O que é **hemofilia A**?

Hemofilia é um **distúrbio hemorrágico grave** na grande maioria dos casos, **hereditária**, no qual o **sangue não coagula como deveria**, resultando em sangramentos de difícil controle que pode ocorrer espontaneamente ou depois de um pequeno trauma.

Pode **reduzir significativamente a qualidade de vida** das pessoas afetadas, familiares, amigos e cuidadores.[1]

Hemofilia A é a forma mais comum e afeta

~320.000 **pessoas em todo o mundo.**[2,3]

50%–60% das quais têm hemofilia grave.[4]

O que ocorre no sangue de uma pessoa com **hemofilia A**?

Em pessoas saudáveis, proteínas chamadas **fatores de coagulação** atuam juntas formando um coágulo que ajuda a parar o sangramento.

Pessoas com hemofilia A **não produzem** ou produzem pouco o

fator VIII

de coagulação e por isso o seu sangue não coagula adequadamente.

Sem tratamento, as pessoas com **hemofilia** podem sofrer:

Equimoses

Sangramentos repetidos nos músculos e articulações, que podem causar **incapacidade crônica ou doença articular.**[4]

Sangramento espontâneo, que ameaça a vida se ocorre em **órgãos vitais**, como o cérebro.

Sangramento prolongado e de difícil controle após lesão ou cirurgia.[5,7]

A vida com **hemofilia.** O **impacto do tratamento:**

A vida das pessoas com hemofilia e dos seus cuidadores **gira em torno das infusões terapêuticas**, que tomam muito tempo e têm um **impacto significativo na vida de todos.**[8]

Pessoas com hemofilia A relatam dificuldade para **equilibrar o tratamento com a vida diária**, por isso a adesão pode ser um problema,[8,9,10] tornando-as **vulneráveis a sangramentos potencialmente perigosos.**

Reposição de **fator VIII**

A base do tratamento atual da hemofilia A **é a terapia de reposição de fator VIII**, que pode ser **sob demanda** (quando necessário para tratar sangramentos) ou **profilaxia** (para prevenção de sangramentos).

Essa terapia é de **ação curta** e precisa **ser administrada com frequência** (ao menos 2 vezes por semana)[7] **pelo paciente ou um cuidador**. Às vezes, especialmente em crianças, pode ser difícil achar uma veia para infusão.[11]

Tratando os inibidores: **ITI e agentes de bypass**

Uma em cada quatro (25%–30%) pessoas com **hemofilia A** grave **desenvolve 'inibidores' das terapias de reposição de fator VIII.**[12]

Pessoas com hemofilia A e inibidores podem precisar de **infusões terapêuticas mais frequentes**, além de um tratamento chamado **'imunotolerância'**, que se caracteriza pelo uso de doses muito altas de fator VIII por tempo prolongado.

No entanto, a ITI pode levar vários anos, tem custo muito alto e **é ineficaz em ~30%** das pessoas.[13,14]

Os inibidores são **anticorpos que atacam e destroem o fator VIII de reposição** porque ele é reconhecido como estranho.[12] Por ser uma **séria complicação** do tratamento,[14] muitas pessoas com hemofilia A **vivem com medo** de desenvolver inibidores.

'Agentes de bypass' são outro tratamento para pessoas com inibidores, quase sempre usados depois da falha do ITI. Porém, eles têm **ação curta, precisam ser usados com frequência e seu controle do sangramento é variável.**[12]

Outras opções terapêuticas efetivas e seguras são necessárias para pessoas com **hemofilia A** de modo a controlar melhor a doença e permitir que elas vivam suas vidas com **menor impacto do tratamento.**

Referências

1. Fissel E, et al. Illustrating the impact of mild/moderate and severe haemophilia on health-related quality of life: hypothesised conceptual models. European Journal of Haematology 2014; 001 (Suppl. 75): 8–18. **2.** WFH. Guidelines for the management of hemophilia. 2012. Last accessed 21 October 2015: http://www1.wfh.org/publications/files/pdf-1423.pdf. **3.** Berntorp E, Shapiro AD. Modern haemophilia care. The Lancet 2012; 379:1447–1456. **4.** Mander VJ, et al. Hemostasis and Thrombosis. Basic Principles and Clinical Practice. 6th Edition. 2010. Mikaelsen. Wisconsin: Lippincott Williams and Wilkin. **5.** Kavakcioglu M, Mannucci PM. Hemophilia A in the third millennium. Blood Rev 2013;139–46. **6.** Young G. New challenges in hemophilia: long-term outcomes and complications. Hematology: An Sec Hematol Educ Program 2012; 2012: 382–8. **7.** Zanon E, Iorio A, Bucciol A, et al. Intracranial haemorrhage in the Italian population of haemophilia patients with and without inhibitors. Haemophilia 2012; 18: 39–45. **8.** Critser Lucas A, Viola Q, Kirchner S. The Changing Costs of Caring for Hemophilia Patients in the U.S.: Insurers' and Patients' Perspectives. Presented at: American Society of Hematology Annual Meeting; December 6-9, 2014; San Francisco, CA. Abstract # 1181 **9.** Rerme T. Predictors of treatment difficulties and satisfaction with haemophilia therapy in adult patients. Haemophilia 2011; 17:e601–e605. **10.** Hacker MR, et al. Barriers to compliance with prophylaxis therapy in haemophilia. Haemophilia. 2011; 7: 350–4. **11.** Lyng R. The risk associated with indwelling catheters in children with haemophilia. British Journal of Haematology 2007; 138: 580–584. **12.** Gomez K, et al. Key issues in inhibitor management in patients with haemophilia. Blood Transfus. 2014; 12: e319–e328. **13.** Whelan SF, et al. Distinct characteristics of antibody responses against factor VIII in healthy individuals and in different cohorts of hemophilia A patients. Blood 2018; 131: 1838–44. **14.** Ackermark S. Overview of Inhibitors. Semin Hematol 2006; 43 (suppl 4):S3–S7. **15.** Blanco A, et al. Immune tolerance induction in patients with haemophilia a and inhibitors: effectiveness and cost analysis in an European Cohort (The ITER Study). Haemophilia 2010; 16. **16.** Valentino L A, et al. US Guidelines for immune tolerance induction in patients with haemophilia A and inhibitors. Haemophilia 2015; 21: 169–67. **17.** Berntorp E. Differential response to bypassing agents complicates treatment in patients with haemophilia and inhibitors. Haemophilia. 2008; 10: 3–10.

ABRIL/2017 – BR/NBSPE/0117/0001a

APOIO:

ABRAPH
ASSOCIAÇÃO BRASILEIRA DE HEMOFILIA