

adquiridos pelo Sistema Único de Saúde (SUS), para atendimento aos pacientes hemofílicos. Este medicamento é crítico na via de coagulação sanguínea, possuindo uma importante função na hemostasia normal. É competência do Instituto Nacional de Controle de Qualidade em Saúde (INCQS), avaliar a qualidade de tais produtos de acordo com a legislação vigente, Resolução RDC nº 58 de 17 de dezembro de 2010. Tal legislação preconiza que todos os lotes de hemoderivados, independente da sua quantidade, serão avaliados quanto à especificação, segundo normas oficiais e metodologias validadas apresentadas pelo detentor do registro e aprovadas pela ANVISA no momento do registro e/ou alterações pós-registro, levando-se em consideração as especificidades de cada produto. A análise laboratorial dos Concentrados de Fator VIII é parte integrante do processo de internalização, com vistas à sua liberação e consumo no país. **Objetivo:** Este trabalho teve como objetivo a análise laboratorial e sistemática dos Concentrados de Fator VIII no período de 2019 a 2023, com vistas ao monitoramento da qualidade e liberação para consumo, no país. **Metodologia:** No período avaliado foram recebidos para análise 721 lotes de Concentrado de Fator VIII e analisados segundo a Farmacopeia Brasileira: Inspeção visual; Dosagem de Fator VIII; Solubilidade; Termo estabilidade; Análise documental, entre outros. **Resultados:** Os 721 lotes de Concentrados de Fator VIII recebidos para análise e foram assim distribuídos: 706 lotes (97,9%) foram adquiridos para distribuição no SUS e 15 lotes (2,1%) adquiridos pelos detentores de registro do produto, para atendimento ao setor privado. Ainda vale destacar que 707 lotes 98,0% corresponderam aos Concentrados de Fator VIII, derivado de plasma fresco congelado e 14 lotes (2,0%) do produto aos Fator VII recombinante. Quanto a distribuição anual: 2019 correspondeu a 33,7% com 243 lotes; 2020 correspondeu a 16,9% com 122 lotes; 2021 correspondeu a 21,1% com 152 lotes; 2022 correspondeu a 18,3% com 132 lotes e 2023 correspondeu a 10,0% com 72 lotes. Quando analisado frente aos 04 detentores de registro do produto no país, 02 destes corresponderam a 92,6%, 668 lotes e os outros 02 detentores corresponderam a 7,4%, 53 lotes. A análise laboratorial dos produtos apresentou 100% de resultados dentro da especificação e, portanto, os produtos liberados para consumo no país. **Conclusão:** Os resultados acima obtidos ressaltam a relevância do monitoramento sistemático da qualidade dos Concentrados de Fator VIII, lote a lote, majoritariamente adquirido pelo Ministério da Saúde, como um importante instrumento de ação da Vigilância Sanitária.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.953>

MINHA OPINIÃO

TMO Pietrobelli

Federação Brasileira de Hemofilia (FBH), Caxias do Sul, RS, Brasil

Objetivos: Criada pela Federação Brasileira de Hemofilia (FBH), o Minha Opinião é uma campanha para incentivar e aumentar as contribuições em Consultas Públicas da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde (Conitec). Em 2023, ocorreram três Consultas

Públicas para ampliar a medicação para adultos e crianças com Hemofilia A. Foi criado um vídeo tutorial de como contribuir nas Consultas Públicas para que a voz dos pacientes fosse ouvida pelas autoridades governamentais e assim ocorresse a ampliação do público para utilizar as medicações em consulta. A FBH fez uma grande campanha e conseguiu 2.045 contribuições nas Consultas Públicas da Conitec para anticorpo monoclonal e fator de coagulação. **Material e métodos:** A FBH produziu e divulgou nos canais de comunicação um vídeo tutorial explicando como contribuir para as Consultas Públicas da Conitec para ampliação do número de pacientes para uso de anticorpo monoclonal e fator de coagulação. O vídeo mostrou o passo a passo, do login até as perguntas do questionário, deixando claro que somente contribuições únicas e personalizadas são válidas pelos avaliadores. O vídeo foi divulgado nas redes sociais oficiais e site institucional da FBH para engajar e aumentar o número de contribuições. A mobilização pela comunidade de Hemofilia A foi grandiosa e houve muitas contribuições com fotos e vídeos, mostrando a realidade dos pacientes com o tratamento atual e a necessidade de ampliar o público beneficiário das medicações. **Resultados:** A campanha “Minha Opinião” recebeu mais de 4.200 de visualizações no vídeo tutorial, as três Consultas Públicas receberam 2.045 contribuições, sendo 1.321 respostas para ampliar o tratamento de anticorpo monoclonal para crianças de até 12 anos, 579 contribuições para ampliar o tratamento de anticorpo monoclonal para pessoas com inibidor, independentemente da idade, e 145 respostas para tratamento com fator de coagulação para adolescentes e adultos sem inibidor. A Comissão do Governo avaliou todas as contribuições e decidiu ampliar somente o segundo grupo de pacientes com inibidor para tratamento pelo Sistema Único de Saúde (SUS). **Discussões:** As contribuições realizadas pelos usuários do SUS mostraram a necessidade de ampliar o acesso a medicações que auxiliem na adesão ao tratamento e proporcionem mais qualidade de vida, bem como o engajamento da comunidade de Hemofilia na participação social e exercício da cidadania por meio da Consulta Pública. A campanha Minha Opinião da FBH contribuiu para o entendimento das Consultas Públicas e qualificar as contribuições dos usuários com as melhorias do sistema da Conitec para o recebimento das contribuições. **Conclusões:** A FBH elaborou uma campanha com contribuições robustas que mostram como a voz do paciente é necessária na tomada de decisões para melhorar a qualidade de vida. Mesmo sendo apenas um público beneficiado, as contribuições podem ser reutilizadas para ações em advocacy da FBH junto aos órgãos governamentais que refletirão em uma futura ampliação de pacientes beneficiários.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.954>

JORNADA DO PACIENTE COM HEMOFILIA B

TMO Pietrobelli

Federação Brasileira de Hemofilia (FBH), Caxias do Sul, RS, Brasil

Objetivos: A Federação Brasileira de Hemofilia (FBH) realizou uma pesquisa qualitativa para as pessoas com Hemofilia B no

Brasil. Cerca de 2.277 pessoas têm Hemofilia B, e com essa informação entendeu-se a necessidade de aplicar um questionário. A pesquisa recebeu 95 contribuições de 21 estados do Brasil. O objetivo foi de compreender a jornada das pessoas com Hemofilia B de diferentes locais e regiões do país, do diagnóstico até o acesso ao tratamento, considerando sua rotina de cuidados e qualidade de vida para o exercício da cidadania. **Material e métodos:** Foi aplicado um formulário eletrônico com 58 questões de múltipla escolha, abertas e de ranking. A divulgação do questionário foi realizada por e-mail, aplicativos de mensagens rápidas e nas redes sociais da FBH, mobilizando a participação de pessoas e familiares responsáveis por crianças/adolescentes que convivem com Hemofilia B. As questões são qualitativas para avaliar como está o tratamento da Hemofilia B, quais são os desejos, necessidades e desafios dos pacientes e sua qualidade de vida. Também houve questões sobre a relação com a FBH no acesso aos materiais impressos e conteúdos produzidos nos canais de comunicação oficiais. O perfil avaliado foi de crianças, adolescentes e adultos com Hemofilia B, incluindo pacientes com inibidor. Os dados são anonimizados e estão de acordo com a Lei Geral de Proteção de Dados do Brasil. **Resultados:** A pesquisa recebeu 95 contribuições, sendo 45 respostas de adultos com Hemofilia B e 50 de crianças/adolescentes, respondidas por seus familiares responsáveis. O grau de Hemofilia dos respondentes: adultos são 47% grave, 31% moderado e 22% leve, de crianças/adolescentes são 74% grave, 22% moderado e 4% leve. Dos 95 respondentes, 16% desenvolveu inibidor, sendo 12% crianças/adolescentes e 4% adultos. A pesquisa apontou que o diagnóstico para Hemofilia melhorou ao longo dos anos, pois 86% das crianças/adolescentes receberam o diagnóstico nos primeiros 12 meses de vidas, enquanto apenas 47% dos adultos receberam o diagnóstico antes do 1º ano de vida. A profilaxia é realizada por 69 respondentes e 75 participantes têm como maior desejo a diminuição do número de infusões no seu tratamento, sendo a maior dificuldade o modo de aplicação da medicação, seguido da frequência de infusões semanais e a dificuldade de deslocamento até o hemocentro. A adesão a profilaxia melhora a qualidade de vida dos participantes, visto que a maioria apontou que não tem dificuldades para realizar as tarefas do dia-a-dia, atividades físicas moderadas ou leves e também não tem dificuldades em atividades que envolvam sua educação e formação. A relação da FBH e dos participantes da pesquisa é de excelência, 98% reconhece o trabalho da FBH, 75% dos respondentes acompanham o site institucional, Página do Facebook e Instagram da FBH. Grande parte deles retiram os materiais educativos da FBH no Hemocentros dos seus estados. **Discussão:** As contribuições na pesquisa auxiliaram no entendimento das principais necessidades da jornada das pessoas com Hemofilia B com dados de vida real, que coadunam com as ações da FBH na garantia do tratamento e avanços para a inclusão de novas terapias. **Conclusões:** A pesquisa obteve respostas que apontam para as demandas a serem trabalhadas em ações de advocacy da FBH, bem como de entender a jornada do paciente e desenvolver ações e materiais educativos para trazer avanços para quem convive com Hemofilia B no Brasil.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.955>

COMPARISON OF FVIII AND CONCIZUMAB IN THROMBIN GENERATION ASSAYS UNDER DIFFERENT CONDITIONS

J Lund^a, M Kjalke^a, GG Fabbro^b, MGA Okuma^b

^a Novo Nordisk A/S, Måløv, Denmark

^b Novo Nordisk Farmacêutica do Brasil Ltda, São Paulo, SP, Brazil

Background: Concizumab is an anti-Tissue Factor Pathway Inhibitor (TFPI) monoclonal antibody in development as a once-daily subcutaneous prophylaxis for bleeding episodes in patients with hemophilia A or B with or without inhibitors. Understanding how the activity of novel, non-factor therapies compare to traditional Factor (F) VIII/FIX replacement therapies is of interest to physicians but remains complex. Thrombin Generation Assays (TGAs) can measure the in vitro activity of FVIII/FIX as well as non-factor products. **Aims:** To compare the activity of concizumab to FVIII using TGAs initiated with combinations of Tissue Factor (TF) and activated Factor XI (FXIa). **Methods:** TGAs (Thrombinoscope) were performed using hemophilia A plasma (George King Bio-Medical) and triggered with 1 pM TF (Thrombinoscope), with or without FXIa (Enzyme Research Laboratories) at 0.1, 0.5, 1.0 and 8.0 mU/mL. Under these conditions, FVIII (NovoEight, Novo Nordisk; 0.03–2.0 IU/mL) was compared with 4,000 ng/mL concizumab. **Results:** The activity of FVIII increased with increasing FXIa concentrations, whereas the activity of concizumab was consistent under all conditions tested, independent of FXIa concentration. Consequently, the level of FVIII similar in activity to 4,000 ng/mL concizumab decreased as the FXIa concentration increased. In the absence of supplemented FXIa, the thrombin peak with 4,000 ng/mL concizumab corresponded to 0.9 IU/mL FVIII, and the Endogenous Thrombin Potential (ETP) to 1.3 IU/mL FVIII. In the presence of lower FXIa concentrations (0.1 and 0.5 mU/mL), the thrombin peak with concizumab corresponded to 0.25 and 0.08 IU/mL FVIII, respectively, and the ETP to 0.47 and 0.18 IU/mL FVIII, respectively. When FXIa was further increased, the activity of concizumab was < 0.05 IU/mL FVIII. **Conclusion:** The relative activity of FVIII and concizumab is highly sensitive to the exact TGA conditions used. Comparing activity of concizumab with that of FVIII in TGA assays can therefore be misleading if translated into potential clinical efficacy.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.956>

TREATMENT SATISFACTION AND JOINT HEALTH OUTCOMES WITHIN A REAL-WORLD HAEMOPHILIA B POPULATION: THE ADELPHI DISEASE SPECIFIC PROGRAMMESURVEY

V Jiménez-ZYuste^a, C Percier^b, T Porstmann^b, N Ball^c, G Castaman^d, GG Fabbro^e, MGA Okuma^e

^a Hospital Universitario La Paz-IdiPaz; Servicio de Hematología, Autonoma University, Madrid, Spain

^b Novo Nordisk, Zürich, Switzerland

^c Adelphi Real World, Bollington, United Kingdom