

do emicizumabe. Finalmente, avaliamos a presença de anticorpos anti-emicizumabe e eventos trombóticos. **Resultados:** Foram incluídas 3 PcHAi do sexo masculino que falharam a IT e possuíam inibidor de alta resposta. As idades ao início do emicizumabe eram 8, 9 e 42 anos e todos estavam recebendo agentes de bypass. As taxas anuais de sangramento antes do início do emicizumabe variaram de 1 a 3 sangramentos por ano (2 sangramentos espontâneos e 5 sangramentos pós-traumáticos). Apenas 1 PcHAi apresentou zero sangramento espontâneo. Todas as PcHAi receberam um ataque de emicizumabe de 3 mg/kg por semana por 4 semanas, seguido de manutenção de 3 mg/kg a cada duas semanas. No momento da escrita deste resumo, o tempo de uso de emicizumabe variou entre 365 e 556 dias. Ao longo do primeiro ano de uso do emicizumabe, as taxas anuais de sangramento variaram de 0 a 1 sangramento por ano (0 sangramento espontâneo e 2 sangramentos pós-traumáticos). Todas as PcHAi tiveram zero sangramento espontâneo. Todos os sangramentos foram tratados com fator VII recombinante ativado. Não houve suspeita de desenvolvimento de anticorpo anti-emicizumabe ou de eventos trombóticos durante o período de avaliação. **Conclusão:** A profilaxia com emicizumabe se mostrou efetiva e segura devido ao seu efeito hemostático sustentado com a redução da taxa anual de sangramento.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2023.09.850>

MELHORA DA SAÚDE MÚSCULO-ESQUELÉTICA DE UMA CRIANÇA COM HEMOFILIA A GRAVE E INIBIDOR APÓS INÍCIO DO EMICIZUMABE: RELATO DE CASO

G Genovez ^a, RM Camelo ^b, J Alvares-Teodoro ^b, CO Kurimori ^a, A Beretta ^a, RR Iop ^a, JSS Ferreira-Filho ^a

^a Centro de Hematologia e Hemoterapia de Santa Catarina (HEMOSC), Florianópolis, SC, Brasil

^b Faculdade de Farmácia, Universidade Federal de Minas Gerais (UFMG), Belo Horizonte, MG, Brasil

Introdução: Hemofilia A é uma doença hemorrágica rara caracterizada por sangramentos intra-articulares espontâneos, devido à deficiência do fator VIII da coagulação. O sangue intra-articular provoca uma reação inflamatória capaz de causar alterações na cartilagem, no osso subcondral e na sinóvia. O uso de fator VIII para tratar (sob demanda) ou evitar (profilaxia) sangramentos pode causar o desenvolvimento de anticorpos neutralizantes anti-fator VIII, o que impede o seu efeito hemostático. Em consequência, pessoas com hemofilia A e inibidor têm sangramentos em maior frequência e com maior gravidade do que as pessoas com hemofilia A sem inibidor. A terapia com emicizumabe, um anticorpo monoclonal biespecífico que mimetiza o fator VIII sem interferência do inibidor, tem mostrado uma redução importante dos sangramentos espontâneos, principalmente intra-articulares. No entanto, pouco tem sido descrito sobre os efeitos da profilaxia com emicizumabe sobre a saúde músculo-esquelética em pessoas com hemofilia A e inibidor. **Objetivo:** Descrever o impacto da profilaxia com emicizumabe sobre a saúde

músculo-esquelética, em uma pessoa com hemofilia A e inibidor. **Metodologia:** Revisamos o prontuário em busca de informações sobre a saúde músculo-esquelética em uma criança com hemofilia A e inibidor em profilaxia com emicizumabe. Comparamos os resultados com as avaliações realizadas antes do início do emicizumabe. Utilizamos o Escore de Saúde Articular na Hemofilia (HJHS) e a goniometria (amplitude de movimento). **Resultados:** Avaliamos uma criança (masculino) com diagnóstico de hemofilia A grave aos 11 meses. Iniciou-se profilaxia primária com fator VIII recombinante. No entanto, desenvolveu inibidor de alta resposta com 13,5 meses. Imunotolerância foi iniciada com 2 anos e durou 3,5 anos com falha. Depois da imunotolerância, manteve-se profilaxia primária com complexo protrombínico parcialmente ativado. Iniciou-se emicizumabe aos 8 anos de idade com uma dose de ataque de 3 mg/kg/semana, ao longo de 4 semanas, seguida de manutenção de 3 mg/kg a cada 2 semanas. Na data deste resumo, ele recebe emicizumabe há 1,5 ano. Antes do início da profilaxia com emicizumabe, a criança tinha uma articulação alvo (joelho direito). Nesse momento, o HJHS para o joelho direito foi 10. A goniometria mostrou uma amplitude de movimento de 125° (flexão) e 25° (extensão). Após 1,5 ano de profilaxia com emicizumabe, o HJHS para o joelho direito foi 4. Uma nova goniometria mostrou uma amplitude de movimento de 140° (flexão) e -8° (extensão). A marcha global não foi avaliada. A avaliação do joelho direito realizada por ultrassom (HEAD-US) mostrou afilamento condral na faceta lateral da tróclea, acometendo menos de 25% da superfície (1 ponto). Osso subcondral e sinóvia se encontravam normais. **Conclusão:** No caso que descrevemos, houve uma melhora da saúde músculo-esquelética após o início da profilaxia com emicizumabe.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2023.09.851>

A USABILITY STUDY ASSESSING HANDLING AND PREFERENCE OF THE CONCIZUMAB PEN-INJECTOR IN PATIENTS WITH HAEMOPHILIA AND CAREGIVERS

NK Rasmussen ^a, B Berg ^a, JS Neergaard ^a, S Shah ^b, G Ter-Borch ^a, T Sparre ^a, GG Fabbron ^c

^a Novo Nordisk A/S, Søborg, Denmark

^b Novo Nordisk Inc., Plainsboro, United States

^c Novo Nordisk Brasil, São Paulo, Brazil

Introduction: Concizumab is a once-daily prophylactic treatment in development for haemophilia A or B with or without inhibitors, and it is potentially the first treatment for haemophilia patients to be delivered subcutaneously using a pre-filled, multi-dose pen-injector with a 4 mm, 32 G needle. **Aims:** To assess handling of the concizumab pen-injector and to assess the patient and caregiver preference of the concizumab pen-injector compared with current injection systems used to administer treatment for haemophilia. **Methods:** Adult and adolescent patients with haemophilia A or B with or without inhibitors and caregivers currently administering factor replacement or factor VIII (FVIII) mimetic therapy were included. After being trained, participants independently