

da pesquisa, com injeção de PRP (volume injetado: $5,52 \times 10^9 \pm 2,60 \times 10^9$ plaquetas – valores em média $\pm$ desvio-padrão) nas seguintes articulações: três joelhos, três tornozelos (um na articulação subtalar) e dois cotovelos. Os escores HEAD-US variaram de 4 a 7; os escores de Pettersson, de 7 a 13. A partir de agosto, os participantes iniciarão o retorno para os seguimentos. Serão admitidos dois pacientes semanalmente no projeto. **Discussão e Conclusão:** Espera-se que o PRP se consolide como uma estratégia complementar e minimamente invasiva na artropatia hemofílica, contribuindo para a melhora da dor e função desses pacientes.

Referências:

Amable et al. Stem Cell Res The. 2013; 4:1-13. doi: 10.1186/scrt218. Amaral et al. Stem Cells International. 2016; 2016: 11. doi: 10.1155/2016/7414036. Caviglia et al. Haemophilia. 2020; 26: e187-e193. doi: 10.1111/hae.14075.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104913>

ID – 1500

ASSOCIATION OF ANTITHROMBIN LEVELS WITH EFFICACY OF FITUSIRAN PROPHYLAXIS IN PEOPLE WITH HEMOPHILIA A OR B, WITH AND WITHOUT INHIBITORS: A PREDICTIVE MODELING APPROACH

G Young^a, K Kavakli^b, M Shen^c, A Srivastava^d, J Sun^e, H Tran^f, J Chi^g, A Youn^g, M Puurunen^h, SW Pipeⁱ

^a Hemostasis and Thrombosis Center, Cancer and Blood Disease Institute, Children's Hospital Los Angeles, University of Southern California, LA, United States

^b Department of Pediatric Hematology and Oncology, Ege University Faculty of Medicine Children's Hospital, Izmir, Turkey

^c Department of Internal Medicine, Changhua Christian Hospital, Changhua; Department of Laboratory Medicine and Department of Internal Medicine, National Taiwan University Hospital, Taipei, Taiwan

^d Department of Hematology, Christian Medical College, Vellore; Centre for Stem Cell Research (inStem), Vellore, India

^e Department of Hematology, Nanfang Hospital, Southern Medical University, Guangzhou, China

^f Ronald Sawers Hemophilia Treatment Center, The Alfred, Monash University, Melbourne, Victoria, Australia

^g Sanofi, Bridgewater, NJ, United States

^h Sanofi, Cambridge, MA, United States

ⁱ Departments of Pediatrics and Pathology, University of Michigan, Ann Arbor, MI, United States

Introduction: Fitusiran is a United States Food and Drug Administration-approved Antithrombin (AT) lowering therapeutic that increases thrombin generation to restore hemostasis in people with hemophilia A or B, with or without

inhibitors. The AT-based Dose Regimen (AT-DR) targeting AT levels between 15%–35% was implemented to mitigate the risk of thrombosis and enhance the benefit-risk profile of fitusiran. **Objectives:** To quantitatively characterize the relationship between AT levels and Annualized Bleeding Rate (ABR) during fitusiran prophylaxis, using a predictive modeling approach. **Material and methods:** To assess the relationship between AT levels and ABR, an Andersen-Gill model with frailty was used, utilizing data from patients who received ≥ 1 dose of fitusiran during the steady-state period of three completed Phase 3 trials (ATLAS-INH, ATLAS-A/B, ATLAS-PPX), ongoing Phase 3 extension study (ATLAS-OLE), and a subset of 34 patients from a Phase 2 trial. All available data of participants who received the 80 mg once-monthly Original Dose Regimen (ODR) and the AT-DR were included in the analysis. **Results:** Data from 254 patients spanning 552.9 patient-years of observation were used. Individual mean (interquartile range) AT levels were 23.2% (20.7%–25.8%) with the AT-DR and 11.5% (10.4–13.3%) with the ODR. A monotonic increasing relationship between ABR and AT levels was confirmed by modeling and simulation, with a median (95% Confidence Interval) ABR of 0.73 (0.48, 1.05) at 10% AT activity levels, 2.31 (1.69, 3.18) at 15%, and 4.58 (3.55, 6.30) at 35%. **Discussion and Conclusion:** This analysis demonstrates that lower AT levels are associated with decreased bleeding rates. Based on these results, fitusiran prophylaxis can be individualized to patient needs within the 15%–35% AT range to enhance treatment efficacy. The ability to measure AT activity levels is an advantage of fitusiran prophylaxis. **Funding:** Sanofi.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104914>

ID – 314

AVALIAÇÃO DA QUALIDADE DE VIDA EM PESSOAS COM HEMOFILIA EM PROFILAXIA COM FATOR EM UM CENTRO DE TRATAMENTO DE HEMOFILIA DO NORDESTE BRASILEIRO

NM Beserra^a, RM Camelo^b, CMG Machado^a, ES Nascimento^a, RP Gonçalves Machado^a, SG Machado da Rocha^a, SMC Dantas^a, VM Kaiser^b, LEM Carvalho^a, JA Teodoro^b, RPG Lemes^a

^a Universidade Federal do Ceará (UFC), Fortaleza, CE, Brasil

^b Universidade Federal de Minas Gerais (UFMG), Belo Horizonte, MG, Brasil

Introdução: A hemofilia é uma coagulopatia hereditária rara definida pela deficiência dos Fatores de coagulação VIII (FVIII), na hemofilia A, ou IX (FIX), na hemofilia B. As Pessoas com Hemofilia (PCh) têm sangramentos espontâneos, principalmente hemartroses, que podem evoluir para artropatia hemofílica, resultando em dor crônica, limitação funcional e comprometimento da Qualidade de Vida (QV). A profilaxia com fator de coagulação tem sido a principal estratégia para prevenir sangramentos e suas complicações em diversos países. Em relação ao tratamento sob demanda exclusiva, a

profilaxia, ao reduzir os sangramentos, melhora os desfechos mioosteoarticulares e se relaciona com maior QV. No Brasil, pouco se sabe sobre os determinantes da QV em PcH em profilaxia com fatores de coagulação. **Objetivos:** O objetivo deste estudo foi avaliar determinantes da QV relacionada à saúde em PcH sem inibidor, em profilaxia com fatores de coagulação. **Material e métodos:** Realizou-se um estudo transversal (jun-out/2022) no Ambulatório de Coagulopatias do Centro de Hematologia e Hemoterapia do Ceará (HEMOCE), em Fortaleza/Brasil. Incluíram-se PcH ≥ 14 anos sem inibidores, em profilaxia com FVIII ou FIX. Excluíram-se PcH privadas de liberdade ou restritas ao leito. Dados sociodemográficos, clínicos e terapêuticos foram coletados dos prontuários e por entrevista. QV foi avaliada pelo questionário Short Form-36 (SF-36). Os domínios do SF-36 foram analisados e resumidos nos Sumários do Componente Físico (SCF) e Mental (SCM) com base em dados normatizados para a população brasileira. Escores mais altos significam melhor QV. **Resultados:** Todas as 78 PcH eram homens, com idade mediana de 30,0 anos (Intervalo Interquartil [IIQ] 20,8–39,0), sendo 7 (9%) crianças. Metade das PcH residia em Fortaleza 39 (50%), 26 (33%) PcH eram estudantes e 49 (63%) PcH eram solteiras. A maioria das PcH tinha hemofilia A 67 (86%) ou hemofilia grave 70 (90%). A duração mediana da profilaxia foram 9,0 anos (IIQ 7,0–10,0), 76 (97%) PcH estavam em profilaxia secundária/terciária e 61 (78%) PcH realizavam auto-infusão. Artropatia foi referida por 46 (59%) PcH e 39 (50%) PcH praticavam atividade física regular. Os escores medianos de SF-36 total, SCF e SCM foram 70,3 (IIQ 57,3–83,3); 48,4 (IIQ 28,7–48,4) e 61,5 (IIQ 44,0–65,3), respectivamente. O escore total do SF-36 não se associou com as variáveis analisadas. O SCF foi maior entre solteiros ($p=0,023$), estudantes ($p=0,001$), PcH sem outras doenças ($p=0,022$) e praticantes de atividade física ($p=0,004$). O SCM foi maior entre PcH não- solteiras ($p=0,012$), sem artropatia ($p=0,023$) e com maior frequência de infusão ($p=0,034$). SCF e SCM apresentaram correlação com idade ($r=-0,364$; $p=0,001$) e duração da profilaxia ($r=-0,298$; $p=0,008$), respectivamente. O escore médio de SCF ($39,3 \pm 11,2$) foi semelhante aos escores descritos no Reino Unido ($p=0,730$) e na França ($p=0,579$), mas menor que Bélgica ($p < 0,001$), Canadá ($p < 0,001$) e China ($p < 0,001$). O escore médio de SCM ($52,6 \pm 10,7$), foi semelhante aos escores descritos no Reino Unido ($p=0,895$), no Canadá ($p=0,449$) e na China ($p=0,241$), mas maior que Bélgica ($p=0,002$) e França ($p < 0,001$). **Discussão e Conclusão:** PcH sem inibidores em profilaxia com fator apresentaram boa percepção da QV, no geral e quando comparadas a outros países, principalmente no SCM. Fatores como idade, estado civil, prática de atividade física, psicologia, saúde articular e outras doenças influenciam a QV.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104915>

ID – 2042

AValiação DO IMPACTO ALGO FUNCIONAL DA EMBOLIZAÇÃO ARTERIAL NO TRATAMENTO DA SINOVITE EM HEMOFÍLICOS

MU de Rezende ^a, FES de Farias ^a, AM de Assis ^b, PR Villaza ^c, E Okazaki ^c, GP O Campos ^a,

HA Holzmann ^b, PV Partezani Helito ^a, FC Carnevale ^b, OP de Camargo ^a

^a Instituto de Ortopedia e Traumatologia do Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo (IOT/HC-FMUSP), São Paulo, SP, Brasil

^b Instituto de Radiologia do Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo (InRad/HC-FMUSP), São Paulo, SP, Brasil

^c Hospital das Clínicas, Faculdade de Medicina, Universidade de São Paulo (HCFMUSP), São Paulo, SP, Brasil

Introdução: A Hemofilia é um distúrbio hemorrágico ligado ao cromossomo X, caracterizado pela deficiência do fator de coagulação VIII (Hemofilia A), ou do fator IX (Hemofilia B). A apresentação clínica é caracterizada por sangramentos intra-articulares (hemartroses), hemorragias musculares e sangramentos em outros tecidos ou cavidades corporais. As hemartroses representam 70%–80% das manifestações hemorrágicas mais frequentes, podendo afetar as articulações do joelho, tornozelo e cotovelo. Os sangramentos nas articulações recorrentes resultam em alterações sinoviais (sinovite) e danos à cartilagem, evoluindo para artropatia hemofílica. A sinovite pode ocasionar hemartroses recorrentes e sangramentos subclínicos (micro sangramentos) tornando a sinóvia cronicamente inflamada e hipertrófica. Um ciclo vicioso de sangramento pode se instalar com perda de movimento articular, levando a danos irreversíveis ósseos e condrais. O objetivo do manejo de hemorragias específicas não é apenas tratar o sangramento, mas também prevenir sua recorrência, suprimindo a ativação sinovial, reduzindo a inflamação. A embolização arterial é uma técnica minimamente invasiva utilizada para o controle das hemorragias em diversas condições clínicas. Ela pode ser uma opção confiável e custo efetiva no controle desses vasos-alvo na articulação afetada podendo reduzir a vascularidade e controlar a hemartrose. **Descrição do caso:** Entre fevereiro de 2023 e maio de 2024, 14 pacientes foram submetidos à embolização superselativa das artérias-alvo com micropartículas esféricas inabsorvíveis Embosphere 100–300 micrômetros (Biosphere Medical, Roissy, França), até atingir a estase vascular parcial e a descharacterização do realce sinovial patológico. Avaliações, testes e questionários (Hemophilia Joint Health Score [HJHS], Teste Timed Up and Go [TUG], Teste de Sentar e Levantar em 30 segundos [TSL30], Escala de Classificação Numérica da Dor [ECN 0–10], Knee Injury and Osteoarthritis Outcome Score [KOOS] e HAEM-A-QOL) foram realizados no pré-procedimento e após 1, 3, 6 e 12 meses da embolização. Nos 4 casos de embolização de cotovelo observou-se após 1 ano, redução significativa na percepção da dor, com queda da média na ECN de 6,5 para 2. A avaliação física, por meio do HJHS, também apresentou melhora, com redução do escore médio de 45 para 42,5. Sendo também observada esta melhora na Qualidade de Vida (HAEMO-QOL), com a média passando de 88,75 para 82. Nos 6 procedimentos realizados em tornozelos após um ano, a média de dor referida caiu de 7,1 para 4,6, enquanto o HJHS reduziu de 33,4 para 28,8. A capacidade funcional também apresentou uma discreta melhora, com aumento na média do Teste Senta e Levanta de 8 para 10 e no