

131

TWELVE MONTHS OF EMICIZUMAB PROPHYLAXIS IN A SEVERE HAEMOPHILIA A MAN WITH INHIBITOR WHO FAILED IMMUNE TOLERANCE INDUCTIONS: EFFECTIVENESS, ECONOMIC OUTCOME, AND SAFETY

R.M. Camelo^a, T.C. Medeiros^b, D.G.B. Albuquerque^b, N. Dantas-Silva^c, J. Álvares-Teodoro^d

^a Faculdade de Medicina, Universidade Federal de Minas Gerais (UFMG), Belo Horizonte, MG, Brazil

^b Centro de Hematologia e Hemoterapia do Rio Grande do Norte (HEMONORTE), Natal, RN, Brazil

^c Fundação Centro de Hematologia e Hemoterapia do Estado de Minas Gerais (Hemominas), Belo Horizonte, MG, Brazil

^d Faculdade de Farmácia, Universidade Federal de Minas Gerais (UFMG), Belo Horizonte, MG, Brazil

Emicizumab (MC-Ab) is a humanized bispecific antibody which binds to factors IX-activated and X, speeding up the activation of factor X. It solved some unmet needs in hemophilia A (HA) treatment, such as regimen (once weekly up to once monthly infusion) and route of administration (subcutaneous). Although it is an effective non-replacement alternative in the prophylaxis of people with HA and inhibitor (PwHAI), its safety has not been clarified yet. Since 2018, it has been approved for prophylaxis of children and adults with HA in Brazil, despite inhibitor status. In 2019, the Brazilian Ministry of Health started the process to incorporate it in the national protocol of PwHAI who failed immune tolerance induction (ITI). Herein we report the first PwHAI included in the "Brazilian registry of persons with hemophilia A receiving emicizumab" (Emicizumab Cases, EMCASE Project). The patient is a 28-years-old white man who was diagnosed as severe HA (factor VIII [FVIII] activity 0.9%) when he was born. He had been treated exclusively on demand (only during bleeding episodes), even after developing a high response inhibitor at the age of 20 years. Three years later, immune tolerance induction (ITI) was prescribed for 32 months. He received plasma-derived FVIII 50 IU/kg 3x/week. Treatment was not increased due to a difficult peripheral venous access and a central line was not implanted due to social barriers about caring of the device. Bypassing agent prophylaxis was prescribed during ITI; however, he had bleeding 11 episodes requiring treatment (annualized bleeding rate [ABR] 4.1 episodes/y). ITI failure was reported on Feb/27/2018, and prophylaxis with activated recombinant factor VII (rFVIIa) 250 kIU 3x/week was maintained. Between Feb/27/2018 and Jul/24/2019 (pre-MC-Ab period), the ABR was 2.1 episodes/y. Mean consumption of intravenous rFVIIa was $2,771 \pm 772$ kIU/month. After withholding rFVIIa prophylaxis, MC-Ab attack was administered at 3.0 mg/kg once weekly for 4 weeks, starting on Jul/25/2020. He kept MC-Ab 1.5 mg/kg. Mean consumption of subcutaneous Mc-Ab from Jul/25/2019 to Jul/24/2020 (MC-Ab period) was 366.92 ± 93.40 mg/month, with no bleeding episode requiring factor concentrate infu-



sion. The mean monthly cost of the treatment reduced from US\$ 34,590.00 $\pm$ 8,903.00/month (US\$ 11.53/kIU, in 2018), in the pre-MC-Ab period, to US\$ 27,446.00 $\pm$ 7,120.62/month (US\$ 76.25/mg, in 2020), during the MC-Ab period. Currently, he self-infuses MC-Ab at home. He did not report any puncture site event. No thrombotic event has been reported. Prophylaxis with MC-Ab for PwHA with inhibitor who failed ITI was safe and effective. The annualized direct costs reduced about 20% switching from prophylaxis with rFVIIa to MC-Ab.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2020.10.132>

HEMOSTASIA E PAREDE VASCULAR: DOENÇAS DE PLAQUETAS

132

CORRELAÇÃO ENTRE PÚRPURA TROMBOCITOPÊNICA IDIOPÁTICA E A BACTÉRIA *HELICOBACTER PYLORI*

E.S. Trindade^a, W.J.S. Souza^a, G.H. Sinhorin^a, A.D.S. Avakian^a, F.S. Sperandio^a, A.S. Porto^a, N.S. França^a, R.N. Machado^a, S.S.L. Félix^b, A.F. Brilhante^a

^a Universidade Federal do Acre (UFAC), Rio Branco, AC, Brasil

^b Centro Universitário do Norte (Uninorte), Manaus, AM, Brasil

Introdução: A Púrpura Trombocitopênica Autoimune (PTI) é um transtorno adquirido causado por autoanticorpos contra antígenos plaquetários, gerando trombocitopenia. Pode ser primária ou secundária em função de outros transtornos associados, como doenças autoimunes, linfoproliferativas ou infecções. Dentre os agentes infecciosos, destaca-se a *Helicobacter pylori*, bactéria gram-negativa espiralada que coloniza a mucosa gástrica e é considerada de alto risco para o desenvolvimento de doenças gastrointestinais como úlcera péptica, duodenal e câncer gástrico e também pode estar relacionada a manifestações extragástricas como distúrbios cardiovasculares, neurológicos, metabólicos, hematológicos e doenças de pele. Diversos estudos confirmam a associação entre PTI e *H. pylori* e destacam o benefício da erradicação da bactéria para o aumento da contagem plaquetária. **Objetivo:** Estabelecer a correlação entre a bactéria *H. pylori* e a apresentação da PTI através de dados disponíveis na literatura científica. **Metodologia:** Foi realizada uma revisão simples de literatura nas bases de dados PubMed e Scielo, entre 2015 e 2020, utilizando os descritores: Púrpura; Idiopática; *Helicobacter pylori*. **Resultados e discussão:** A busca nas bases de dados resultou em 21 artigos, dos quais 8 foram selecionados. Estudos demonstraram que, após a erradicação da *H. pylori*, os níveis plaquetários elevam-se em parte dos pacientes portadores de PTI, provocando melhora ou até mesmo a remissão do quadro. Assim, reforça-se a importância da triagem de *H. pylori* no acompanhamento de pacientes com PTI. A explicação para essa associação não é completamente conhecida até o momento, incluindo mecanismos como o mimetismo molecular e modulação da função de monócitos/macrófagos. Os autores concluem que os custos para a triagem compensam os gastos com o tratamento convencional da PTI. Os

