

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

^d Center for Bleeding Disorders and Coagulation, Careggi University Hospital, Florence, Italy

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

Background: While haemophilia care continues to improve, People with Haemophilia B (PwHB) may still experience disease and treatment burden. Aims: To describe physician-reported treatment satisfaction and joint health outcomes in a real-world population of PwHB. **Methods:** The Adelphi Real World haemophilia Disease Specific Programme™ is a retrospective, cross-sectional survey gathering data on treatment satisfaction and joint health via physician-completed patient record forms. Data were obtained from France, Germany, India, Italy, Japan, Spain, the UK and USA. Physician inclusion criteria were: (1) Haematology or haematology-oncology specialist; (2) treats ≥ 5 patients with haemophilia A/B per month. PwHB inclusion criteria were: (1) males with moderate-to-severe HB; (2) Receiving Extended Half-Life (EHL) or Standard Half-Life (SHL) therapy prophylactically. **Results:** In this interim analysis, 85 physicians provided data on 232 PwHB receiving prophylaxis with EHL ($n = 199$ [86%]) or SHL therapy ($n = 33$ [14%]). Demographics were similar between the two treatment groups, although a greater proportion of people with severe HB received EHL therapy. Physicians reported that 84% of PwHB receiving EHL and 73% receiving SHL therapy were fully compliant (received $> 80\%$ of prescribed dose). Physicians were not completely satisfied with the current treatment for 57% of patients receiving EHL and 70% receiving SHL therapy, for reasons including treatment schedules and lack of effectiveness for specific bleed types. Physicians reported 42% ($n = 83/199$) of PwHB receiving EHL and 36% ($n = 12/33$) receiving SHL therapy had joint problems due to haemophilia. In the overall PwHB group, physicians reported that 28% ($n = 64$) had problems in ≥ 1 target joint and 36% ($n = 83$) had joint pain. **Conclusion:** Although physicians reported good adherence to therapy among PwHB, most were not completely satisfied with treatment outcomes, and reported joint problems for more than one-third of PwHB. With this evaluation revealing scope for improvement, future analysis will provide detail regarding treatment satisfaction from the patients' perspective.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.957>

HEMOFILIA A ADQUIRIDA EM PACIENTE IDOSO: UM RELATO DE CASO

MS Carvalho, HCS Júnior, BE Alves

Universidade Federal do Piauí (UFPI), Teresina, PI, Brasil

Introdução: A Hemofilia A adquirida é uma desordem hemorrágica autoimune mediada por autoanticorpos contra o fator VIII da coagulação, que acomete predominantemente idosos e mulheres no pós-parto, com incidência de cerca de 1,5 indivíduos por milhão. Por ser uma doença rara potencialmente fatal e pouco conhecida pelos clínicos, é muito subdiagnosticada, levando a uma taxa de

mortalidade entre 15%–42%, o que demonstra a importância de se relatar esse caso. **Relato:** Paciente masculino, 83 anos, branco, hipertenso, apresentava equimoses extensas e hematomas subcutâneos, espontâneos, sem história pessoal ou familiar de doenças hemorrágicas. O exame físico revelava palidez cutâneo mucosa, grandes equimoses em membros, dorso e abdômen, além de hematoma subcutâneo em região cervical. O hemograma evidenciava anemia, acompanhada de contagem de leucócitos e plaquetas normais. O Tempo de Tromboplastina Parcial ativada (TTPa) mostrava-se acentuadamente prolongado de 90,4s e não corrigia com o teste da mistura. A dosagem de fator VIII foi de 0,4% e do título de inibidor do fator VIII de 104 unidades Bethesda, resultados consistentes com o diagnóstico de Hemofilia A adquirida. Como o paciente se encontrava sem sangramento ativo, não necessitou de agente de by-pass, sendo iniciada prednisona (1 g/Kg/dia) associada a ciclofosfamida (1 mg/Kg/dia). Após 7 semanas de tratamento, o nível de fator VIII aumentou para 249%, com pesquisa de inibidor negativa, e o paciente não apresentou novos sangramentos. **Discussão:** O diagnóstico rápido da Hemofilia A adquirida é de fundamental importância, já que reduz significativamente sua morbimortalidade. Os testes de coagulação, que devem ser solicitados nesse cenário, geralmente mostram um TTPa prolongado, com TAP normal e, a confirmação do diagnóstico, requer a realização de exames especializados que incluem o teste da mistura, a dosagem do fator VIII, da atividade do fator de von Willebrand e a detecção e dosagem do título do inibidor. Todos os pacientes diagnosticados com a doença necessitam de tratamento independentemente da presença de sangramento ativo no momento do diagnóstico. A terapia inclui a erradicação do autoanticorpo inibidor do fator VIII através de terapia imunossupressora, com a utilização de medicamentos como corticosteroides, ciclofosfamida e rituximabe; o tratamento da doença subjacente, se presente e o controle e a prevenção de sangramentos, através da administração de agentes de by-pass, como o fator VII ativado e o complexo protrombínico parcialmente ativado. **Conclusão:** Diante do exposto, o reconhecimento precoce da Hemofilia A adquirida é fundamental, permitindo o tratamento adequado e a redução do risco de sangramentos espontâneos e fatais.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.958>

FOLDER EDUCATIVO COM ORIENTAÇÕES PARA O CUIDADO DE GESTANTES COM HEMOFILIA E SEUS BEBÊS DURANTE O PARTO

GALD Santos, MDPSV Orletti, JSM Duarte, DMDRC Rocha, BA Calatrone, AEMQ Liparizi, A Rocha-Neto, EDSSD Anjos, BM Prucoli, ANL Prezotti

Centro Estadual de Hemoterapia e Hematologia Marcos Daniel Santos (HEMOES), Vitória, ES, Brasil

Objetivos: Elaborar um folder educativo com orientações sobre os cuidados durante o parto para mães portadoras ou