

Brasil. Cerca de 2.277 pessoas têm Hemofilia B, e com essa informação entendeu-se a necessidade de aplicar um questionário. A pesquisa recebeu 95 contribuições de 21 estados do Brasil. O objetivo foi de compreender a jornada das pessoas com Hemofilia B de diferentes locais e regiões do país, do diagnóstico até o acesso ao tratamento, considerando sua rotina de cuidados e qualidade de vida para o exercício da cidadania. **Material e métodos:** Foi aplicado um formulário eletrônico com 58 questões de múltipla escolha, abertas e de ranking. A divulgação do questionário foi realizada por e-mail, aplicativos de mensagens rápidas e nas redes sociais da FBH, mobilizando a participação de pessoas e familiares responsáveis por crianças/adolescentes que convivem com Hemofilia B. As questões são qualitativas para avaliar como está o tratamento da Hemofilia B, quais são os desejos, necessidades e desafios dos pacientes e sua qualidade de vida. Também houve questões sobre a relação com a FBH no acesso aos materiais impressos e conteúdos produzidos nos canais de comunicação oficiais. O perfil avaliado foi de crianças, adolescentes e adultos com Hemofilia B, incluindo pacientes com inibidor. Os dados são anonimizados e estão de acordo com a Lei Geral de Proteção de Dados do Brasil. **Resultados:** A pesquisa recebeu 95 contribuições, sendo 45 respostas de adultos com Hemofilia B e 50 de crianças/adolescentes, respondidas por seus familiares responsáveis. O grau de Hemofilia dos respondentes: adultos são 47% grave, 31% moderado e 22% leve, de crianças/adolescentes são 74% grave, 22% moderado e 4% leve. Dos 95 respondentes, 16% desenvolveu inibidor, sendo 12% crianças/adolescentes e 4% adultos. A pesquisa apontou que o diagnóstico para Hemofilia melhorou ao longo dos anos, pois 86% das crianças/adolescentes receberam o diagnóstico nos primeiros 12 meses de vidas, enquanto apenas 47% dos adultos receberam o diagnóstico antes do 1º ano de vida. A profilaxia é realizada por 69 respondentes e 75 participantes têm como maior desejo a diminuição do número de infusões no seu tratamento, sendo a maior dificuldade o modo de aplicação da medicação, seguido da frequência de infusões semanais e a dificuldade de deslocamento até o hemocentro. A adesão a profilaxia melhora a qualidade de vida dos participantes, visto que a maioria apontou que não tem dificuldades para realizar as tarefas do dia-a-dia, atividades físicas moderadas ou leves e também não tem dificuldades em atividades que envolvam sua educação e formação. A relação da FBH e dos participantes da pesquisa é de excelência, 98% reconhece o trabalho da FBH, 75% dos respondentes acompanham o site institucional, Página do Facebook e Instagram da FBH. Grande parte deles retiram os materiais educativos da FBH no Hemocentros dos seus estados. **Discussão:** As contribuições na pesquisa auxiliaram no entendimento das principais necessidades da jornada das pessoas com Hemofilia B com dados de vida real, que coadunam com as ações da FBH na garantia do tratamento e avanços para a inclusão de novas terapias. **Conclusões:** A pesquisa obteve respostas que apontam para as demandas a serem trabalhadas em ações de advocacy da FBH, bem como de entender a jornada do paciente e desenvolver ações e materiais educativos para trazer avanços para quem convive com Hemofilia B no Brasil.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.955>

COMPARISON OF FVIII AND CONCIZUMAB IN THROMBIN GENERATION ASSAYS UNDER DIFFERENT CONDITIONS

J Lund^a, M Kjalke^a, GG Fabbro^b, MGA Okuma^b

^a Novo Nordisk A/S, Måløv, Denmark

^b Novo Nordisk Farmacêutica do Brasil Ltda, São Paulo, SP, Brazil

Background: Concizumab is an anti-Tissue Factor Pathway Inhibitor (TFPI) monoclonal antibody in development as a once-daily subcutaneous prophylaxis for bleeding episodes in patients with hemophilia A or B with or without inhibitors. Understanding how the activity of novel, non-factor therapies compare to traditional Factor (F) VIII/FIX replacement therapies is of interest to physicians but remains complex. Thrombin Generation Assays (TGAs) can measure the in vitro activity of FVIII/FIX as well as non-factor products. **Aims:** To compare the activity of concizumab to FVIII using TGAs initiated with combinations of Tissue Factor (TF) and activated Factor XI (FXIa). **Methods:** TGAs (Thrombinoscope) were performed using hemophilia A plasma (George King Bio-Medical) and triggered with 1 pM TF (Thrombinoscope), with or without FXIa (Enzyme Research Laboratories) at 0.1, 0.5, 1.0 and 8.0 mU/mL. Under these conditions, FVIII (NovoEight, Novo Nordisk; 0.03–2.0 IU/mL) was compared with 4,000 ng/mL concizumab. **Results:** The activity of FVIII increased with increasing FXIa concentrations, whereas the activity of concizumab was consistent under all conditions tested, independent of FXIa concentration. Consequently, the level of FVIII similar in activity to 4,000 ng/mL concizumab decreased as the FXIa concentration increased. In the absence of supplemented FXIa, the thrombin peak with 4,000 ng/mL concizumab corresponded to 0.9 IU/mL FVIII, and the Endogenous Thrombin Potential (ETP) to 1.3 IU/mL FVIII. In the presence of lower FXIa concentrations (0.1 and 0.5 mU/mL), the thrombin peak with concizumab corresponded to 0.25 and 0.08 IU/mL FVIII, respectively, and the ETP to 0.47 and 0.18 IU/mL FVIII, respectively. When FXIa was further increased, the activity of concizumab was < 0.05 IU/mL FVIII. **Conclusion:** The relative activity of FVIII and concizumab is highly sensitive to the exact TGA conditions used. Comparing activity of concizumab with that of FVIII in TGA assays can therefore be misleading if translated into potential clinical efficacy.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.956>

TREATMENT SATISFACTION AND JOINT HEALTH OUTCOMES WITHIN A REAL-WORLD HAEMOPHILIA B POPULATION: THE ADELPHI DISEASE SPECIFIC PROGRAMMESURVEY

V Jiménez-ZYuste^a, C Percier^b, T Porstmann^b, N Ball^c, G Castaman^d, GG Fabbro^e, MGA Okuma^e

^a Hospital Universitario La Paz-IdiPaz; Servicio de Hematología, Autonoma University, Madrid, Spain

^b Novo Nordisk, Zürich, Switzerland

^c Adelphi Real World, Bollington, United Kingdom