

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

prophylaxis and expectations for future therapies. **Objectives:** To understand the physical, emotional, and systemic challenges related to current hemophilia care in Brazil and stakeholders' hopes for less burdensome, equitable treatment options. **Material and methods:** A targeted thematic analysis was conducted on semi-structured interviews with 43 participants: 23 PwH, 10 family members, and 10 HCPs. Participants were purposively sampled across Brazil to capture geographic and socioeconomic diversity. Interviews were conducted virtually, transcribed verbatim, and analyzed using the framework method. **Results:** Three overarching themes emerged: (1) Burden of current treatment: Participants emphasized the logistical and emotional toll of regular intravenous prophylaxis, including difficult venous access, time-consuming infusion preparation, cold-chain storage, treatment-related waste, and limitations on mobility and daily activities. The need to self-infuse or depend on caregivers led to stress and fatigue, while some PwH skipped doses when in pain or emotionally overwhelmed. (2) Systemic barriers and healthcare inequities: Despite centralized provision of CFCs, participants reported recurrent medication stockouts at treatment centers, long travel distances to treatment centers, limited access to mental health support, and lack of awareness about hemophilia among non-specialist providers. These challenges were especially acute in remote or low-resource settings, where travel and treatment costs strained families despite the medication being free. (3) Expectations for future therapies: Stakeholders expressed high hopes for long-acting, subcutaneous, and gene therapies to reduce the frequency and burden of treatment. HCPs emphasized the importance of ensuring equitable access, infrastructure for monitoring novel therapies, and education to support adherence. Participants also highlighted the need for individualized treatment plans and stronger psychosocial support. **Discussion and Conclusion:** While prophylactic CFC therapy improves clinical outcomes, it imposes a daily burden that undermines quality of life and adherence. Stakeholders' narratives emphasize the urgent need to expand access to simplified therapies and reinforce health literacy strategies. Addressing structural barriers, enhancing patient-centered care, and ensuring equitable implementation of innovations are critical steps for advancing hemophilia care in Brazil.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104933>

ID – 343

FACTOR-VIII MIMETIC BISPECIFIC ANTIBODIES FOR THE TREATMENT OF HEMOPHILIA A: AN UPDATE

VEAd Jesus^a, DL Almeida^a, RL Muniz^b, J Alves-Teorodo^b, RM Camelo^b

^a Faculdade Ciências Médicas de Minas Gerais, Belo Horizonte, MG, Brazil

^b Universidade Federal de Minas Gerais, Belo Horizonte, MG, Brazil

Introduction: Hemophilia A is an inherited bleeding disorder resulting from the deficiency or dysfunction of coagulation

Factor VIII (FVIII). Standard treatment with FVIII replacement has improved outcomes but remained limited by frequent intravenous administration and the risk of inhibitor development in People with Hemophilia A (PwHA). In this context, FVIII-mimetic bispecific antibodies have emerged as prophylactic agents for PwHA, both with or without inhibitors. These drugs can bind Factor IX (FIX) and Factor X (FX), allowing the coagulation process to continue normally. **Objectives:** This review aimed to update and discuss the FVIII-mimetic bispecific antibodies in hemophilia A. **Material and methods:** We reviewed the current literature and checked scientific event proceedings about the subject. **Discussion and Conclusion:** Emicizumab is currently approved FVIII-mimetic bispecific antibody for hemophilia A prophylaxis. It is administered subcutaneously and has a half-life around 30 days, enabling weekly to monthly regimens. Real-life reports corroborated the clinical trials, demonstrating reductions in bleeding rates associated with enhanced quality of life and improved joint health. Safety profiles mainly concerned the association between emicizumab and increased doses of bypassing agents, but were particularly rare when reduced bypassing agent doses were prescribed. Clinically active anti-emicizumab antibodies are even rarer, although they remain an important issue for emicizumab discontinuation. Alternative emicizumab prophylaxis regimens are under investigation in several countries worldwide to reduce waste and possible futility. Novel FVIII-mimetic bispecific antibodies were developed with modified molecules to improve pharmacokinetics/pharmacodynamics compared to emicizumab. Mim8 (denecimig) has a favorable pharmacokinetics (half-life = 26–35 days) and safety profile in phase I/II studies, with no thrombotic events or anti-Mim8 antibodies reported. In addition, in vitro data suggested that Mim8 might be effective in the presence of anti-emicizumab antibodies. NXT007 is another promising candidate, designed to be more potent than emicizumab. NXT007 half-life may reach more than 2 months. Phase I study with healthy individuals showed no dose-related adverse event, but 30% of participants developed anti-NXT007 antibodies that promoted faster clearance. Ongoing innovation continues beyond these agents. Inno8 is a single-chain bispecific antibody developed for orally delivery and then albumin-bound, having an increased half-life. In animal models, oral Inno8 had a half-life of 113h. In vitro studies showed its hemostatic effect. A phase I trial is ongoing. A single-chain fragment of the FIX-binding emicizumab was fused with the membrane-binding C2-domain of factor V, generating VH9/VL+C2. Compared to emicizumab, the in vitro FVIII-mimetic cofactor activity of VH9/VL+C2 was 3× greater, without inhibitor interference. SS315 was developed with four paratopes composed of symmetric anti-FX and anti-FIX arms. In preclinical assays, SS315 was more potent than emicizumab. NVG-444 was developed by inserting thrombin-sensitive peptides into the structure of emicizumab, providing a negative autoregulation. FVIII-mimetic bispecific antibodies represent a shift in hemophilia A prophylaxis. Emicizumab has redefined the standard-of-care, and newer agents may offer even greater hemostatic improvements. Continued research will refine their role in personalized therapy, especially for PwHA with challenging clinical profiles.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104934>