

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: Hemoftilia 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,

destacaram-se a via de administração subcutânea, a menor frequência de aplicação e a expressiva redução de sangramentos. Na dimensão resultados, observou-se uma melhora significativa na adesão ao tratamento e na satisfação dos pacientes. A equipe avaliou a intervenção como sustentável a longo prazo e indicou que os pacientes estão vivendo com mais autonomia e qualidade de vida. Entre as recomendações para novos centros, destacaram-se a importância do planejamento, da capacitação contínua, do conhecimento do protocolo e da individualização do cuidado. **Discussão e Conclusão:** Os achados revelam avanços significativos nos três componentes do modelo de Donabedian com a introdução do Emicizumabe. A estrutura disponível favoreceu a implantação, embora com pontos a melhorar, como a logística laboratorial. Os ajustes de processo demonstraram a capacidade da equipe em superar obstáculos operacionais e promover adesão ao novo regime terapêutico. Os resultados demonstram impactos positivos na saúde dos pacientes, com melhoria da qualidade de vida e maior eficiência assistencial. A implantação da profilaxia com Emicizumabe, sustentada por uma estrutura adequada, protocolos bem definidos e equipe treinada, mostrou-se eficaz na melhoria da adesão ao tratamento, redução de eventos hemorrágicos e aumento da satisfação dos pacientes. Apesar dos desafios enfrentados, os benefícios justificam a expansão da estratégia. Reforça-se a importância do planejamento, da capacitação contínua e do cuidado centrado no paciente para garantir a sustentabilidade da intervenção.

Referências:

Ministério da Saúde, Relatório de Recomendação – Medicamento Emicizumabe, Nº 841, Brasília-DF, agosto 2023.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104944>

ID – 237

HEMOFILIA A SEM INIBIDORES: NOVAS PERSPECTIVAS COM EMICIZUMABE

IL Santos^a, IO Araujo^b, LF Suassuna^b, DOW Rodrigues^c

^a Faculdade de Ciências Médicas e da Saúde de Juiz de Fora, Juiz de Fora, MG, Brasil

^b Universidade Federal de Juiz de Fora (UFJF), Juiz de Fora, MG, Brasil

^c Centro Universitário Presidente Antônio Carlos, Juiz de Fora, MG, Brasil

Introdução: A hemofilia A é uma coagulopatia cromossômica hereditária causada pela deficiência no Fator VIII e caracterizada por episódios recorrentes de sangramentos potencialmente severos. O tratamento tradicional envolve infusões frequentes de concentrados plasmáticos de Fator VIII. O uso crônico dessa terapia pode levar ao desenvolvimento de inibidores além de possuir um impacto negativo na qualidade de vida dos pacientes. O Emicizumabe, anticorpo monoclonal biespecífico administrado por via subcutânea, surge então como uma alternativa terapêutica. **Objetivos:** Avaliar a segurança, eficácia e satisfação dos pacientes com hemofilia A sem inibidores do fator VIII em uso de Emicizumabe.

Material e métodos: Foi realizada uma revisão sistemática da literatura nas bases MEDLINE, SciELO e LILACS. Foram incluídos estudos originais que analisaram o uso de Emicizumabe em pacientes sem inibidores, conforme a metodologia PICO definida. A seleção dos artigos e a extração e análise dos dados seguiram os critérios do protocolo PRISMA. Esta revisão foi registrada sob o número CRD4202452880 na plataforma PROSPERO. **Discussão e Conclusão:** Dentre 471 estudos identificados, 27 preencheram os critérios de inclusão e não preencheram os de exclusão. Observou-se redução significativa na sensação de dor, na taxa anual de sangramentos articulares e na taxa anual de sangramentos. O perfil de segurança foi favorável, com eventos adversos leves predominando como reações no local da aplicação. Além disso, a satisfação dos pacientes foi elevada, com melhoria da adesão e da qualidade de vida relatada. Além disso, a melhoria na satisfação dos pacientes e a redução das aplicações corroboram para a logística e para a atenuação da carga psicológica associada ao tratamento. Emicizumabe é uma alternativa eficaz e segura para pacientes com hemofilia A sem inibidores, contribuindo para a redução de sangramentos e significativo aumento na satisfação com o tratamento. Estudos futuros devem investigar desfechos de longo prazo e subgrupos específicos. Este trabalho não contou com apoio financeiro.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104945>

ID – 1451

HEMOFILIA ADQUIRIDA EM PACIENTE COM MIELOMA MÚLTIPO TRATADO COM SUCESSO COM ANTI-CD38: UM RELATO DE CASO

PPF Machado^a, DA Reckziegel^b, VBD Rodrigues^c, MCC Vasconcelos^b, MB Swain^b, RC Machado^b, LHA Ramos^c, GOO Xavier^b, JVP Neto^a, PDS Tolentino^c

^a Oncoclinicas, Brasília, DF, Brasil

^b Fundação Hemocentro de Brasília (FHB), Brasília, DF, Brasil

^c Hospital de Base do Distrito Federal (HBDF), Brasília, DF, Brasil

Introdução: A hemofilia A adquirida é causada pelo desenvolvimento de inibidor policlonal contra o fator VIII da coagulação, geralmente inibidores do tipo IgG1 e IgG4. O quadro tem frequente associação com doenças auto-imunes, neoplasias malignas, puerpério e drogas. A associação com mieloma múltiplo é rara, e tem relatos de poucos casos na literatura. Este relato objetiva descrever um caso raro de hemofilia por inibidor adquirido do fator VIII associada a mieloma múltiplo, tratado com regime quimioterápico a base de anti-CD38.

Descrição do caso: Paciente do sexo feminino, 59 anos, encaminhada ao serviço de hematologia para investigação de hematúria macroscópica há cerca de 3 meses, com exames de investigação mostrando alargamento de Tempo de Tromboplastina Parcial ativada (TTPa) e pico monoclonal. Antecedente de intolerância a glicose, sem outras comorbidades.