

críticos baseados em evidências disponíveis nas principais bases de dados da literatura médica, alinhados às demandas da ABRAPHEM. A linguagem utilizada é adaptada conforme o público-alvo, abordando temas como conceitos fundamentais sobre hemofilia, opções terapêuticas atuais, novas abordagens em desenvolvimento, avaliação de desfechos clínicos, estratégias de estímulo à adesão ao tratamento e incentivo à prática de comportamentos saudáveis, dentre outros. A publicação dos conteúdos está condicionada à aprovação prévia da ABRAPHEM, que os divulga em suas mídias sociais e acompanha métricas específicas de desempenho em cada plataforma. **Resultados:** Desde maio/2025, foram produzidos quatro materiais educativos, todos divulgados pela ABRAPHEM. Abordaram-se os seguintes temas: suspeita e diagnóstico da hemofilia, cuidado interdisciplinar, urgência e emergência e manejo cirúrgico no contexto da hemofilia. Os materiais foram publicados nas redes sociais LinkedIn e Instagram da ABRAPHEM, além de mala direta. As referências incluíram artigos científicos revisados por pares, documentos oficiais de instituições de saúde e informações publicadas nos sites da ABRAPHEM e da Federação Mundial de Hemofilia. As métricas serão avaliadas a partir do terceiro mês da divulgação. **Discussão e Conclusão:** A divulgação de informações baseadas em evidências nas mídias sociais busca aprimorar o atendimento prestado às PcH fora do contexto dos hemocentros. Dessa forma, espera-se que a iniciativa favoreça a redução de condutas inadequadas, fortaleça a articulação entre os diferentes níveis de atenção e promova mais segurança e equidade no manejo da hemofilia no sistema de saúde.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104964>

ID – 1632

PROPHYLAXIS FOR INHERITED FACTOR X DEFICIENCY: A SYSTEMATIC REVIEW

AF da Costa, VJP Ferreira, RP Souza, RM Camelo

Universidade Federal de Minas Gerais (UFMG), Belo Horizonte MG, Brazil

Introduction: Hereditary Factor X (FX) Deficiency (FXD) leads to bleeds. Therapy is based on treating (episodic) or avoiding (prophylaxis) bleeds with procoagulants. **Objectives:** We aimed to evaluate the efficacy/effectiveness and safety of prophylaxis against bleeds in people with FXD (PwFXD) compared to exclusive episodic treatment or prophylaxis with a different procoagulant. **Material and methods:** We performed a systematic review based on a database-specific strategic search. Two reviewers blindly selected the publications according to the research question. In addition, prophylaxis-referenced citations from all the included publications and from the excluded reviews published since 2014 were evaluated for eligibility. Efficiency was evaluated as bleeding-related outcomes. Quality and risk of bias were assessed using the Joanna Briggs Institute checklists. (CRD42024535021). **Results:** Sixteen publications involving 76 PwFXD on prophylaxis were included, comprising quasi-experimental (3 [19%]/35 PwFXD [46%]), cohort (2 [12%]/21

PwFXD [27%]), and case reports (11 [69%]/20 PwFXD [26%]). Interventional prophylactic procoagulants were prothrombin complex concentrate (9 publications), plasma-derived FX (6 publications), and plasma-derived factor IX (1 publication). Individual annualized bleeding rates (iABR) ranged from 0 to 2.2 (n=13 publications). Thirty PwFXD with zero bleed were reported. Among controls, all 16 publications reported bleeding, with iABR ranging from 2.4 to 136.8 (6 publications). Two PwFXD had zero bleed. Only 2 (18%) case reports met high-quality criteria; no cohort or quasi-experimental study had high-quality. **Discussion and Conclusion:** Most publications and authors formed a connected citation network, indicating collaborative efforts and shared research focus in FXD prophylaxis. Prophylaxis in PwFXD was described as more effective than episodic treatment. However, best designed studies based on well-defined outcomes are required to certify this evidence.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104965>

ID – 856

PSYCHOSOCIAL AND FUNCTIONAL IMPACTS OF HEMOPHILIA: FINDINGS FROM A THEMATIC ANALYSIS OF PATIENT EXPERIENCES IN BRAZIL

J Balardin^a, GG Yamaguti-Hayakawa^b, CF Carvalho^a, V da Silva^a, TMO Pietrobelli^c, MR Alves^d, A Dantas^d, DV Pachito^d

^a Oracle Life Sciences, São Paulo, SP, Brazil

^b Universidade Estadual de Campinas (UNICAMP), São Paulo, SP, Brazil

^c Federação Brasileira de Hemofilia (FBH), Caxias do Sul, RS, Brazil

^d Pfizer, São Paulo, SP, Brazil

Introduction: Although advances in hemophilia care have significantly improved clinical outcomes, people with hemophilia (PwH) in Brazil continue to experience substantial psychosocial challenges. These range from psychological distress to limitations in work, education, social participation, and family life. **Objectives:** To explore the lived experiences of Brazilian PwH with a focus on psychosocial and functional challenges that persist despite access to treatment. **Material and methods:** A targeted thematic analysis was conducted using qualitative data from semi-structured interviews with 23 participants recruited through a national hemophilia patient association (Federação Brasileira de Hemofilia). Interviews were audio-recorded, transcribed verbatim, and analyzed using a thematic framework approach. Participants also completed the EQ-5D-5L questionnaire to assess self-reported health-related quality of life. **Results:** Most participants were working-age adults (52.2%) and had either severe hemophilia A (n=16) or B (n=7). An analysis of EQ-5D-5L responses showed extensive impairment among participants: 87% reported mobility limitations, and 65% experienced moderate to severe pain. Notably, only one individual (4.3%) indicated the highest level of impairment across all five domains, while another (4.3%) reported no impairment in any domain.

Qualitative analysis identified three main themes: 1) Experiences of Pain and Disability: Participants described intense, chronic joint pain and loss of mobility, often associated with visible joint deformities. These impairments led to feelings of shame, frustration, and lowered self-esteem. Fear of progressive disability, especially with aging, was a common source of anxiety. 2) Educational and Professional Impact: Many PwH reported interrupted or modified educational trajectories due to treatment schedules, limited physical endurance, or frequent hospital visits. Discrimination in the labor market was also reported, including job loss or exclusion following disclosure of their diagnosis. 3) Family and Financial Burden: Family members, particularly mothers and partners, often had to give up employment, relocate to access care, or provide continuous caregiving. Financial stress was exacerbated by travel costs to hemophilia centers and lack of local physiotherapy services. **Discussion and Conclusion:** Despite clinical advances, Brazilian PwH continues to face profound limitations in physical, emotional, and social domains. These findings highlight the urgent need to strengthen access to comprehensive, multidisciplinary care, especially psychosocial support and rehabilitation services. This is consistent with the World Federation of Hemophilia's guidelines, which emphasize that effective hemophilia management must extend beyond clotting factor replacement to include holistic, patient- and family-centered care.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104966>

ID – 2570

PÚRPURA FULMINANS IDIOPÁTICA: RELATO DE DOIS CASOS BRASILEIROS

LS Valadares, TMN Sousa, MEA de Melo, JL Sion, MP Garanito, JDA Carneiro, BP Blanco

Instituto da Criança e do Adolescente, Hospital das Clínicas da Universidade de São Paulo (USP), São Paulo, SP, Brasil

Introdução: A Púrpura Fulminans Idiopática (PFI) é uma síndrome rara, descrita inicialmente na década de 90, associada à deficiência adquirida de Proteína S (PS). Classicamente, esse quadro é secundário à infecção viral por varicela-zóster ou herpesvírus humano 6, que induz a produção de autoanticorpos contra a PS. O mecanismo fisiopatológico mais plausível é a reação cruzada mediada por mimetismo molecular entre o vírus e a PS. Clinicamente, caracteriza-se por evolução rápida para necrose cutânea e elevada mortalidade. Até onde sabemos, relatamos os primeiros casos pediátricos brasileiros de PFI desencadeada por Citomegalovírus (CMV). **Descrição do caso:** Paciente 1: Masculino, 8 anos, hematoquezia e lesões purpúricas puntiformes em membro inferior direito, há sete dias, que progrediram rapidamente para membro contralateral, região escapular e face. Ao exame: presença de lesões bolhosas de conteúdo hemático em membros inferiores e lesões equimóticas em tronco e face. Exames laboratoriais: Hb 4.5g/dL, leucócitos 42.170 mm³, plaquetas 59.000 mm³, fibrinogênio 34 mg/dL (VR 200–393), TTPAr 1,45 (VR < 1,20), AP 56% (VR > 70%), Dímero-d > 128.000 ng/mL (VR < 500),

ADAMTS-13 55% (40%–130%), Coombs negativo, esquizócitos ausentes, PCR sangue CMV 10.882 UI/mL (VR não detectável). Apesar de antibioticoterapia e suporte transfusional, paciente evoluiu com piora das lesões cutâneas, sistêmica (ventilação mecânica, hemodiálise), trombose de veia jugular, artéria tibial posterior e safena magna. Quatro dias após admissão, PS livre 11% (61,5%–142%), Proteína C funcional 162% (45%–153%), mutação G20210A, Fator V Leidein e antifosfolípidos negativos e biópsia de pele: vasculopatia trombótica. Recebeu reposição de Plasma Fresco Congelado (PFC) por 39 dias, Ganciclovir por 20 dias e anticoagulação terapêutica por oito meses. Tempo de internação: 3 meses. Sequelas: amputação transtibial bilateral, desarticulação interfalangiana distal de 4° e 5° quirodáctilos direitos, além das interfalangeanas proximais do 1° ao 5° quirodáctilos esquerdos. Após alta hospitalar: manteve necessidade de hemodiálise, PS livre 59,6% (dois meses após diagnóstico) e EXOMA normal. Paciente 2: Feminino, 1a 6m, irmã de Paciente 1, interna com quadro febril há uma semana, evoluindo com linfonodomegalia e máculas eritematovioláceas em membros inferiores. Exames laboratoriais: Hb 6.7g/dL, Leucócitos 16.000 mm³, Plaquetas 149.000 mm³, fibrinogênio indetectável, TP e TTPA incoaguláveis, Dímero-d > 50.000ng/mL, PCR CMV 13.545 UI/mL, PS indetectável, PC 47% (VR 59%–147%). Recebeu PFC por 17 dias e anticoagulação terapêutica até normalização da PS livre 98% (8 meses após diagnóstico). Tempo de internação: 32 dias. Recebeu alta hospitalar sem complicações. PS dos genitores: normal. **Conclusão:** A PFI é uma condição potencialmente grave cujo diagnóstico e tratamento são desafiadores. Diante da presença de lesões purpúricas com rápida evolução para necrose, especialmente em membros inferiores, associada à história de infecção recente, este diagnóstico deve ser considerado e a dosagem precoce de PS é essencial. O pronto reconhecimento e o início imediato do tratamento com anticoagulação e PFC são cruciais para prevenir complicações irreversíveis.

Referências:

Theron A, Dautremay O, Boissier E, Zerroukhi A, Baleine J, Moulis L, et al. Idiopathic purpura fulminans associated with anti-protein S antibodies in children: a multicenter case series and systematic review. *Blood Adv.* 2022;6(2):495-502.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104967>

ID – 2316

PÚRPURA TROMBOCITOPÊNICA TROMBÓTICA ADQUIRIDA EM PACIENTE COM RECAÍDAS FREQUENTES

L Arraes Aragão, H Alves de Andrade Ribeiro, T Azevedo do Carmo, L Meloti Fiorio, A de Carvalho Hipólito Vizzotto, WF dos Santos Moraes, R Vaez

Universidade Federal de São Paulo (UNIFESP), São Paulo, SP, Brasil

Introdução: A Púrpura Trombocitopênica Trombótica (PTT) é uma síndrome rara e potencialmente fatal caracterizada por