

profilaxia com emicizumabe em crianças com hemofilia A sem inibidor sem exposição prévia (PUP) ou com mínima exposição prévia (MTP) ao FVIII. **Material e métodos:** Foi realizada revisão bibliográfica nas bases PubMed e SciELO em jun-jul/2025. Incluíram-se publicações que descrevessem diversos aspectos da profilaxia com emicizumabe em crianças. **Discussão e Conclusão:** Resultados preliminares mostraram que mais da metade dos participantes não apresentou sangramentos, totalizando 0,4 episódios/ano, sendo todos traumáticos. Não houve sangramento intracraniano durante a profilaxia com emicizumabe. A partir desses resultados, o Registro PedNet (2022–2023) mostrou que a profilaxia com emicizumabe para PUPs/MTPs era preferencial 80% dos centros envolvidos. Experiências de países com renda per capita variável, etnias e culturas diferentes e acesso diverso ao tratamento interdisciplinar preconizado confirmam a efetividade da profilaxia com emicizumabe contra sangramentos, indiferente da posologia empregada. Alguns estudos ainda sugerem impacto positivo na qualidade de vida e na saúde mioosteoarticular. Não se descreveram eventos trombóticos. Finalmente, uma análise dos dados do EUHASS (2009–2022) mostrou que a incidência de inibidor em PUPs reduziu para 1/5 da incidência inicial, a partir da adoção da profilaxia com emicizumabe nos centros participantes. A profilaxia com emicizumabe em PUPs/MTPs é efetiva e segura. No entanto, essa conduta tem sido pouco utilizada, talvez resultando, por um lado, do acesso restrito ao produto em alguns países e, de outro lado, da baixa taxa de natalidade de outros.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104961>

ID – 1086

PROFILAXIA COM EMICIZUMABE EM CRIANÇAS COM HEMOFILIA A SEM INIBIDOR: EXPERIÊNCIA BRASILEIRA

VM Kaiser^a, LCM Henriques^a, LS Nassif^a, FA Souto^b, CFdG Costa^c, AM Vanderlei^d, TMR Guimarães^d, JM Costa^d, EP Araújo^e, ND Silva^f, JA Teodoro^a, RM Camelo^g

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

^b Centro de Hematologia e Hemoterapia da Bahia, Salvador, BA, Brasil

^c Clínica Nutri&Ped, Salvador, BA, Brasil

^d Fundação de Hematologia e Hemoterapia de Pernambuco (HEMOPE), Recife, PE, Brasil

^e Centro de Hematologia e Hemoterapia do Sergipe, Aracaju, SE, Brasil

^f Fundação Hemocentro de Minas Gerais, Belo Horizonte, MG, Brasil

^g Faculdade de Medicina, Universidade Federal de Minas Gerais (UFMG), Belo Horizonte, MG, Brasil

Introdução: A Hemofilia A (HA) é um distúrbio hemorrágico hereditário causado pela deficiência do fator de coagulação VIII (FVIII). O tratamento tradicional se baseia em infusões intravenosas de FVIII exógeno, tanto para tratar (episódico) como para evitar (profilaxia) sangramentos. Entretanto, a

exposição ao FVIII pode estimular o desenvolvimento de anticorpos neutralizantes anti-FVIII (inibidores) em até 30% das pessoas com HA grave. Inibidores impedem a ação hemostática do FVIII, aumentando o risco de sangramentos. Em 2018, o emicizumabe, um anticorpo biespecífico humanizado que mimetiza a função do FVIII, foi aprovado no Brasil como agente profilático, incorporado ao Sistema Único de Saúde para profilaxia de pessoas com HA e inibidor. Vários estudos confirmam a efetividade e a segurança da profilaxia com emicizumabe em pessoas com HA e inibidor, mas também em pessoas com HA sem inibidor. Recentemente, tem-se discutido a ampliação da profilaxia com emicizumabe no SUS para pessoas com HA sem inibidor com idade até 6 anos. **Objetivos:** O objetivo deste estudo foi avaliar a efetividade e a segurança da profilaxia com emicizumabe em crianças com HA (CHA) sem inibidor no Brasil. **Material e métodos:** Este estudo prospectivo não intervencionista tem acompanhado pessoas com HA em profilaxia com emicizumabe incluídas em diversos Centros de Tratamento de Hemofilia no Brasil desde 2020. **Resultados:** Para a análise atual, avaliaram-se CHA (idade < 18 anos) sem inibidor. Descreveram-se dados sociodemográficos, clínicos e terapêuticos. Calcularam-se as taxas anualizadas de sangramentos tratados (TAS) antes e no primeiro ano de profilaxia com emicizumabe. Avaliou-se a segurança da profilaxia com emicizumabe. Dados contínuos foram descritos em mediana e intervalo interquartil e frequências foram descritas em número absoluto e porcentagem relativa. Incluíram-se 9 CHA com 6.0 anos (2.0–13.5) ao início da profilaxia com emicizumabe. Dentre elas, 6 (67%) eram graves. Todas as CHA recebiam FVIII recombinante como profilaxia, sendo 5 (56%) estavam em profilaxia primária e 1 (11%) após sucesso na imunotolerância. A dose de ataque do emicizumabe foi 3,0 mg/kg/sem, ao longo de 4 semanas, em 8 (89%) CHA, com manutenção de 3,0 mg/kg/2 sem em 4 (44%) CHA. A TAS total reduziu de 2.0 (0.5–5.0), antes, para 0,0 (0,0–1,5), durante a profilaxia com emicizumabe ($p = 0,034$). A TAS para sangramentos espontâneos ($p = 0,068$) e pós-traumáticos ($p = 0,131$) também reduziram, apesar dos valores basais serem baixos. O número de CHA com zero sangramento aumentou de 2 (22%) para 7 (78%). Não houve relato de eventos tromboembólicos ou desenvolvimento de anticorpo anti-emicizumabe. **Discussão e Conclusão:** O tratamento de CHA sem inibidor antes da introdução da profilaxia com emicizumabe foi efetivo, com TAS reduzida na maioria dos participantes. A introdução da profilaxia com emicizumabe foi capaz de reduzir a TAS total, sem eventos importantes de segurança. Ressalta-se que o tamanho da população foi pequeno, o que pode ter impactado nas análises realizadas.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104962>

ID – 1304

PROFILAXIA PERSONALIZADA BASEADA EM PK NA HEMOFILIA: ADESAO, SANGRAMENTOS E IMPACTO ECONÔMICO EM CENTRO PÚBLICO

DRCd Silva^a, GALd Santos^a, TM Amorim^a, DMdC Rocha^a, MdPSV Orletti^a, ASS Zetum^b,