiores a largo plazo (aunque aún en rango terapéutico) respecto a los que no la desarrollaron. El manejo corticoideo de nuestro paciente está dentro de lo esperado y no se asoció a peor pronóstico en el ensayo pivotal. La serie francesa[13] reportó elevaciones transitorias de ALT en dos de tres pacientes infundidos, sin necesidad de corticosteroides. La inmunosupresión de nuestro paciente se está adaptando a la evolución clínica y analítica.

Desde el punto de vista de la seguridad a largo plazo, el análisis final del HOPE-B a 5 años[5] no detectó evidencia de oncogenicidad relacionada con el tratamiento, ni de disfunción hepática tardía ni eventos tromboembólicos. El carcinoma hepatocelular diagnosticado en un participante fue determinado como no relacionado con ED tras análisis molecular independiente de la integración del vector. Este perfil de seguridad es particularmente relevante dado que más de la mitad de los participantes del HOPE-B presentaban serología positiva para VHC o virus de la hepatitis B (VHB) en el momento del cribado (situación también presente en nuestro paciente, con VHC curada).

Paralelamente, un grupo de hematólogos españoles ha iniciado el desarrollo de una plataforma de inteligencia artificial orientada a la selección y seguimiento de pacientes candidatos a terapia génica para HB (https://codigorojo.tech/home/), en línea con lo reportado por Succi et al.[14] sobre el potencial de la IA para la formación clínica en enfermedades raras. Hasta el momento, las recomendaciones del sistema son concordantes con las de los clínicos implicados.

En conclusión, la administración de ED en el primer paciente español ha resultado segura y eficaz a los tres meses de seguimiento, con expresión de FIX en rango terapéutico, ausencia de sangrados y manejo exitoso de la transaminitis mediante corticosteroides. Estos resultados son plenamente consistentes con el patrón de eficacia y seguridad confirmado por el análisis final del HOPE-B a 5 años. La selección de pacientes motivados y bien informados puede ser un factor determinante para el éxito de este tratamiento. El seguimiento a largo plazo permitirá confirmar la durabilidad de la respuesta.

Financiación

Ninguna.

Conflicto de intereses

Ninguno.

Consideraciones éticas

Protección de personas y animales. Los autores declaran que para esta investigación no se han realizado experimentos en seres humanos ni en animales.

Confidencialidad, consentimiento informado y aprobación ética. Los autores han obtenido la aprobación del Comité de Ética para el análisis de datos clínicos obtenidos de forma rutinaria y anonimizados. Debido a la naturaleza del estudio, no fue necesario el consentimiento informado individual. Se han seguido las recomendaciones éticas pertinentes.

Declaración sobre el uso de inteligencia artificial. Los autores declaran que se utilizó OpenAI para la figura 1.

Referencias

1. Pipe S, van der Valk P, Verhamme P, Kampmann P, Leebeek FWG, Coppens M, et al. Long-term bleeding protection, sustained FIX activity, reduction of FIX consumption and safety of hemophilia B gene therapy: results from the HOPE-B trial 3 years after administration of etranacogene dezaparvovec. Blood. 2023;142(Suppl 1):1055-7. doi:10.1182/blood-2023-187624
2. Ministerio de Sanidad, Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos. Acuerdo de financiación de etranacogene dezaparvovec. España: Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos; sesión 26 septiembre 2024.
3. Chowdary P, Duran B, Batty P, Lowe G, Jones A, Pollard D, et al. UKHCDO gene therapy taskforce: Guidance for implementation of haemophilia gene therapy into routine clinical practice for adults. Haemophilia. 2025;31(1):26-38. doi:10.1111/hae.15125
4. Miesbach W, Baghaei F, Boban A, Chowdary P, Coppens M, Hart DP, et al. Gene therapy of hemophilia: hub centres should be haemophilia centres: a joint publication of EAHAD and EHC. Haemophilia. 2022;28(3):e86-e88. doi:10.1111/hae.14546
5. Pipe SW, Miesbach W, Recht M, Leebeek FWG, Key NS, Castaman G, et al.; HOPE-B Study Group Investigators. Final analysis of a study of etranacogene dezaparvovec for hemophilia B. N Engl J Med. 2025;394(5):458-69. doi:10.1056/NEJMoa2514332
6. Shah J, Kim H, Sivamurthy K, Monahan PE, Fries M. Comprehensive analysis and prediction of long-term durability of factor IX activity following etranacogene dezaparvovec gene therapy in the treatment of hemophilia B. Curr Med Res Opin. 2023;39(2):227-37. doi:10.1080/03007995.2022.2133492
7. Leebeek FWG, Meijer K, Coppens M, Kampmann P, Klamroth R, Schutgens REG, et al. Stable factor IX expression and sustained reductions in factor IX use 8 years after gene therapy with CSL220 (formerly AMT-060) in adults with hemophilia B. Blood. 2024;144(Suppl 1):3578-9. doi:10.1182/blood-2024-198379
8. Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS). Informe de posicionamiento terapéutico de etranacogene dezaparvovec. IPT-170/2023 [Internet]. Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios. Disponible en: https://www.aemps.gob.es/medicamentosUsoHumano/informesPublicos/docs/2023/IPT-170-Hemgenix-etranacogen-dezaparvovec-trastornos-coagulacion.pdf
9. Álvarez Román MT, García Diego DA, Núñez Vázquez R, Pérez González L, Rodríguez López M, Sánchez Ruiz M. Questions and answers about gene therapy in hemophilia. Madrid: RFVE & FEDHEMO; 2024. ISBN: 978-84-09-60007-6
10. Álvarez-Román MT, Bonanad S, Herrera C, Rodríguez López M, García-Diego DA, García S, et al. Proposal of an integrated patient journey roadmap for the introduction of the first gene therapy for haemophilia B in Spain - The BHEMOGEN project. Rare. 2025;3:100078. doi:10.1016/j.rare.2025.100078
11. Pipe SW, Leebeek FWG, Recht M, Key NS, Lattimore S, Castaman G, et al.; HOPE-B Study Group Investigators. Adults with severe or moderately severe hemophilia B receiving etranacogene dezaparvovec in the HOPE-B phase 3 clinical trial continue to experience a stable increase in mean factor IX activity levels and durable hemostatic protection after 24 months' follow-up. Blood. 2022;140(Suppl 1):4910-2. doi:10.1182/blood-2022-166135
12. Astermark J, Miesbach W, Coppens M, Gielen S, Twisk J, Dolmetsch R, et al.; HOPE-B study investigators. Evaluation of one-stage assays for the monitoring of recombinant human factor IX Padua activity after etranacogene dezaparvovec gene therapy. Haemophilia. 2025;31(4):799-806. doi:10.1111/hae.70053
13. Drillaud N, Pan-Petesch B, Frenzel L, Trossaërt M, Ternisien C, Fouassier M, et al. First French real-world gene therapy experience with etranacogene dezaparvovec for hemophilia B. ISTH 2025, Abstract PB0824
14. Succi MD, Chang BS, Rao AS. Building the AI-enabled medical school of the future. JAMA. 2025;333(19):1665-6. doi:10.1001/jama.2025.2789