

In the primary analysis, concizumab PPX reduced the annualised bleeding rate for patients with HAwI/HBwI. Subcutaneous (SC) administration of concizumab may contribute to a lower treatment burden compared to intravenous factor replacement therapy. Here, we present data from exploratory on patient-reported treatment burden and patient preference. **Methods:** A total of 133 patients aged ≥ 12 years were either randomised 2:1 to concizumab PPX (arm 2; $n = 33$) or no PPX (arm 1; $n = 19$) or assigned to non-randomised concizumab PPX (arms 3 or 4; $n = 81$). Patients could complete the Hemophilia Treatment Experience Measure (Hemo-TEM) questionnaire at baseline (Week 0) and Week 24 and the Haemophilia Patient Preference Questionnaire (H-PPQ) at Week 24. Analysis of covariance was applied to estimate mean change in Hemo-TEM domain and total scores from baseline to Week 24. The H-PPQ results were analysed descriptively. **Results:** The Hemo-TEM total score improved with concizumab PPX ($n = 19$) from baseline to Week 24 (mean estimate -17.0 points [95% CI: -23.7; -10.3]), but not in patients with no PPX ($n = 6$, mean estimate 3.0 points [95% CI: -9.4; 15.3]). The estimated treatment difference in Hemo-TEM total score between both arms was statistically significant (-19.9 points [95% CI: -34.3; -5.6]; $p = 0.009$). Significant improvements in arm 2 were observed in the domains “injection difficulties”, “interference”, and “emotional impact”. In the H-PPQ questionnaire, 77/99 patients (78%) preferred concizumab over their previous treatment, while only one patient (1%) preferred their previous treatment (16 patients did not respond, and 5 patients had no preference). Of all responding patients, 93% preferred concizumab with the 3 main reasons being “fewer bleeds”(75%), “require less time”(43%), and “less painful to inject”(33%). **Discussion/Conclusion:** A lower treatment burden was observed for daily concizumab PPX with better Hemo-TEM domain and total scores. Lower treatment burden due to SC administration combined with reduced bleeding (especially in HBwI) resulted in a clear patient preference in favour of concizumab over their previous treatment.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2023.09.854>

TAXAS ANUALIZADAS DE SANGRAMENTO DURANTE O PRIMEIRO ANO DE PROFILAXIA COM EMICIZUMABE: RESULTADOS PRELIMINARES DO REGISTRO NACIONAL DE EMICIZUMABE (PROJETO EMCASE)

LCM Henriques, RM Camelo, J Alvares-Teodoro

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

Introdução: O emicizumabe é um anticorpo biespecífico recomendado para profilaxia contra eventos hemorrágicos em pessoas com hemofilia A sem (PcHA) ou com inibidores (PcHAi). O Estudo EMCASE é um registro de PcHA/PcHAi em profilaxia com emicizumabe no Brasil. **Objetivos:** Avaliar as taxas anualizadas dos sangramentos (TAS) tratados um ano

antes e durante o primeiro ano de profilaxia com emicizumabe. **Metodologia:** PcHA/PcHAi em profilaxia com emicizumabe foram convidadas em cada Centro de Tratamento de Hemofilia (CTH) participante. Dados clínicos do tratamento anterior (12 meses) e durante (12 meses) a profilaxia com emicizumabe foram coletados. Os sangramentos foram classificados em espontâneos (traumatismo não determinado), pós-traumáticos e causa desconhecida, e contabilizados apenas se receberam algum tratamento para hemostasia. A TAS total correspondeu ao somatório dos sangramentos tratados ao longo do tempo, transformando-se para um período de 365,25 dias (anualização). **Resultados:** Um total de 45 PcHA ($n = 8$) e PcHAi ($n = 37$) registradas em 11 CTH tinham pelo menos 1 ano de profilaxia com emicizumabe. Desse total, 31/40 (77%) tinham hemofilia A grave. Imunotolerância foi realizada em 32/45 (71%), sendo 1 caso de sucesso. Antes de iniciar o emicizumabe, 35/44 (80%) PcHA/PcHAi estavam em profilaxia, 9/44 (20%) recebiam exclusivamente tratamento episódico (todas PcHAi) e 37/45 (82%) recebiam agentes de bypass. A idade mediana no início do emicizumabe foi 10 anos (intervalo 1-71). Apenas 1 PcHA/PcHAi não recebeu ataque de emicizumabe, enquanto o restante recebeu 3 mg/kg/semana, ao longo de 4 semanas. O esquema de manutenção mais prescrito foi 1,5 mg/kg/semana (40/43; 93%). A duração mediana da profilaxia com emicizumabe foi 1,8 ano (intervalo 1,1-3,5). Para PcHA, o número total de eventos hemorrágicos tratados reduziu de 26 (12 pós-traumáticos) para 1 (1 pós-traumático), a mediana (amplitude) da TAS-total reduziu de 2 (0-11) para 0 (0-1) e o número de PcHA com zero sangramento aumentou de 2/8 (25%) para 7/8 (88%). Entre todas as PcHAi, o número total de eventos hemorrágicos tratados reduziu de 154 (65 pós-traumáticos) para 12 (8 pós-traumáticos), a mediana (amplitude) da TAS-total reduziu de 3 (0-16) para 0 (0-2) e o número de PcHAi com zero sangramento aumentou de 8/37 (22%) para 28/37 (76%). Entre PcHAi em profilaxia, o número total de eventos hemorrágicos tratados reduziu de 82 (39 pós-traumáticos) para 6 (5 pós-traumáticos), a mediana (amplitude) da TAS-total reduziu de 3 (0-16) para 0 (0-2) e o número de PcHAi com zero sangramento aumentou de 8/28 (29%) para 23/28 (82%). Não foram relatados eventos adversos. **Conclusão:** TAS-total foi reduzida durante a profilaxia com emicizumabe, em comparação com a profilaxia anterior com PcHA e com o tratamento anterior em PcHAi. **Demais autores:** Tatyane Oliveira Rebouças e Luany Elvira Mesquita Carvalho (HEMOCE); Sandra Sibebe de Figueiredo e Edilma Silva Casaretto (HEMOÍBA); Melissa Palis Santana (HEMOPI); Clarissa Barros Ferreira e Adriana Celia Luz (HEMORGS); Elaine Posener (HEMOSE); Francine Campoy e José Sávio Santos Ferreira Filho (HEMOSC); Paula Cella Giacometto (HEMEPAR, UEM); Ana Maria Vanderlei, Íris Maciel Costa, Neuza Cavalcanti de Moraes Costa e Tânia Maria Rocha Guimarães (HEMOPE); Fátima Amaral Souto (HEMOBA); Carolina Freire da Gama Costa (Clínica Humaninhos); Alexandra Vilela Gonçalves (HEMOGO); Rafael Lucas de Assis Ferreira e Melina Belintani Swain (FHB).

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2023.09.855>