

ID – 1412

HEMOFILIA A E B: AVANÇOS NA TERAPIA SUBSTITUTIVA E TERAPIAS NÃO SUBSTITUTIVAS

VV Furtado, BVV Gomes, ELG Reis, SR Antunes, DCA Feio

Centro Universitário da Amazônia (UNIFAMAZ), Belém, PA, Brasil

Introdução: A hemofilia A e B são distúrbios hereditários da coagulação, causados pela deficiência dos fatores VIII e IX, respectivamente, que levam a episódios recorrentes de sangramento, principalmente em articulações e músculos, com risco de sequelas. O tratamento baseia-se na reposição intravenosa do fator deficiente, derivado de plasma e, por produtos recombinantes, eficazes no controle, mas limitados pela necessidade de infusões frequentes, desenvolvimento de anticorpos neutralizantes e altos custos. Recentemente, inovações como fatores recombinantes de meia-vida estendida, terapias subcutâneas (como o emicizumabe para hemofilia A) e terapias gênicas trouxeram avanços significativos, possibilitando tratamentos mais personalizados, menos invasivos e com melhora da qualidade de vida para os pacientes. **Objetivos:** Analisar os avanços recentes no tratamento da hemofilia A e B, comparando terapias substitutivas (fatores recombinantes e de meia-vida estendida) e não substitutivas (emicizumabe e terapias gênicas), com foco em eficácia, segurança, conveniência e impacto na qualidade de vida. **Material e métodos:** Realizou-se uma revisão narrativa da literatura entre 2019 a 2025, utilizando as bases PubMed, ScienceDirect, SciELO e Google acadêmico, além de documentos das sociedades científicas (ASPH, ISTH, ABRAPHEM). Foram utilizados os descritores: “hemofilia A/B”, “fator recombinante”, “terapia gênica”, “emicizumabe”, “produtos de meia-vida estendida” e “qualidade de vida”. Incluíram-se ensaios clínicos, revisões, diretrizes e artigos originais em português, inglês e espanhol. **Discussão e Conclusão:** Os tratamentos tradicionais para hemofilia A e B baseiam-se na reposição dos fatores VIII e IX, com avanços importantes nos produtos recombinantes de meia-vida estendida que reduzem a frequência de infusões e melhoram a adesão. Entretanto, a presença de inibidores ao fator VIII em até 30% dos pacientes com hemofilia A grave ainda representa um desafio. Entre as novas abordagens, o emicizumabe, anticorpo monoclonal administrado por via subcutânea, demonstrou alta eficácia na redução das hemorragias, mesmo em pacientes com presença de inibidores, maior praticidade pela administração subcutânea, melhorando a qualidade de vida. Já o fitusiran e concizumabe estão em desenvolvimento, prometem regimes ainda mais acessíveis, caracterizados por administrações subcutâneas menos invasivas. A terapia gênica, atualmente aprovada para hemofilia B e em testes avançados para hemofilia A, permite a expressão endógena do fator deficiente, reduzindo ou eliminando a necessidade de reposição periódica, embora apresente desafios como variabilidade na duração da resposta e barreiras imunológicas. Em geral, essas inovações têm mostrado perfis de segurança favoráveis e proporcionado significativa melhora na qualidade de vida dos

pacientes, configurando um cenário promissor para a individualização do tratamento da hemofilia. O tratamento da hemofilia avançou significativamente nos últimos anos, com os fatores recombinantes, produtos de meia-vida estendida, emicizumabe e a terapia gênica proporcionando maior segurança, eficácia e conveniência. Assim, a personalização do manejo, e o acesso às terapias, é essencial. No futuro, espera-se o desenvolvimento de tratamentos ainda mais duradouros, seguros e acessíveis, focados na melhora da qualidade de vida e na redução dos custos, com monitoramento contínuo para garantir benefícios a população afetada.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104943>

ID – 2373

HEMOFILIA A E INIBIDOR: AVALIAÇÃO DA IMPLANTAÇÃO DA PROFILAXIA COM EMICIZUMABE EM UM CENTRO TRATADOR DE HEMOFILIA DO NORDESTE

ACCS Ramos, AM Vanderlei, AMMdS Ferreira, DF dos Santos, IM Costa, LVdC Oliveira, TMF Bueno

Fundação de Hematologia e Hemoterapia de Pernambuco (HEMOPE), Recife, PE, Brasil

Introdução: Hemofilia A é uma doença congênita ligada ao cromossomo X, caracterizada pela deficiência ou disfunção do Fator VIII de coagulação (FVIII), essencial para a hemostasia. Tradicionalmente, a profilaxia baseia-se na infusão regular de FVIII. Contudo, pacientes podem desenvolver inibidores anti-FVIII, tornando a terapia ineficaz. O advento do Emicizumabe, um anticorpo monoclonal humanizado, transformou esse cenário, especialmente em regiões com recursos limitados. **Objetivos:** Este estudo teve como objetivo avaliar a implantação da profilaxia com Emicizumabe em um Centro Tratador de Hemofilia (CTH) no Nordeste do Brasil. **Material e métodos:** Trata-se de um estudo de caso descritivo, com abordagem quanti-qualitativa e elementos da pesquisa avaliativa, utilizando um questionário online baseado no Modelo Sistêmico de Donabedian, que avalia qualidade em saúde através das dimensões estrutura, processo e resultado. A amostra incluiu seis profissionais da equipe multidisciplinar (médicos, enfermeiros, biomédico e farmacêutico) do CTH avaliado. **Resultados:** Na dimensão estrutura, 57,1% dos profissionais relataram adequação física, de insumos e de recursos humanos. Entre os pontos críticos, 42,9 % dos profissionais destacaram a demora na entrega de reagentes para dosagem de inibidores por ensaio cromogênico e a falta de pessoal. Quanto à capacitação, 85,7% dos profissionais relataram que tiveram com o apoio da indústria farmacêutica que foi essencial. Mudanças nos fluxos de atendimento e dispensação de medicamentos foram consideradas positivas por 83,3% dos profissionais. Na dimensão processo, os principais desafios foram a logística de doses individualizadas, a necessidade de educação terapêutica personalizada e o déficit cognitivo de alguns pacientes e cuidadores, dificultando a adaptação ao novo tratamento. Entre os facilitadores citados,