

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,

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 melhora 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<sup>a</sup>, IO Araujo<sup>b</sup>, LF Suassuna<sup>b</sup>, DOW Rodrigues<sup>c</sup>

<sup>a</sup> Faculdade de Ciências Médicas e da Saúde de Juiz de Fora, Juiz de Fora, MG, Brasil

<sup>b</sup> Universidade Federal de Juiz de Fora (UFJF), Juiz de Fora, MG, Brasil

<sup>c</sup> 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 melhora 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 MÚLTIPLO TRATADO COM SUCESSO COM ANTI-CD38: UM RELATO DE CASO

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

<sup>a</sup> Oncoclínicas, Brasília, DF, Brasil

<sup>b</sup> Fundação Hemocentro de Brasília (FHB), Brasília, DF, Brasil

<sup>c</sup> 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 hematuria 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.