

# CARACTERIZAÇÃO DOS PACIENTES PEDIÁTRICOS HEMOFÍLICOS TRATADOS EM UM CENTRO DE REFERÊNCIA DE SANTA CATARINA - UMA DÉCADA DA IMPLEMENTAÇÃO DO PROTOCOLO DE USO DE PROFILAXIA PRIMÁRIA

Donadel JSF<sup>1</sup>, Franco VKB<sup>1</sup>, Nunes AL<sup>1</sup>, Souza CC<sup>1</sup>, Nascimento FDB<sup>1</sup>, Silveira SR<sup>1</sup>, Souza LA<sup>1</sup>, Ferreira-Filho JSS<sup>1</sup>, Iop RR<sup>1</sup>, Genovez G<sup>1</sup>

<sup>1</sup> Centro de Hematologia e Hemoterapia de Santa Catarina (HEMOSC), Florianópolis, SC – Brasil

## Introdução

A hemofilia é uma doença hereditária e genética causada pela diminuição ou ausência de determinados fatores da coagulação, mais comumente fator VIII (hemofilia A) e fator IX (hemofilia B). A profilaxia primária, que compreende a infusão regular e contínua de concentrados de fator de coagulação, é considerada a abordagem mais eficaz no tratamento destes pacientes, visto que eleva o nível do fator reduzido de grave para moderado/leve, diminuindo a ocorrência de sangramentos espontâneos<sup>1</sup>.

## Objetivo

Descrever o perfil clínico e terapêutico dos pacientes pediátricos hemofílicos incluídos no protocolo de profilaxia primária nos 10 anos de implementação do protocolo em um centro de referência de tratamento do Estado de Santa Catarina.

## Materiais e Métodos

Estudo de coorte, descritivo, retrospectivo, observacional. Foram incluídos todos os pacientes pediátricos hemofílicos incluídos no programa de profilaxia primária que iniciaram o tratamento nos ambulatorios dos Centros de Hematologia e Hemoterapia de Santa Catarina, localizados nas cidades de Blumenau, Chapecó, Criciúma, Florianópolis, Joinville, Lages/SC, dentre o período de janeiro/2012 a dezembro/2022.

## Resultados

Foram incluídos 48 pacientes, com mediana de idade de início da profilaxia primária de 14,5 meses (IIQ 10-21). Cerca de 81% dos pacientes iniciaram a profilaxia uma vez por semana com uma média de dose de fator VIII recombinante de 46,4 UI/kg ( $\pm$  11,72). As características clínicas estão dispostas na tabela 1.

Tabela 1 – Características clínicas dos pacientes (n=48)

Variáveis	n	%
<b>Diagnóstico</b>		
Hemofilia A (deficiência de fator VIII)	47	97,9
Hemofilia B (deficiência de fator IX)	1	2,1
<b>Gravidade da hemofilia</b>		
Moderada	6	12,5
Grave	42	87,5
<b>Motivo para 1º tratamento</b>		
Profilaxia primária	19	39,6
Sangramento	29	60,4
<b>Iniciou profilaxia nos primeiros 50 DE ao fator</b>		
Sim	34	70,8
Não	14	29,2
<b>Desenvolveu inibidor</b>		
Sim	15	31,3
Não	33	68,7
<b>Tipo de Inibidor</b>		
Baixo risco	3	20,0
Alto risco	12	80,0

Legenda: n, frequência absoluta; %, frequência relativa; DE, dias de exposição

Em termos de frequência de pesquisa do inibidor, somente um paciente realizou a dosagem do inibidor nos primeiros 10 dias de início da profilaxia. 47,9% dos pacientes não coletaram inibidor nos primeiros 50 dias de início da profilaxia; 39,6% coletaram uma só vez e 12,5% coletaram duas ou mais vezes.

Atualmente, 34 pacientes continuam no programa de profilaxia primária, 6 estão na profilaxia secundária de longa duração após término da imunotolerância, 4 estão utilizando Emicizumab, 3 estão no protocolo de imunotolerância e um paciente foi a óbito.

## Conclusões

A adoção da profilaxia primária nos pacientes pediátricos precocemente resulta em melhores resultados em termos de prevenção de sangramentos e artropatia, e o conhecimento do perfil clínico dos pacientes em uso da profilaxia primária auxilia no aprimoramento de condutas e manejo clínico destes pacientes.