

^a Hospital Rebagliati, Peru

^b Instituto Estadual de Hematologia (HEMORIO), Rio de Janeiro, RJ, Brasil

Introdução: As alterações congênitas do Fibrinogênio (FI) são raras e classificadas como quantitativas (afibrinogenemia e hipofibrinogenemia) ou qualitativas (disfibrinogenemia e hipodisfibrinogenemia). As manifestações clínicas são principalmente hemorragias. Também são descritas trombose, alterações gineco-obstétricas e dificuldade de cicatrização. O tratamento é a reposição principalmente com concentrado de FI, e antifibrinolíticos. Nos pacientes com trombose é necessário anticoagulante e concentrado de FI. O Hemorio é o centro de referência para coagulopatias hereditárias no estado do Rio de Janeiro. A finalidade do trabalho é mostrar os aspectos clínicos e as dificuldades no diagnóstico e tratamento, contribuindo para um entendimento maior no manuseio. **Objetivos:** Geral: Descrever as características clínicas e laboratoriais dos pacientes com alterações congênitas do fibrinogênio no Hemorio até 31 de dezembro de 2024. Específicos: - Comparar os dados clínicos observados com os da literatura. - Descrever a relação do nível plasmático de FI com as manifestações hemorrágicas. - Identificar manifestações trombóticas e correlacionar com o subtipo. - Descrever os tratamentos de reposição e avaliar sua resposta. **Material e métodos:** Estudo observacional, descritivo com revisão de prontuários (01/2015–12/2024). Foram coletados dados demográficos (idade ao diagnóstico, idade atual, sexo), motivo do estudo diagnóstico, história familiar, dados clínicos, laboratoriais e genéticos e tipo de tratamento. **Resultados:** Foram identificados 19 pacientes, 03 excluídos. Analisaram-se 16 (6 homens e 10 mulheres), idades ao diagnóstico: 3 meses – 62 anos (mediana 26a). Motivo do diagnóstico: hemorragia 25%; trombose 6% (1 caso); achado laboratorial/oligossintomático 19%, estudo familiar 50%. Apenas um caso consanguinidade. Os subtipos: 01 afibrinogenemia, 05 hipofibrinogenemias, 08 hipodisfibrinogenemias e 02 disfibrinogenemias. O TP prolongado em 30% dos pacientes, o TTPa em 10%, o TT em 85% e o tempo de reptilase em todos. Três pacientes realizaram estudo genético, mutações em FGA e FGG. Apenas dois pacientes sem sangramentos. Predominaram sangramentos leves, localizados em mucosas e os induzidos. Menorragia em 70% das mulheres, abortos espontâneos em 30% e gravidez ectópica em uma paciente. Houve uma hemorragia intracraniana traumática e um sangramento gastrointestinal grave. Dois episódios trombóticos prévios ao diagnóstico, ambos identificados em hipodisfibrinogenemias, associados a fatores de risco. Vinte e dois procedimentos cirúrgicos pré diagnóstico foram identificados (06 com sangramento anormal). Após diagnóstico, 11 cirurgias com preparo, 10 sem intercorrências e 01 cesárea com sangramento grave. O tratamento incluiu antifibrinolíticos, terapia hormonal para menorragia, e concentrado de fibrinogênio/crioprecipitado (profilaxia mensal em paciente com afibrinogenemia). Resposta clínica geralmente boa. **Discussão e Conclusão:** Os dados obtidos são semelhantes aos da literatura, mas a adoção de escalas de escore de sangramento (ISTH-BAT) auxiliaria na comparação dos resultados. As manifestações clínicas correlacionaram-se com a atividade funcional de FI, podendo haver pacientes assintomáticos. Complicações

gineco-obstétricas são frequentes. As manifestações trombóticas podem ocorrer principalmente em alterações funcionais. O tratamento é eficaz, mas a disponibilidade de concentrado de fibrinogênio é limitada.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104930>

ID – 956

ESQUEMAS DE PROFILAXIA EM HEMOFILIA A E B SEM INIBIDORES NO BRASIL: RESULTADOS DE UM PAINEL DELPHI

LC Oliveira ^a, SF Watanabe ^b, R Ribeiro ^c,
RR Araujo ^b, F Magro ^b

^a Hemocentro de Ribeirão Preto, Universidade de São Paulo (USP), Ribeirão Preto, SP, Brasil

^b Sanofi, São Paulo, SP, Brasil

^c HEMAP, Porto Alegre, RS, Brasil

Introdução: A profilaxia é o tratamento padrão para prevenir complicações musculoesqueléticas e melhorar a qualidade de vida das pessoas com hemofilia A ou B e fenótipo grave. Ela deve ser personalizada, considerando diversos fatores que influenciam a decisão sobre a melhor frequência e dose para cada paciente. É natural que, nos vários centros brasileiros, existam variações nos esquemas terapêuticos adotados, e os dados sobre como a profilaxia tem sido efetivamente realizada no cenário nacional ainda são escassos. Nesse cenário, entender quais esquemas profiláticos vêm sendo preferencialmente utilizados no Brasil torna-se essencial para subsidiar decisões clínicas e planejar o uso racional de recursos. **Objetivos:** Avaliar os esquemas de profilaxia utilizados no Brasil – em termos de dose e frequência – com terapia de reposição em pessoas com hemofilia A e B sem inibidores, bem como identificar as principais barreiras de acesso à profilaxia enfrentadas pela população com hemofilia em geral. **Material e métodos:** Realizou-se um painel Delphi com consulta a 16 especialistas de 13 estados, representando as cinco macrorregiões do Brasil. Considerando o contexto de seus centros de atuação, os painelistas estimaram, em pacientes com hemofilia A e B sem inibidores: 1) Frequência semanal de profilaxia; 2) Estimativa do consumo médio de fator; 3) Frequência anual de realização de exames laboratoriais; e 4) Principais barreiras para adesão à profilaxia. Os dados foram compilados como medidas sumárias (média, Desvio Padrão [DP], mínimo e máximo). **Resultados:** Entre as pessoas com hemofilia A sem inibidores, mais de 90% utilizam esquemas com três ou mais infusões semanais: 2,8% fazem uma vez por semana, 5,6% duas, 51,3% três, 31,4% em dias alternados, 4,4% quatro vezes, 0,1% cinco vezes e 3,6% diariamente. A dose média utilizada foi de 78,39 UI/kg/semana (DP=19,60; mínimo: 42,35; máximo: 129,25 UI/kg/semana). Na hemofilia B sem inibidores, 5,8% fazem uma infusão semanal, 73,2% duas e 21,1% três vezes por semana, com dose média semanal de 70,1 (DP = 14,38; mínimo: 40; máximo: 99 UI/kg/semana). Considerando o grupo geral de pacientes com hemofilia, a média anual de exames laboratoriais variou de 0,4 (DP=0,5) para vitamina D até 1,3 (DP=0,6) para hemograma e 1,7 (DP=0,5) para pesquisa de inibidor. Quanto a possíveis barreiras de

acesso, os especialistas ranquearam a frequência de tratamento como a maior barreira, e, após, sequencialmente: via de administração e preparo, dificuldade de acesso venoso, condição socioeconômica, distância da residência ao centro de tratamento hemoterápico, renúncia ao tratamento, e risco trombótico (sendo este último a menor barreira). **Discussão e Conclusão:** O presente trabalho permitiu identificar o esquema médio de profilaxia para hemofílias A e B no Brasil, além de mapear as principais barreiras à sua adoção, identificou-se a frequência de tratamento como a principal barreira de acesso, seguida por desafios relacionados à administração. Esses achados oferecem subsídios para o aprimoramento de protocolos terapêuticos, estratégias de cuidado e desenvolvimento de políticas públicas. **Agradecimentos:** Os autores agradecem aos 16 especialistas que participaram do painel Delphi por sua valiosa contribuição com conhecimento e experiência clínica.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104931>

ID – 472

ESTRATÉGIA PARA ESTIMATIVA DA DEMANDA POR EMICIZUMABE PARA PACIENTES COM HEMOFILIA A E INIBIDORES DIANTE DA PERSPECTIVA DE INCORPORAÇÃO DESTE TRATAMENTO AO SUS

VL Magalhaes, EV de Paula, SJF da Silva, SFR Silva, SS Ferreira, TR Silva, MB Swain, MN Pereira

Coordenação-Geral de Sangue e Hemoderivados (CGSH) Ministério da Saúde, Brasília, DF, Brasil

Introdução: Recentemente a Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias ao Sistema Único de Saúde (CONITEC) ampliou a indicação de emicizumabe no SUS para todos os pacientes com hemofilia A e inibidores, independentemente da idade, a partir do final do ano de 2024. Essa mudança exigiu estimativas precisas de demanda para subsidiar o planejamento orçamentário. Contudo, a forma como os dados sobre desenvolvimento de inibidores é registrada no sistema Hemovida Web Coagulopatias não permite a distinção precisa entre prevalência e incidência, o que representa um desafio à quantificação da população-alvo. **Objetivos:** Desenvolver uma estratégia que permita a estimativa do número de pacientes com hemofilia A e inibidores potencialmente elegíveis ao uso de emicizumabe, bem como os recursos financeiros necessários para sua incorporação plena. **Material e métodos:** Diante da limitação dos dados laboratoriais registrados no sistema, utilizou-se como critério para a presença de inibidores ativos clinicamente relevantes (critério de inclusão do protocolo de incorporação) a administração de agentes de bypass (rFVIIa ou CPPA) entre 2022 e 2023. Foram identificados todos os pacientes com hemofilia A com ao menos uma infusão destes medicamentos. Pesos corporais foram atualizados nos registros reportados pelos centros ou imputados conforme curvas do IBGE. A estimativa da dose considerou o regime posológico do emicizumabe (3 mg/kg/semana no primeiro mês e 1,5 mg/kg/semana a partir do segundo mês). O custo foi calculado com base no valor unitário de R\$ 245,14

por mg, previsto na Portaria de incorporação. **Resultados:** Identificaram-se 577 pacientes com histórico de uso de agentes de bypass. Destes, 98 já recebiam emicizumabe via fornecimento do Ministério da Saúde. Além disso, outros 28 pacientes encontravam-se em uso do emicizumabe, mas não constavam na base de usuários de agentes de bypass. Assim, estimou-se um total de 605 pacientes elegíveis, dos quais 507 ainda não haviam sido contemplados. Para esses 507 pacientes, a demanda anual de emicizumabe foi estimada em 1.574.983,4 mg, com custo aproximado de R\$ 386.091.431,00 no primeiro ano. Adicionalmente, previu-se o ingresso de cerca de 12 novos casos por ano, com impacto financeiro marginal de R\$ 1.319.128,20 anuais. **Discussão e Conclusão:** A incorporação ampliada de emicizumabe trouxe um impacto orçamentário significativo, sobretudo no primeiro ano. Estima-se que haverá redução progressiva nos gastos com outros hemoderivados (rFVIIa, CPPA e fator VIII para imunotolerância) para os anos subsequentes. A percepção dessa economia, contudo, dependerá de um período de acompanhamento de pelo menos 12 meses. A mudança de paradigma terapêutico exigiu também a revisão dos protocolos clínicos vigentes, posicionando o emicizumabe como tratamento padrão para pacientes com hemofilia A e inibidores. A incorporação do emicizumabe para todos os pacientes com hemofilia A e inibidores no SUS demandará investimento adicional estimado em R\$ 386 milhões no primeiro ano. Apesar das limitações nos registros administrativos, a abordagem adotada fornece uma estimativa consistente da população-alvo, e pode ser considerada como uma estratégia válida para estimativa deste importante parâmetro epidemiológico e de gestão. A avaliação contínua dos efeitos clínicos, econômicos e operacionais será essencial para o sucesso da implementação plena da tecnologia.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104932>

ID – 863

EXPERIENCES WITH CLOTTING FACTOR PROPHYLAXIS AND EXPECTATIONS TOWARD EMERGING THERAPIES IN HEMOPHILIA CARE IN BRAZIL: A QUALITATIVE INTERVIEW STUDY

JB Balardin ^a, GG Yamaguti-Hayakawa ^b, CF Carvalho ^a, VdS da Silva ^a, TMO Pietrobelli ^c, MR Alves ^d, AD Dantas ^d, DVPV 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: In Brazil, People with Hemophilia (PwH) receive Clotting Factor Concentrates (CFCs) through the public healthcare system. While this model enables universal access to prophylaxis, treatment remains burdensome and complex. This study explored lived experiences of PwH, their families, and Healthcare Professionals (HCPs) regarding CFC