

AUDIÊNCIA PÚBLICA, BRASÍLIA

18 JUNHO 2024

HEMOFILIA

- O QUE É
- TRATAMENTO ATUAL
- O QUE PODE SER FEITO PARA MELHORAR A VIDA DOS PACIENTES

Sylvia Thomas, MD, PhD
sylviahemato@gmail.com

Hemofilia e outras Doenças Hemorrágicas

Deficiência de um dos fatores da coagulação

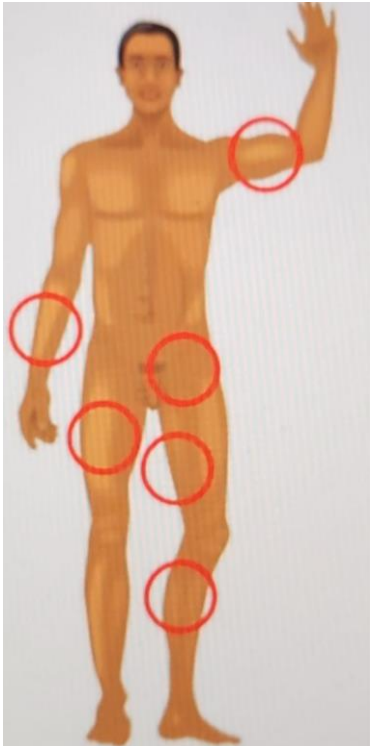
- Hemofilia A (deficiência Fator VIII) 80% casos
- Hemofilia B (deficiência Fator IX)

- Doença de von Willebrand
- Coagulopatias raras: afibrinogenemia e disfibrinogenemia, fatores II,V,VII,X,XI,XIII e deficiências combinadas

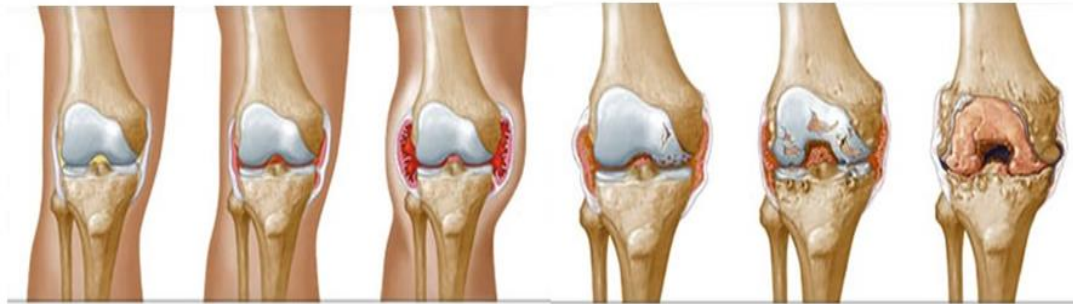
Hemofilia

Manifestações: hemorragias internas e externas

Hematoma dentro de músculos ↓



Hemartrose (hemorragia dentro das articulações) ↓



Recurrent
joint bleeds



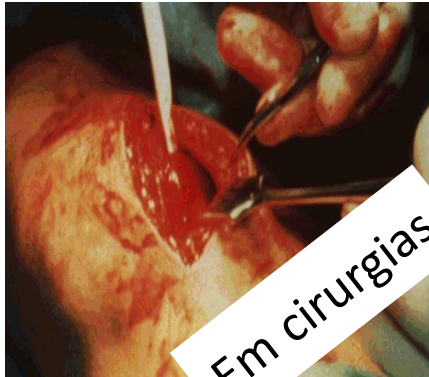
Haemophilic
synovitis



Haemophilic
Arthropathy

Em cirurgias
Na boca, língua
Hemorragia cerebral

Na vida real: DOR E/OU RISCO DE MORTE



Por traumatismo na boca, língua



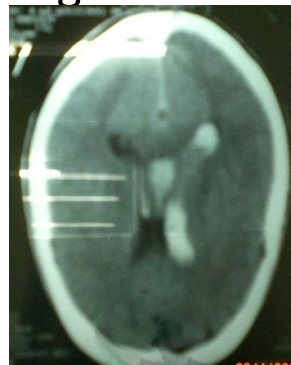
Hematoma dentro de músculos



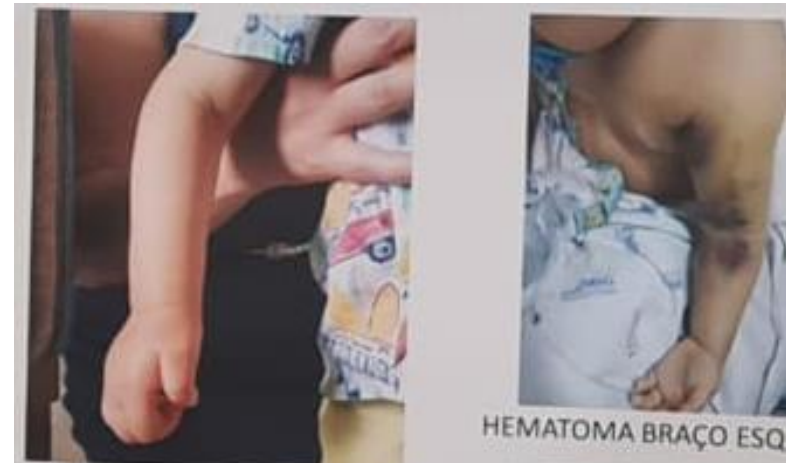
Cabeça e face



Hematomas subcutâneos

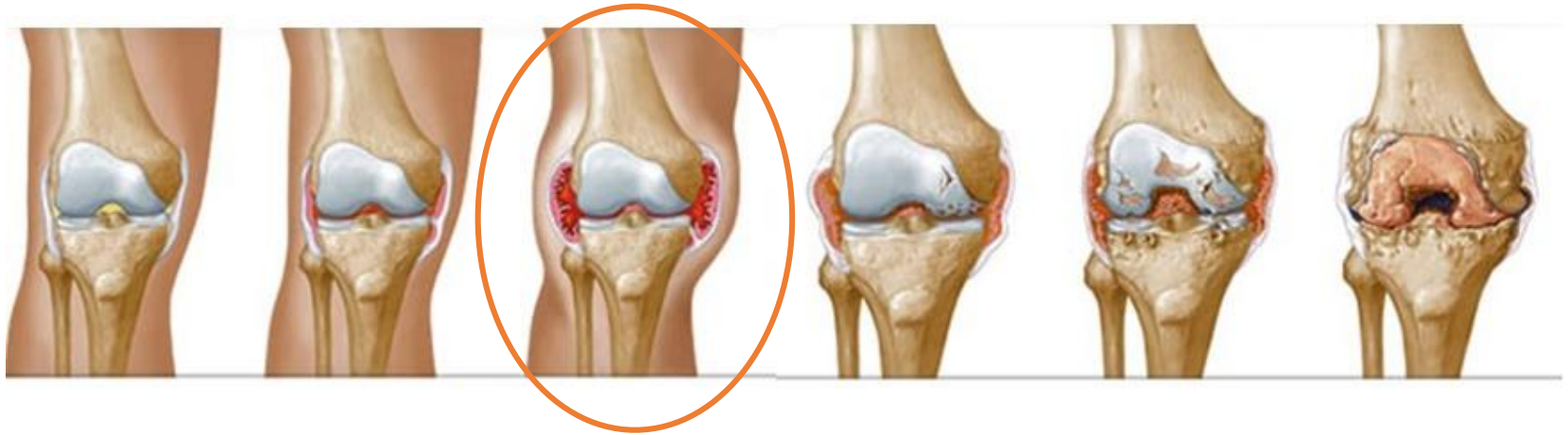


Hemorragia cerebral



Hematoma muscular com sequela mão direita

Artropatia hemofílica decorrente de sangramentos dentro das juntas: 80% das hemorragias na hemofilia são hemartroses



Recurrent
joint bleeds



Haemophilic
synovitis

Processos
simultâneos



Haemophilic
Arthropathy

Destruction of cartilage and bone

O primeiro sinal da artropatia é a SINOVITE

Sinais evidentes e “ocultos”. A equipe deve buscar, e não negar o sinal.
NÃO RECONHECER A SINOVITE leva a um ponto de não retorno para o paciente



Evidente



Evidente



“Oculto”



“Oculto”

Tratamento da Hemofilia



Profilaxia convencional: 1 a 3 infusões/ semana
Não consegue total sucesso pela dificuldade de acesso venoso e por baixas concentrações do fator, entre uma e outra dose

Concentrado Fator VIII (hemofilia A) ou IX (B)

- Em demanda: na vigência de sangramentos
- **Profilático: na prevenção dos sangramentos**
- A profilaxia 1a vez em **1958** na Suécia, com crioprecipitado e depois com os primeiros fatores plasmáticos existentes
- No Brasil a profilaxia foi instituída **em 2012**, com fatores recombinantes



Profilaxia convencional com fator VIII 1 a 3 infusões/ semana, na veia





Problemas com a profilaxia convencional com fator VIII: frequência das injeções na veia (1 a 3/ semana) e níveis do fator VIII entre uma e outra injeção não protegem das hemorragias.

Novos (mas nem tanto) tratamentos da hemofilia e outras tecnologias por vir

- Emicizumabe: anticorpo monoclonal injeções **SUBCUTÂNEAS a cada 1 ou 3 semanas**. Utilizado na rotina para os pacientes com hemofilia A, em outros países. No Brasil, ainda limitado a pacientes com anticorpos contra o fator VIII.
- Fatores VIII e IX de meia vida estendida, permitem menos injeções EV: têm registro na ANVISA mas não foram incorporados
- Fitusiran e outros, em processo de incorporação
- Terapia gênica – adultos, ainda em processo de incorporação

Novos (mas nem tanto) tratamentos da hemofilia e outras tecnologias por vir

- Radiosinoviotese – Infiltração articular ambulatorial, com resultado análogo à artroscopia e cirurgia aberta.
- Reduz de 20 a 2 hemartroses/ano.
- De 2003 a 2020 atendemos 1.500 pacientes de todo o país, mas a produção do radiofármaco foi interrompida.
- Preciso de ajuda do governo para retornar, na UFRJ e outros centros

Resultados de radiosinovioartesis

4 anos hemofilia A grave, inibidor de alta resposta, em uso de rFVIIa



Antes de RSO



3 meses
após RSO





Aos 5 anos de idade: Artropatia hemofílica

Radiossinoviotese + 1 ano de fisioterapia



Mesmo paciente
aos 12 anos

Reflexão

- Esperar que um país seja auto suficiente em todos os medicamentos é IRREAL. **Exemplo, anticorpos monoclonais para vários tipos de câncer e doenças auto imunes, medicamentos para doenças raras etc**
- A ciência avança e, na hemofilia, ela traz um divisor de águas para a vida do paciente
- A demanda dos pacientes é urgente
- A oferta de produtos que o Brasil produz deve ser **secundária** à necessidade, principalmente das crianças pequenas
- Se assim não fosse, só poderíamos consumir o que é produzido no país

- **COMO PEDIATRA:** luta intransigente pelos pequenos pacientes
- **COMO HEMATOLOGISTA:** luta incansável pelo acesso às tecnologias que salvem os pacientes do destino da incapacidade física
- **NOSSO SUS é para todos**

