

## ELTROMBOPAG AS FIRST-LINE TREATMENT IN SEVERE APLASTIC ANEMIA: A COST-EFFECTIVENESS ANALYSIS FROM THE BRAZILIAN PUBLIC HEALTHCARE SYSTEM PERSPECTIVE

MA Salvino<sup>a,b</sup>, C Bonfim<sup>c</sup>, RT Calado<sup>d</sup>, H Kim<sup>e</sup>, JF Bertinato<sup>e</sup>, P Scheinberg<sup>f</sup>

<sup>a</sup> Hospital Universitário Professor Edgar Santos (HUPES), Universidade Federal da Bahia (UFBA), Salvador, BA, Brazil

<sup>b</sup> Hospital São Rafael, Instituto D'Or de Ensino e Pesquisa (IDOR), Salvador, BA, Brazil

<sup>c</sup> Blood and Marrow Transplantation Unit, Department of Hematology, Hospital de Clínicas da Universidade Federal do Paraná (UFPR), Curitiba, PR, Brazil

<sup>d</sup> Department of Medical Imaging, Haematology, and Clinical Oncology, Faculdade de Medicina de Ribeirão Preto (FMRP), Universidade de São Paulo (USP), Ribeirão Preto, SP, Brazil

<sup>e</sup> Novartis Biociências S.A., São Paulo, SP, Brazil

<sup>f</sup> Division of Hematology, A Beneficência Portuguesa de São Paulo (BP), São Paulo, SP, Brazil

**Background:** Eltrombopag actively promotes hematological response in association with immunosuppressive therapy (IST) as a first-line treatment for severe aplastic anemia (SAA). This study analyzes the cost-effectiveness of the combination of IST plus eltrombopag in the first line in SAA from the Brazilian public healthcare system perspective. **Methods:** We built a hybrid decision tree comprising three months of treatment and a Markov model, defined by five mutually exclusive health states (free from drug treatment; demanding drug treatment [relapse]; hematopoietic stem cell transplantation [HSCT]; clonal evolution; and death). Life-years gained was adopted as a primary endpoint for effectiveness. Economic endpoints considered direct medical costs only. Resource utilization patterns were extracted from data available and validated by an expert panel. Treatment strategies were compared through the incremental cost-effectiveness ratio (ICER), and results were reported in Brazilian Real (R\$). **Main results:** The combination of eltrombopag plus IST showed a higher cost of treatment than IST alone (R\$ 248,964.02 vs. R\$ 132,695.59, respectively). However, the combination saved resources related to HSCT, relapse, lack of response, transfusion requirements and end of life. This resulted in an incremental cost of R\$ 116.268 per patient treated with IST alone. Moreover, eltrombopag produced an additional survival of approximately 1.4 years per patient, resulting in an ICER of R\$ 83.412 per life-year gained. **Conclusion:** Despite some technical limitations for cost collection in the Brazilian healthcare, Eltrombopag associated with IST appears cost-effective for the treatment in the first line of SAA from the Brazilian public healthcare system perspective. **Keywords:** Anemia, Aplastic; Eltrombopag; Immunosuppression; Cost-Benefit Analysis.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2021.10.063>



## HEMOGLOBINÚRIA PAROXÍSTICA NOTURNA (HPN): EXPERIÊNCIA DE TRÊS CENTROS DE TRATAMENTO NO ESPÍRITO SANTO (ES)

SS Marcondes<sup>a</sup>, GS Sonsim<sup>a</sup>, VHR Carvalho<sup>a</sup>, PADSBA Matos<sup>a</sup>, MP Araujo<sup>a</sup>, MB Silveira<sup>b</sup>, ACZ Loureiro<sup>c</sup>, AB Cazeli<sup>c</sup>, SF Lodi<sup>c</sup>, MDD Santos<sup>b</sup>

<sup>a</sup> Hospital Universitário Cassiano Antonio Moraes (HUCAM), Universidade Federal do Espírito Santo (UFES), Vitória, ES, Brasil

<sup>b</sup> Centro de Hemoterapia e Hematologia do Espírito Santo (HEMOES), Vitória, ES, Brasil

<sup>c</sup> Hospital Santa Casa de Misericórdia de Vitória, Vitória, ES, Brasil

**Introdução:** A HPN é um distúrbio genético adquirido raro, estimado em 1-10/milhão/habitantes, na qual as células hematópoéticas tem redução ou ausência de proteínas glicosil-fosfatidilinositol (GPI) na superfície celular. A perda dos inibidores do complemento ligadas ao GPI predispõe à hemólise intravascular crônica e/ou paroxística, à trombose, e/ou disfunção orgânica e medula óssea hipocelular ou displásica. A HPN pode ser classificada em três subtipos: Clássica, Subclínica e associada a outros distúrbios primários de medula óssea. O tratamento é principalmente sintomático, com o uso de terapias farmacológicas e não farmacológicas, com objetivo de reduzir a hemólise, tratar e prevenir episódios tromboembólicos e outras complicações associadas. **Objetivo:** Descrever os dados epidemiológicos desta rara doença em três centros de tratamento de referência no ES. **Resultados:** Em 2021 estão em acompanhamento 7 pacientes, sendo 71% (5) no hospital universitário, 28% nos outros centros. Dentre estes, 1 paciente no Centro Estadual de Hemoterapia e 1 no Hospital Santa Casa de Vitória. A maioria dos pacientes é do sexo masculino 57% (4) e 43% (3) do sexo feminino. A média de idade ao diagnóstico foi 43 anos, sendo idade mínima 32 e máxima 68 anos. Em relação à classificação desta doença: 57% (4) apresenta HPN clássica e 43% (3) HPN associado a outros diagnósticos, dos quais todos tinham diagnóstico de aplasia de medula óssea. A média do tempo de diagnóstico é de 12 anos, sendo mínimo de 6 e máximo de 22 anos. A hemoglobina média ao diagnóstico foi de 8 g/dL. Quanto às complicações, 14% (1) apresentou trombose, 28% (2) insuficiência renal e 86% (6) precisou de transfusão ao longo do acompanhamento. A maioria dos pacientes apresenta alguma comorbidade, com predomínio de hipertensão arterial 57% (4) e diabetes 28% (2). No que diz respeito ao tratamento 71% receberam corticoide em algum período. Foi indicado Inibidor de C1 (eculizumabe) para todos os pacientes, no entanto, 1 (14%) recusou tratamento e 28% (2) aguarda liberação. 1 paciente (14%) necessitou suspensão deste medicamento devido evento adverso. **Discussão:** Nesta coorte além do quadro de anemia hemolítica clássica, foram observadas complicações como trombose e insuficiência renal. A trombose ocorre em cerca de 40% dos pacientes e quadros de insuficiência renal aguda transitórios são associados a crises hemolíticas, podendo evoluir para insuficiência

