

ID – 2338

MUDANÇAS NA VIDA DA CRIANÇA/ADULTO COM HEMOFILIA A EM USO DO EMICIZUMABE: PERCEPÇÃO DO CUIDADOR/PACIENTE

ACCS Ramos, IM Costa, LVdC Oliveira

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

Introdução: Hemofilia A é uma doença hemorrágica hereditária causada pela deficiência do fator VIII (FVIII). O tratamento tradicional envolve reposição endovenosa de FVIII, mas alguns pacientes desenvolvem inibidores, dificultando o manejo e afetando a qualidade de vida. O Emicizumabe, um anticorpo monoclonal que mimetiza o FVIII sem ser neutralizado por inibidores, trouxe uma nova esperança. **Objetivos:** Este estudo busca entender a percepção de cuidadores/pacientes em profilaxia com Emicizumabe em um Centro Tratador de Hemofilia (CTH) do Nordeste. **Material e métodos:** Estudo transversal, quali-quantitativo, com questionário elaborado on-line contendo perguntas abertas e fechadas sobre a experiência com Emicizumabe. Participaram 16 pessoas: 10 cuidadores e 6 pacientes, com idades entre 2 e 39 anos, em diferentes tempos de tratamento. **Resultados:** A maioria (68,75%) eram crianças de 2 a 17 anos, e 31,25% adultos de 24 a 39 anos. Metade (50%) estava em profilaxia de 3 a 6 meses, e os demais em diferentes períodos. Todos relataram redução significativa de episódios hemorrágicos e melhora na qualidade de vida. A aplicação subcutânea foi considerada fácil por 62,5% e muito fácil por 37,5%. Não houve relatos de efeitos adversos. Os benefícios mais citados foram facilidade na administração (100%), menor impacto na rotina (93,8%), menos idas à emergência (87,5%), além da facilidade no armazenamento (81,3%) e no transporte domiciliar (62,5%). Os principais desafios foram a adaptação à via subcutânea (57,1%), a manutenção da regularidade do tratamento para ajustes da dose (37,5%) e a impossibilidade do manejo da dose como faziam com o Concentrado de FVIII (21,4%). Quanto ao preparo, 93,8% acharam fácil, e poucos relataram dúvidas sobre riscos, como trombose. No tocante a opinião dos entrevistados sobre a profilaxia com o Emicizumabe, frases comuns foram: “melhoria na qualidade de vida”, “sem sangramentos” e “viver como uma pessoa normal”. Houve sugestões por doses prontas na seringa e aplicações menos frequentes. **Discussão e Conclusão:** Os dados mostram uma recepção positiva ao medicamento, com redução de sangramentos e facilidade de uso, o que favorece a adesão, demonstrando compatibilidade com estudos analisados. A ausência de efeitos colaterais reforça sua segurança. Os relatos de melhora na rotina e autonomia indicam benefícios além da saúde física. Ainda assim, desafios como adaptação à via subcutânea e a manutenção da regularidade do tratamento para ajustes da dose precisam ser considerados. As sugestões dos participantes apontam para melhorias, como doses prontas na seringa e aplicações menos frequentes, que podem facilitar ainda mais o uso do medicamento. O Emicizumabe é uma terapia eficaz, segura e bem aceita na profilaxia da hemofilia A, promovendo redução de sangramentos e melhora na qualidade de vida. Sua facilidade de uso favorece a adesão, mas é

importante oferecer suporte contínuo para superar desafios e otimizar os resultados.

Referências:

Rebouças TO, Matos AIEL, Carvalho LEM, Marinho AM, Camelo RM, Júnior RM, et al. Características Basais De Pessoas Com Hemofilia A E Inibidor Em Tratamento Profilático Com Emicizumabe Na Hemorrede Do Ceará (HEMOCE), Hematology Transfusion and Cell Therapy. 2022;44 (Supplement 2):S281, ISSN 2531-1379, <https://doi.org/10.1016/j.htct.2022.09.474>.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104955>

ID – 816

NOVAS TERAPIAS PARA A PROFILAXIA EM PESSOAS COM HEMOFILIA B COM INIBIDORES

DK Souza^a, RA Asevedo^a, DM de Souza^a, ML Battazza^b, ITRM Galhardo^b, JD Alvares-Teodoro^c, RM Camelo^a^a Faculdade de Medicina, Universidade Federal de Minas Gerais (UFMG), Belo Horizonte, MG, Brasil^b Associação Brasileira de Pessoas com Hemofilia (ABRAPHEM), São Paulo, SP, Brasil^c Faculdade de Farmácia, Universidade Federal de Minas Gerais (UFMG), Belo Horizonte, MG, Brasil

Introdução: A hemofilia B (HB) é uma coagulopatia rara por deficiência de fator IX (FIX), caracterizada por sangramentos espontâneos ou após traumas leves. Sangramentos articulares são comuns e podem provocar artropatia hemofílica, com dor crônica, síndrome de imobilidade e pior qualidade de vida (QV). O tratamento tradicional da HB consiste na reposição de FIX para tratar (episódico) ou evitar (profilaxia) sangramentos. A profilaxia está relacionada com preservação da saúde articular, melhor QV e menor mortalidade. Contudo, até 5% dos casos desenvolvem anticorpos neutralizantes contra o FIX (inibidores), que ainda podem desencadear reações anafiláticas. Assim, nas pessoas com HB e inibidor (PcHBI), a efetividade do FIX é comprometida, com maior risco de sangramento e suas complicações. O tratamento exige agentes de bypass (ABp), sendo o fator VII ativado recombinante (rFVIIa) a única opção segura, pois o complexo protrombínico parcialmente ativado (CCPa) contém FIX e pode causar anafilaxia. Além disso, a indução de imunotolerância tem baixo sucesso e associa-se a complicações como síndrome nefrótica. Diante dessas limitações, o tratamento das PcHBI permanece restrito. **Objetivos:** O objetivo desta revisão de escopo foi descrever as novas terapias não-fator para PcHBI. **Material e métodos:** Fez-se uma revisão em base de dados da literatura até junho/2025 utilizando os termos “hemofilia B” e “inibidor”. Foram selecionadas publicações que descrevessem o tratamento de PcHBI com produtos pró-coagulantes não-fator. **Discussão e Conclusão:** O concizumabe é um anticorpo monoclonal contra o inibidor da via do fator tissular. O estudo de fase 3 explorer4 mostrou que a administração diária de concizumabe em pessoas com hemofilia A e inibidores (PcHAI)/PcHBI reduz a taxa de sangramento anualizada (TAS), em relação ao tratamento episódico exclusivo. No estudo de