Relatório Específico

Resultados da Pesquisa

MAPEAMENTO DA JORNADA DO PACIENTE MENOR DE 6 ANOS COM HEMOFILIA A GRAVE NO BRASIL



Relatório Específico | Recorte de resultados da Pesquisa Geral, com destaque às respostas dos participantes cuidadores de pacientes com hemofilia A grave ou com nível de atividade de fator VIII inferior a 2%, sem anticorpos inibidores do fator VIII, com até 6 anos de idade

Realização: ABRAPHEM Associação Brasileira de Pessoas com Hemofilia

Coordenação Científica: Supera Consultoria Projetos Estratégicos, ATS e Pesquisas em Saúde

Investimento: Roche

Julho de 2025

Autoria

Realização:

ABRAPHEM - Associação Brasileira de Pessoas com Hemofilia
Coordenação Técnica | ABRAPHEM:
Mariana Battazza - Presidente ABRAPHEM
Indianara Galhardo - Vice-Presidente ABRAPHEM

Coordenação Científica (Desenho metodológico, análise e redação):

Supera Consultoria | Projetos Estratégicos, ATS e Pesquisas em Saúde
Coordenação Científica:
Dr. Vinícius Bednarczuk de Oliveira
MSc. Verônica Bednarczuk de Oliveira

Investimento:

Roche Produtos Químicos e Farmacêuticos

Diagramação:

Agência Contegia
Supera Consultoria | Projetos Estratégicos, ATS e Pesquisas em Saúde

Dados Internacionais de Catalogação na Publicação (CIP)
(Câmara Brasileira do Livro, SP, Brasil)

Mapeamento [livro eletrônico] : a jornada do paciente menor de 6 anos com hemofilia a grave no Brasil / Mariana Battazza, Indianara Galhardo ; coordenação Vinícius Bednarczuk de Oliveira, Verônica Bednarczuk de Oliveira. -- 1. ed. -- São Paulo : ABRAPHEM, 2025.
PDF

Bibliografia.
ISBN 978-65-987941-0-1

1. Hemofilia 2. Hemofilia - Tratamento 3. Hematologia pediátrica I. Batazza, Mariana. II. Galhardo, Indianara. III. Oliveira, Vinícius Bednarczuk de. IV. Oliveira, Verônica Bednarczuk de.

CDD-618.9215
25-284416 NLM-WH-100

Índices para catálogo sistemático:

1. Hemofilia : Hematologia pediátrica : Ciências médicas 618.9215

Aline Graziele Benitez - Bibliotecária - CRB-1/3129

Sumário

4 INTRODUÇÃO

5 RESUMO EXECUTIVO

9 BREVE REVISÃO DA LITERATURA

14 METODOLOGIA

17 RESULTADOS

55 CONSIDERAÇÕES FINAIS

56 REFERÊNCIAS

Introdução

Hemofilia A Grave na Primeira Infância: *evidências para equidade e priorização no cuidado*

Cuidar de uma **criança com hemofilia A grave é um desafio que ultrapassa as questões clínicas**. A rotina dessas famílias é marcada por **vigilância constante, adaptações frequentes e decisões difíceis que impactam diretamente a saúde da criança,** sua participação na escola, suas relações sociais e a organização de toda a estrutura familiar. Compreender essa realidade em profundidade é essencial para o fortalecimento das políticas públicas e para o desenvolvimento de estratégias de cuidado mais humanas, eficientes e centradas nas necessidades reais de pacientes e cuidadores.

Foi com esse propósito que a **Associação Brasileira de Pessoas com Hemofilia (ABRAPHEM)**, com coordenação científica da Supera Consultoria em Projetos Estratégicos, ATS e Pesquisas em Saúde, e investimento da Roche, realizou a **pesquisa nacional "Jornada do Cuidador e do Paciente com Hemofilia A e B no Brasil"**. O estudo teve como objetivo mapear os desafios enfrentados por pessoas com hemofilia e seus cuidadores em diferentes fases da vida, a fim de identificar barreiras de acesso, práticas de cuidado e percepções sobre qualidade de vida e bem-estar.

Este relatório, por sua vez, apresentará um recorte específico desta investigação: os dados e percepções compartilhados por cuidadores de crianças com hemofilia A grave definida por atividade de fator VIII inferior a 2%, sem inibidores, com até 6 anos de idade.

A decisão de aprofundar esse recorte decorre da singularidade dos **desafios enfrentados na primeira infância**, período marcado por intenso desenvolvimento físico e emocional, alta dependência de cuidado e maior vulnerabilidade a complicações clínicas. Nessa fase, aspectos como a via de administração intravenosa, a frequência das infusões e a necessidade de deslocamentos constantes para centros especializados impõem barreiras significativas à adesão ao tratamento e afetam diretamente a rotina familiar.

Os dados apresentados aqui **ampliam a compreensão sobre esse grupo específico e revelam lacunas que ainda persistem na rede de atenção.** Ao trazer à tona essas vivências, o estudo contribui com evidências para a formulação de políticas públicas mais responsivas e para o aprimoramento das práticas de cuidado, promovendo equidade e qualidade de vida para crianças com hemofilia A grave e suas famílias.

Boa leitura,
Mariana Battazza - Presidente ABRAPHEM

Resumo Executivo

Neste resumo executivo, serão destacados ***principais achados e mensagens-chave do conteúdo deste relatório,*** *antecipando os pontos de maior relevância que serão explorados em detalhe ao longo deste relatório.*

Após o resumo executivo, será possível conhecer em detalhes os resultados oriundos da participação dos ***Cuidadores de crianças com Hemofilia A grave, definida por atividade de fator VIII inferior a 2%, sem inibidores, com até 6 anos de idade****, oferecendo uma análise aprofundada neste subgrupo, fornecendo dados concretos que poderão auxiliar em futuras decisões em saúde.*

Metodologia & Representatividade da Amostra:

- A pesquisa nacional ”Mapeamento da Jornada de Pacientes e Cuidadores com Hemofilia A e B” contou com 312 participantes. **Neste relatório será apresentado um recorte de 51 cuidadores de crianças com hemofilia A grave, sem inibidores, com até 6 anos de idade,** o que corresponde a **8,3% da população estimada com esse perfil no Brasil** (*conforme o relatório de Coagulopatias Hereditárias do Ministério da Saúde, 2023*).

- A coleta foi realizada por meio de **questionário estruturado**, composto por perguntas fechadas, amplamente divulgado pelos canais da **ABRAPHEM**.

- O projeto foi aprovado pelo **Comitê de Ética em Pesquisa** (**CEP nº 7.499.488**), e aplicada de forma padronizada, com questionário estruturado.

- Os **participantes** estão distribuídos em **15 estados,** conferindo representatividade geográfica e diversidade socioeconômica à análise.

Resumo Executivo

Adesão:

*Crianças de **0 a 6 anos** enfrentam barreiras específicas no uso da profilaxia*

Apesar da disponibilidade do fator VIII no SUS, **a adesão ao tratamento nesta faixa etária pode ser comprometida por barreiras técnicas, emocionais e logísticas.** A equidade exige o reconhecimento dessas limitações, políticas públicas de saúde e oferta de modelos terapêuticos mais viáveis.

59% dos participantes afirmaram que as infusões são feitas **fora do domicílio**, revelando **dependência de serviços de saúde** e barreiras na autonomia do cuidado.

Entre os que afirmaram realizar a aplicação em casa, **47,1% relatam dificuldade de acesso venoso** e **60,9% precisam de múltiplas tentativas** para realizar a infusão.

27,5% **dos cuidadores relataram perda de medicamento,** seja por dificuldades no acesso venoso ou por outros motivos.

35,3% **das famílias** levam mais de **2 horas** até o centro de tratamento **30% passam mais de 4 horas** no deslocamento total.

82,4% dos participantes desta pesquisa são **mães de pacientes**

70% dos cuidadores **relataram alterações em sua vida profissional**, dos quais **35,3% deixaram de trabalhar**, e **23,5% reduziram a jornada profissional.**

Impactos também são observados na vida escolar da criança:

49% apontaram interferência da condição no **acompanhamento ou frequência às aulas.**

Resumo Executivo

Impacto Clínico:

persistência de eventos graves, mesmo com a profilaxia

Mesmo com o uso regular de fator VIII, os resultados indicam que o subgrupo de crianças com até 6 anos apresenta **alta incidência de eventos clínicos graves.**

Os dados sugerem que o **modelo atual de cuidado pode não ser suficiente para proteger este subgrupo das intercorrências hemorrágicas e suas consequências negativa**s, da forma como o tratamento profilático preconiza.

A persistência de eventos graves pode apontar para uma necessidade de revisão das estratégias terapêuticas adotadas.

Entre os pacientes que revelaram ter prescrição de **3 infusões semanais** (**72,5% da amostra**):

- ***52% tiveram ≥3 sangramentos no último ano***
- ***33% relataram ≥6 sangramentos no último ano***

70,6% apresentaram episódios de hemartroses, demonstrando recorrência de sangramentos articulares **mesmo em uso contínuo de Fator VIII,** e destes, **21,6% revelaram ter tido 4 ou mais hemartroses no último ano.**

11,8% sofreram hemorragia intracraniana ao longo da vida, evidenciando o risco vital mesmo com terapia disponível e **11,8% desenvolveram artropatia hemofílica**, condição que já se manifesta na infância, com impacto permanente na funcionalidade.

5,9% revelaram já ter sido submetidos a procedimentos ortopédicos, revelando a gravidade das complicações.

Resumo Executivo

O que desejam os cuidadores:

Quando perguntados sobre
melhorias desejadas no tratamento:

92% apontaram o desejo por **terapias menos invasivas** como prioridade

76% desejam **maior acesso a tratamentos avançados**

67% gostariam que houvesse uma **menor frequência de infusões**

Os dados previamente apresentados neste Resumo Executivo já apontam para a realidade de que **crianças na primeira infância com hemofilia A grave enfrentam barreiras** específicas de adesão e permanecem vulneráveis a eventos clínicos graves, mesmo com o tratamento atualmente disponível. Este subgrupo requer respostas diferenciadas **nas decisões** sobre políticas públicas, acesso e incorporação de tecnologias em saúde inovadoras. As evidências reforçam a **urgência por modelos terapêuticos mais adequados à infância, menos invasivos e mais eficazes**, que promovam equidade e reduzam a sobrecarga familiar.

Convidamos à **leitura completa deste relatório e da versão integral da pesquisa nacional, também apresentada pela ABRAPHEM**, que contribui pela ampliação da compreensão sobre os desafios da hemofilia no Brasil sob diferentes perspectivas de pacientes e cuidadores.

Breve Revisão da Literatura

O que é Hemofilia A

A hemofilia é uma **doença rara e hereditária do sangue**, caracterizada por uma condição hemorrágica resultante da **deficiência ou do mau funcionamento de proteínas essenciais para o processo de coagulação,** conhecidas como fatores de coagulação[1]. No caso da **hemofilia A,** a forma mais comum da doença[1], há **deficiência do fator VIII,** decorrente de um padrão de herança ligado ao cromossomo X[3]. Entretanto, cerca de 30% dos casos resultam de mutações de novo, ou seja, ocorrem espontaneamente, sem histórico familiar prévio[2].

A severidade da hemofilia varia conforme os níveis circulantes do fator VIII de coagulação, sendo classificada como:

GRAVE
atividade **< 1%**

MODERADA:
atividade **1 a 5%**

LEVE:
atividade **5 a 40%**[1]

Breve Revisão da Literatura

Dados Epidemiológicos



No Brasil, de acordo com o relatório Sistematização de Dados de Coagulopatias Hereditárias de 2023[2], foram registrados **11.618 pacientes diagnosticados com hemofilia A**, sendo 98,52% do sexo masculino. Entre esses pacientes, **580 têm até 4 anos de idade, e 871 estão na faixa etária de 5 a 9 anos.** Quanto à gravidade, **5.178 casos (44,56%) foram classificados como hemofilia grave.**

Complicações clínicas associadas

Pacientes com **formas mais graves são mais suscetíveis a sangramentos espontâneos**, principalmente em articulações e músculos, o que pode gerar complicações ortopédicas e limitações funcionais ao longo do tempo[4]. Também há risco de **eventos potencialmente fatais, como hemorragias intracranianas e sangramentos no sistema nervoso central** (SNC), que representam ameaça significativa à vida e à integridade neurológica[5].

Em crianças, o manejo torna-se ainda mais desafiador devido à dificuldade de acesso venoso, o que pode comprometer a regularidade e a efetividade das infusões[6], elevando o risco de complicações como a síndrome compartimental.

Breve Revisão da Literatura

Primeira Infância e vulnerabilidades no desenvolvimento

A **primeira infância**, que compreende a fase até os seis anos de idade, é um **período essencial para o desenvolvimento físico, motor, cognitivo e psicossocial da criança.** Estima-se que, nessa fase, o cérebro forme cerca de um milhão de conexões neurais por segundo, e que, ao final deste período, cerca de 90% delas já estejam estabelecidas[7]. Além de ser decisiva para o desenvolvimento de habilidades cognitivas, **essa etapa é também marcada por importantes transformações no sistema circulatório, que, quando associada a condições como a hemofilia, pode aumentar significativamente a vulnerabilidade a eventos hemorrágicos.**

A primeira infância também é determinante para o desenvolvimento da capacidade de adaptação, da resiliência diante de situações adversas e das competências socioemocionais que acompanharão o indivíduo ao longo da vida. Trata-se de uma fase marcada por intensas descobertas, crescimento da autonomia, aumento da mobilidade e, consequentemente, **maior risco de traumas físicos,** o que torna a hemofilia ainda mais desafiadora nesse contexto[8,9]. Diante disso, **o controle clínico da doença exige intervenções terapêuticas consistentes desde os primeiros anos de vida, com o objetivo de prevenir sangramentos, proteger a integridade articular e preservar o potencial funcional e social da criança** [10,11].



Breve Revisão da Literatura

Tratamento

Embora a profilaxia com fator VIII esteja disponível no Brasil, é possível observar com **os resultados desta pesquisa, associado aos dados disponíveis na literatura, desafios substanciais na jornada destes pacientes e seus cuidadores.** Sua aplicação pode impor alguns desafios importantes na jornada dos pacientes e seus cuidadores, como por exemplo:

- **Infusões frequentes e intravenosas (via de administração mais invasiva)**
- **Dificuldade de acesso venoso**
- **Risco de contaminação associado ao uso de cateter venoso**
- **Falta de acesso à profissionais da saúde capacitados**
- **Logística de deslocamento até centros de tratamento**
- **Necessidade de apoio técnico para administração**

Além disso, os resultados aqui apresentados indicam que cuidadores desejam por esquemas terapêuticos com **menor frequência de infusões,** por vias de administração **menos invasivas** e que facilitem o manejo clínico no domicílio.

O uso da profilaxia com fator VIII é considerado padrão de cuidado, promovendo maior proteção contra hemorragias articulares e musculares, que são recorrentes em crianças com formas graves ou moderadas da doença[1,11,12].

Contudo, **atualmente, alternativas terapêuticas menos invasivas e com potencial para redução de sangramentos vêm sendo incorporadas à prática clínica, oferecendo maior conforto, melhor adesão ao tratamento e potencial redução da sobrecarga para as famílias**[13,14].



O sucesso terapêutico não depende somente da adesão ao tratamento.

Depende também uma **rede de apoio bem estruturada, que envolva a família, a equipe de saúde e os serviços de educação**[1,15].

A **sobrecarga emocional, os desafios logísticos e as limitações impostas pela condição** tornam os cuidadores, sobretudo mães, peças centrais na gestão da doença[13,16,17].

Compreender suas rotinas, estratégias de enfrentamento e vulnerabilidades é essencial para o aprimoramento das práticas assistenciais e para o fortalecimento de políticas públicas que contemplem as especificidades da hemofilia na infância.



METODOLOGIA

Metodologia

Etapas da Pesquisa

A presente análise integra um estudo nacional mais amplo publicado pela ABRAPHEM em 2025, nomeado "**Jornada do cuidador e do paciente com hemofilia A e B no Brasil**".

Este **relatório específico apresenta um recorte** relativo aos resultados obtidos a partir da participação dos **Cuidadores de Pacientes com hemofilia A, grave** ou com nível de atividade de fator VIII inferior a 2%, **sem anticorpos inibidores** do fator VIII, com **até 6 anos** de idade no início do tratamento.

Aprovação ética e Participação: Projeto apresentado **(CAAE: 85171524.3.0000.5573)** e aprovado pelo Comitê de Ética em Pesquisa (CEP) sob n. **7.499.488.**
A participação dos respondentes foi voluntária e condicionada à assinatura do Termo de Consentimento Livre e Esclarecido (TCLE), em conformidade com os princípios éticos de pesquisa envolvendo seres humanos.

Instrumento de coleta: Questionário estruturado com **perguntas fechadas**, distribuídas em **blocos temáticos, autopreenchido pelos participantes.**

Período e meio de aplicação: Aplicação online via plataforma digital, com ampla divulgação pelos canais oficiais da **ABRAPHEM** (site, mídias sociais, newsletters, informativos, entre outros), entre **janeiro e abril de 2025.**

Critério de inclusão para este recorte:
Neste recorte específico, foram **analisados exclusivamente** os dados fornecidos por **cuidadores** de **pacientes com hemofilia A**, **grave** ou com nível de atividade de fator VIII inferior a 2%, **sem anticorpos inibidores do fator VIII**, com até **6 anos de idade** no início do tratamento.

Amostra

- **Total de participantes na pesquisa geral:**
  312 participantes

- **Participantes elegíveis neste recorte** *(cuidadores de pacientes com hemofilia A, grave ou com nível de atividade de fator VIII inferior a 2%, sem anticorpos inibidores do fator VIII, com até 6 anos de idade no início do tratamento):* **51 participantes**

- **População estimada com este perfil no Brasil:**
  615 crianças

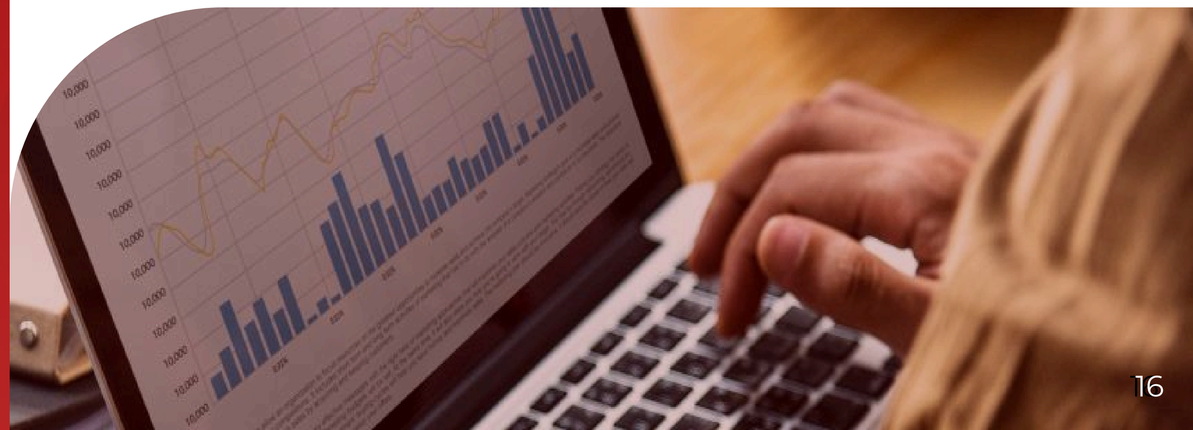
- **Representatividade da amostra:**
  8,3% do total estimado de pacientes com hemofilia A grave, sem inibidores, com até 6 anos no Brasil. Trata-se, portanto, de uma amostra relevante para compreender o panorama nacional dessa população específica

- Como os **dados foram obtidos por meio de relato autopreenchido,** é possível que ocorram variações na interpretação das perguntas por parte dos respondentes. No entanto, todas as questões foram acompanhadas de explicações por escrito com o objetivo de facilitar a compreensão e promover maior uniformidade nas respostas, sem comprometer a relevância das informações obtidas.

Análise de Dados

Os dados obtidos foram analisados com base em **estatística descritiva**, buscando identificar **padrões de resposta, frequência de eventos** e percepção dos cuidadores em relação à qualidade de vida, bem-estar emocional, impacto do tratamento e principais necessidades não atendidas. As informações foram organizadas em **categorias temáticas,** de forma a permitir uma compreensão estruturada e objetiva das experiências relatadas por esse grupo específico de participantes.

Adicionalmente, para fins de comparação e contextualização dos achados, na seção referente ao tratamento, alguns dos resultados deste recorte foram comparados graficamente com os dados do estudo completo, com o objetivo de enriquecer a análise, permitindo identificar possíveis tendências associadas à idade.





RESULTADOS

Resultados

Perfil do Paciente

Dados obtidos pela participação do Cuidador

Todos os pacientes representados neste recorte são **crianças com hemofilia A grave, definida por atividade de fator VIII inferior a 2%, sem inibidores, com até 6 anos de idade,** conforme informado pelos cuidadores (figura 1).

O **sexo predominante é o masculino,** como esperado pelo padrão genético da doença.

As **idades variam entre 0 e 6 anos**, faixa correspondente à primeira infância. A maioria das crianças está na fase de educação infantil, ainda sem alfabetização completa.

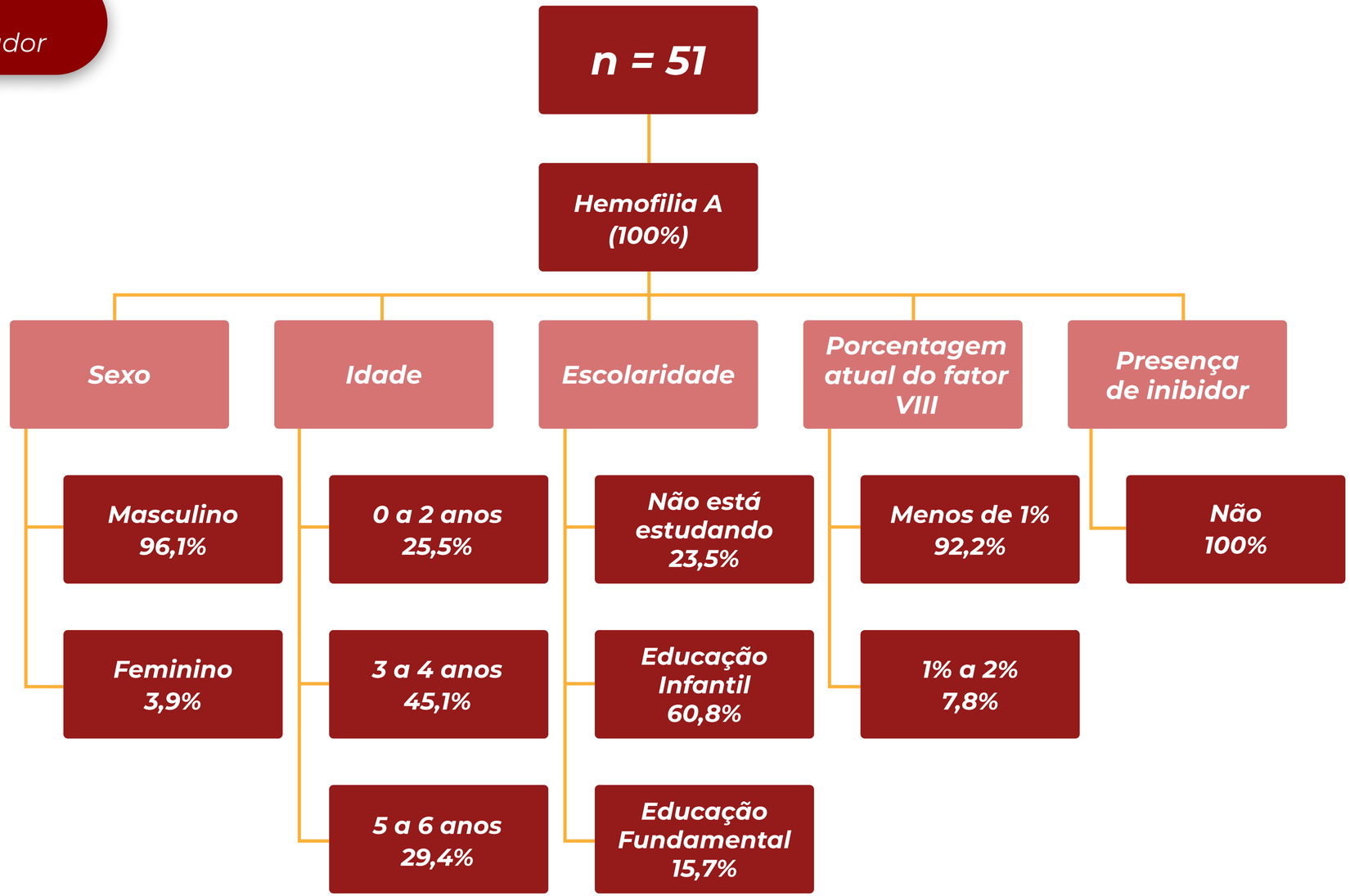


Figura 1 – Perfil dos pacientes participantes da pesquisa segundo dados informados pelos cuidadores

Perfil do Cuidador

de pacientes com hemofilia A menores de 6 anos

Parentesco com a criança

- **82,4%** Mãe
- **13,7%** Pai
- **3,9%** Avô/Avó

Faixa Etária do Cuidador

- **56,9%** 31 a 40 anos
- **23,5%** 20 a 30 anos

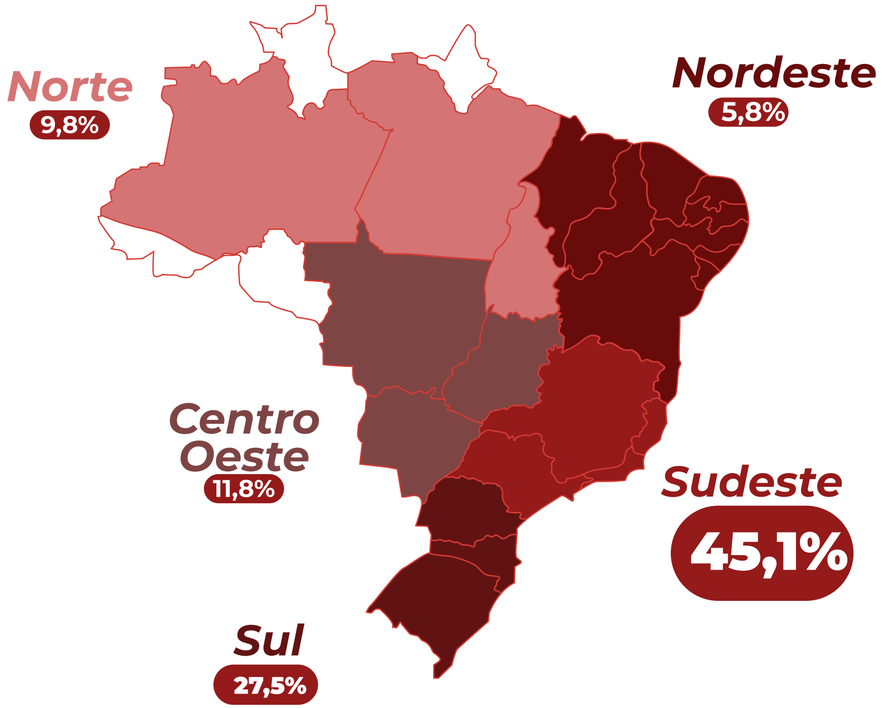
Escolaridade do cuidador

- **33,3%** Ensino superior completo
- **29,4%** Ensino médio completo
- **23,5%** Pós-graduação

Diversos estudos reforçam o **papel central desempenhado pelas mães no cuidado de crianças com doenças raras, incluindo a hemofilia.** Pesquisa realizada no Reino Unido[18] com crianças com hemofilia identificou que as mães eram responsáveis por 80% dos cuidados diretos, evidenciando a predominância materna na gestão da condição. Em outro estudo[19] com **famílias de pacientes com hemofilia grave, constatou-se que 71,4% dos cuidadores eram mães,** e que 50% delas assumiam integralmente a responsabilidade pelo manejo da doença. No Brasil, dados da Pesquisa Nacional dos Cuidadores de Pacientes Raros[20] corroboram essa tendência, apontando que as **mães representam 81% dos cuidadores de pessoas com doenças raras,** muitas vezes tendo que reorganizar suas vidas pessoais e profissionais para atender às demandas do cuidado.

Distribuição geográfica dos participantes

Participaram respondentes de **15 dos 27 estados brasileiros, com maior concentração nas regiões Sudeste e Sul** (figura 2), o que reflete a presença mais significativa de centros especializados nessas localidades.



A proporção de participantes desta pesquisa reflete, em termos percentuais, uma distribuição semelhante à observada no Relatório de Coagulopatias Hereditárias de 2023.

Figura 2 – Região dos participantes da pesquisa

Renda Familiar Mensal

Em relação à renda familiar mensal (gráfico 1), observou-se uma distribuição heterogênea, com destaque para dois grupos principais: 21,6% das famílias têm renda entre 1 e 2 salários mínimos, enquanto outros 21,6% possuem renda superior a 10 salários mínimos, revelando contrastes socioeconômicos importantes no perfil dos cuidadores.

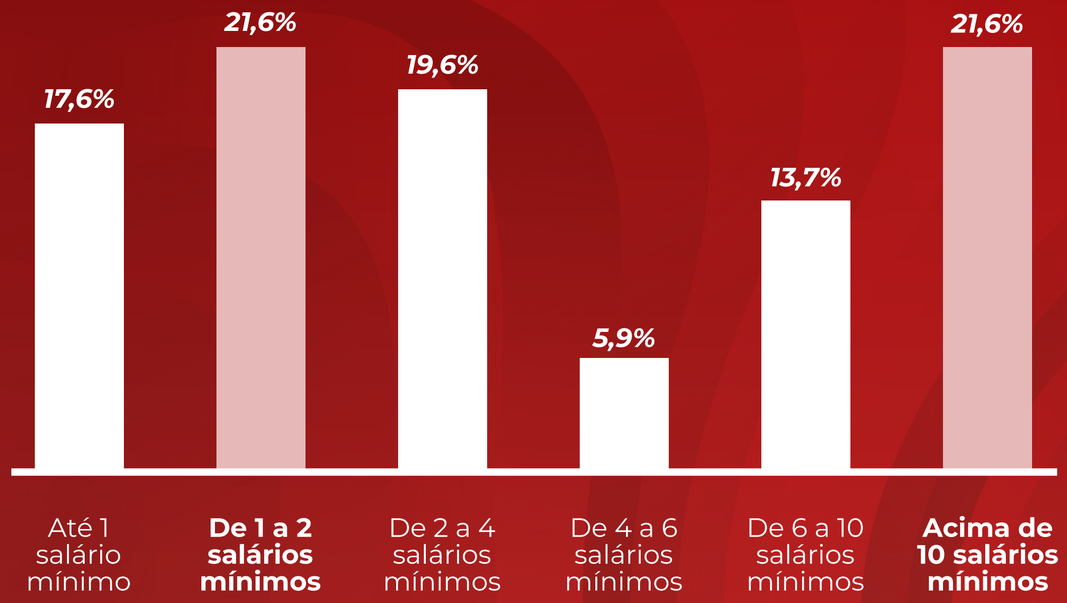


Gráfico 1 – Renda familiar mensal declarada pelos cuidadores

Considerando o salário mínimo nacional vigente (R$ 1.411,00). De acordo com data.worldbank.org, a renda nacional bruta média do Brasileiro em 2023 é de U$12.950/ano, equivalente a R$5.935/mês.

Idade do Diagnóstico

Os resultados indicam que a hemofilia foi identificada, na maioria dos casos ainda nos primeiros seis meses de vida (gráfico 2):

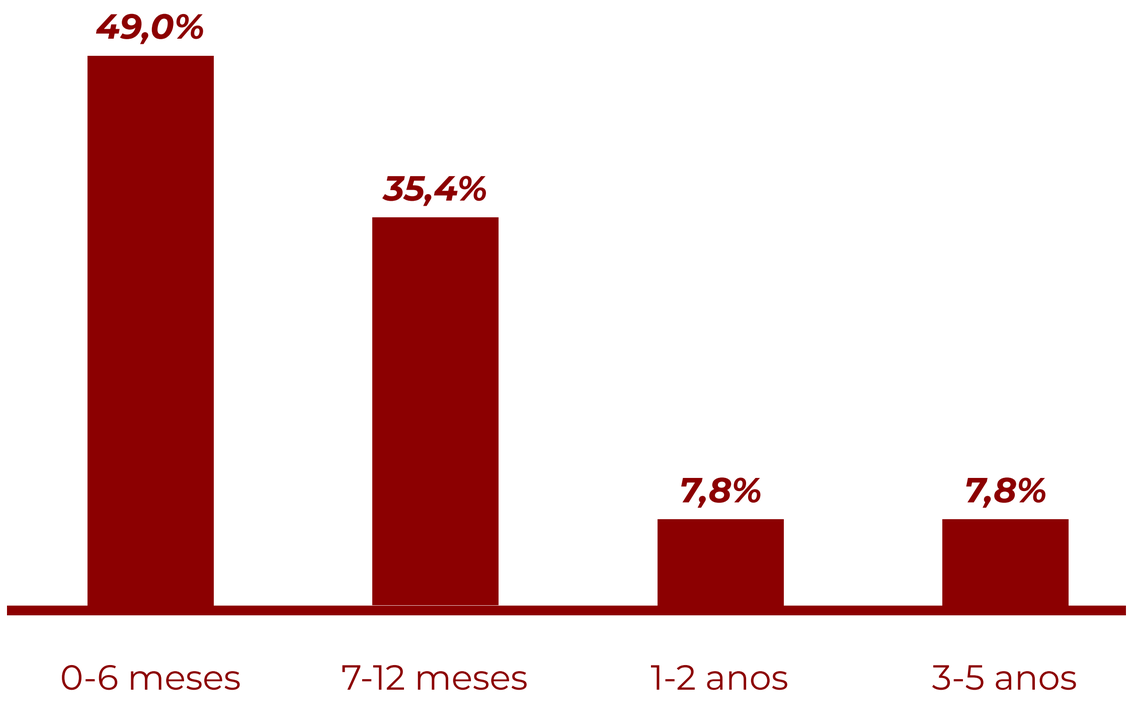


Gráfico 2 – Idade do diagnóstico de hemofilia

Principal Sinal de Alerta

O principal sinal de alerta relatado pelos cuidadores, como motivo que levou à investigação diagnóstica, foi:

60,8% ***Aparecimento de manchas roxas pelo corpo***

25,5% *Episódios de* ***sangramento prolongado***

O intervalo entre o surgimento dos primeiros sintomas e a confirmação do diagnóstico variou:

43,1% *dos casos, o diagnóstico ocorreu em* ***menos de um mês***

1,6% *o intervalo foi de* ***um a três meses***

7,9% *o tempo até a confirmação foi* **superior a um ano**

Tipo de instituição e profissional responsável pelo diagnóstico

Nota-se que a maioria dos diagnósticos foi realizada na **rede privada (41,2%)**, seguida pela **rede pública (33,3%)** e por **atendimentos mistos (25,5%)**, ou seja, que combinaram recursos públicos e privados.

Quanto ao profissional de saúde responsável pelo diagnóstico, o **hematologista** foi o mais frequentemente citado em todos os tipos de instituição, seguido por **pediatras** e, em menor proporção, por **clínicos gerais.**

Profissional	Rede Pública	Rede Privada	Atendimento Misto
Hematologista	**76,5%**	57,1%	69,2%
Pediatra	17,6%	**38,1%**	30,8%
Clínico Geral		4,8%	
Não informado	5,9%		

Esses dados reforçam a importância do **encaminhamento precoce para especialistas**, especialmente **hematologistas,** ainda que pediatras tenham participação relevante, sobretudo na rede privada.

Origem da Hemofilia e associação com o tempo até o diagnóstico

Sobre a origem da hemofilia, **52,9%** dos cuidadores relataram **histórico familiar** compatível com herança genética, enquanto **31,4%** indicaram que a condição foi atribuída a uma **mutação espontânea (de novo)**, sem histórico familiar prévio.

Ao analisar a associação entre o tempo até o diagnóstico e a origem da condição, observou-se que entre os **casos hereditários, 51,2% receberam o diagnóstico em menos de um mês após os primeiros sintomas**, enquanto esse percentual foi de **37,5% nos casos classificados como nova mutação.**

Já quando o **diagnóstico ocorreu entre 1 e 6 meses**, a proporção se inverte: **43,8% dos casos por nova mutação foram identificados nesse intervalo,** frente a **33,3% nos casos com histórico familiar.**

*Esses achados sugerem que o **conhecimento prévio sobre a condição favorece uma maior vigilância dos sinais clínicos precoces**, consequentemente, para o diagnóstico mais rápido.*



Tratamento

Conforme o Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas[21] (PCDT) de 2022, o tratamento padrão para pacientes pediátricos com hemofilia A grave é a profilaxia primária com fator VIII recombinante de meia-vida padrão, disponibilizado pelo Sistema Único de Saúde (SUS). O objetivo dessa estratégia é prevenir sangramentos e minimizar complicações musculoesqueléticas ao longo do tempo. **Apesar da disponibilidade do fator VIII, a adesão à profilaxia é um dos principais desafios enfrentados por famílias e cuidadores, impactando diretamente a efetividade do tratamento e os desfechos clínicos dos pacientes.**

As dificuldades mais frequentemente relatadas pelos cuidadores para adesão à profilaxia com fator VIII incluem:



- ***Complexidade das infusões intravenosas frequentes***
- ***Dificuldade de acesso venoso (frequente na primeira infância);***
- ***Dependência de centros especializados e a sobrecarga sobre os cuidadores.***

Esses fatores configuram um **cenário de barreiras estruturais e emocionais que podem comprometer a adesão plena à profilaxia com fator VIII,** mesmo entre famílias com acesso ao medicamento. Tais evidências apontam para a **necessidade de estratégias terapêuticas mais compatíveis com a realidade pediátrica**, com maior facilidade de administração, menor dependência de infraestrutura especializada e redução da sobrecarga sobre os cuidadores.

Local onde as infusões do fator VIII são realizadas

A ampla maioria das crianças (94,1%) tem prescrição para a realização de tratamento profilático com infusões intravenosas de fator VIII.

No entanto, **59% dos pacientes dependem de estruturas externas (como hospitais, centros de tratamento ou terceiros)** para a aplicação do medicamento, o que representa uma barreira significativa à autonomia terapêutica e à continuidade do cuidado (gráfico 3).

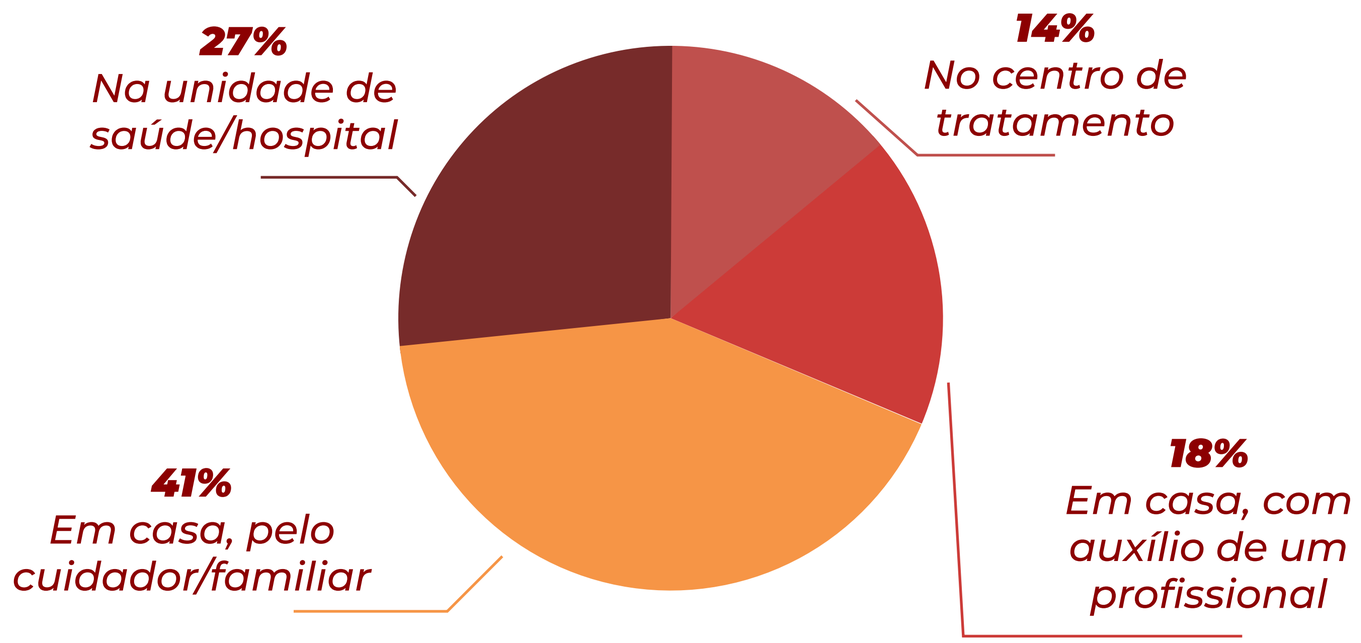


Gráfico 3 – Como são realizadas as infusões de fator VIII

Administração da profilaxia ao longo da vida

Entre as crianças com hemofilia A grave, sem inibidor, com até 6 anos de idade - foco deste recorte, **59% das infusões de fator VIII são realizadas por terceiros**, como profissionais de saúde em centros especializados ou hospitais. **Este dado evidencia uma baixa autonomia no manejo domiciliar pelo cuidador, do tratamento nesta faixa etária.**

> Quando comparados aos dados da amostra ampliada da pesquisa nacional *(gráfico 4 apresentado na página a seguir)*, observa-se um padrão semelhante: **entre a população geral de 0 a 6 anos com hemofilia A e B, 54% das infusões também são realizadas por terceiros**, reforçando a dependência de suporte profissional na primeira infância, independentemente do tipo de hemofilia.

Conforme a idade avança, há uma clara transição para maior autonomia na administração do tratamento: entre 7 e 14 anos, 85% das infusões já são realizadas por cuidadores ou familiares, e essa autonomia se intensifica ainda mais nas faixas seguintes, com 64% dos pacientes de 18 a 34 anos e até 88% dos de 35 a 44 anos realizando a autoadministração.

Os dados evidenciam que o manejo da hemofilia está diretamente relacionado à maturidade, autonomia, desenvolvimento físico e psicomotor, sendo a dependência de terceiros mais acentuada na primeira infância, e progressivamente reduzida com o crescimento.

Administração da profilaxia ao longo da vida

Forma de realização da infusão de fator VIII conforme faixas etárias

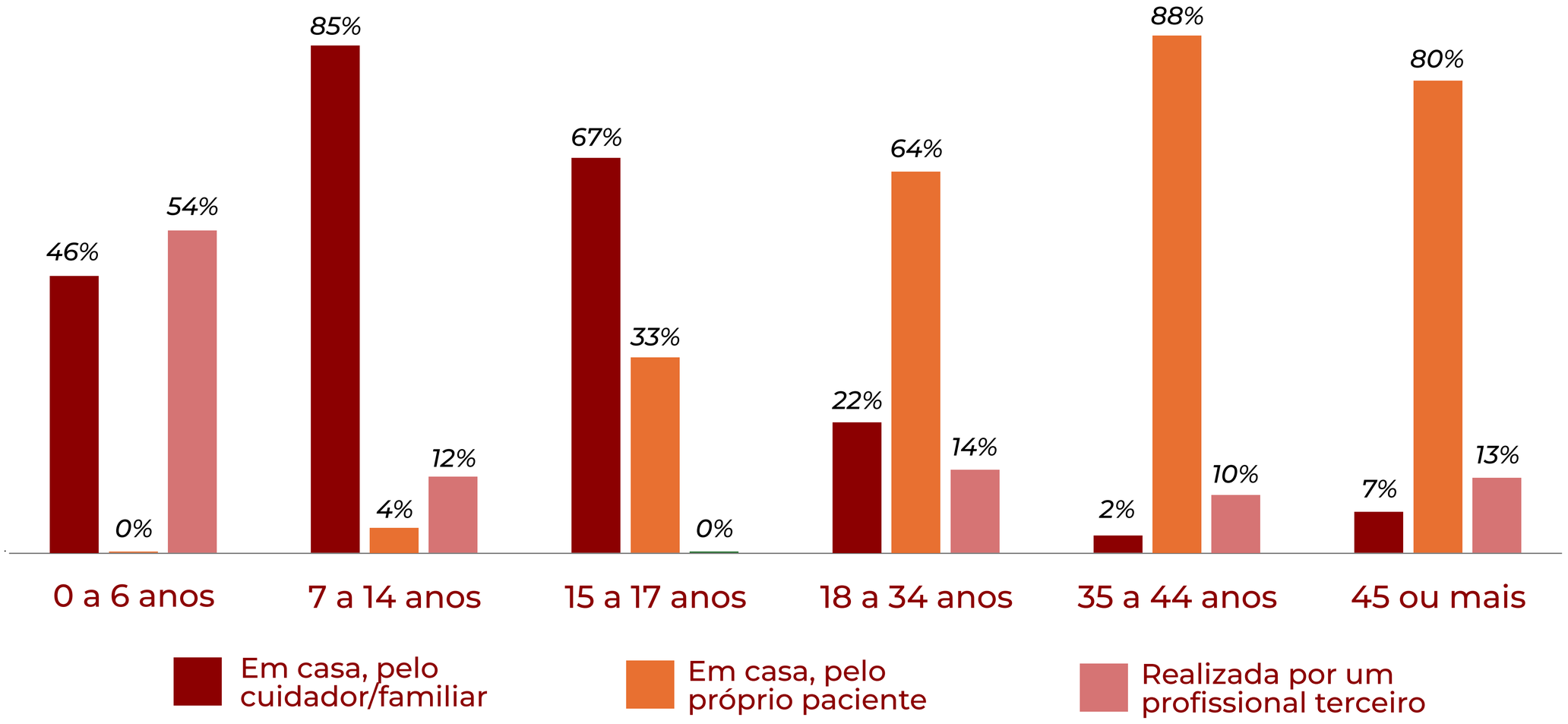


Gráfico 4 - Forma de realização da infusão de fator VIII conforme faixas etárias

Persistência de sangramentos apesar da profilaxia

Apesar da maioria dos cuidadores participantes da pesquisa terem revelado que as **crianças estão em uso de profilaxia com fator VIII com prescrição de três infusões semanais (72,5%)**, os dados demonstram que há **variações importantes na ocorrência de sangramentos.** O fluxograma a seguir ilustra a sequência de informações observadas entre os pacientes com prescrição de três infusões semanais:

72,5% afirmaram **que tem prescrição de três infusões semanais** de profilaxia

(Dado este que não indica, por si só, se a infusão foi realizada ou não, conforme a prescrição)

→

Destes, 47% relataram ter apresentado de um à cinco episódios de sangramento no último ano

→

e 33% deste grupo tiveram mais de seis episódios de sangramento nesse mesmo período

Esses dados levantam a hipótese de que, ***embora com prescrição de três aplicações semanais, parte das crianças não consiga realizar o tratamento conforme indicadom possivelmente devido a barreiras técnicas, emocionais ou logísticas no contexto familiar.*** *Essa limitação pode contribuir para a persistência dos episódios hemorrágicos e reforça a necessidade de estratégias terapêuticas mais viáveis e compatíveis com a rotina da primeira infância, capazes de oferecer proteção efetiva e reduzir a sobrecarga dos cuidadores.*

Mais de 60% dos cuidadores não conseguem realizar a infusão na primeira tentativa

Quando questionados sobre a execução da aplicação intravenosa, **60,9% dos cuidadores afirmaram que enfrentam dificuldade na administração intravenosa do fator VIII**, **necessitando de duas ou mais tentativas** para concluir o procedimento. Apenas 39,1% conseguem realizar a infusão na primeira tentativa (gráfico 5).

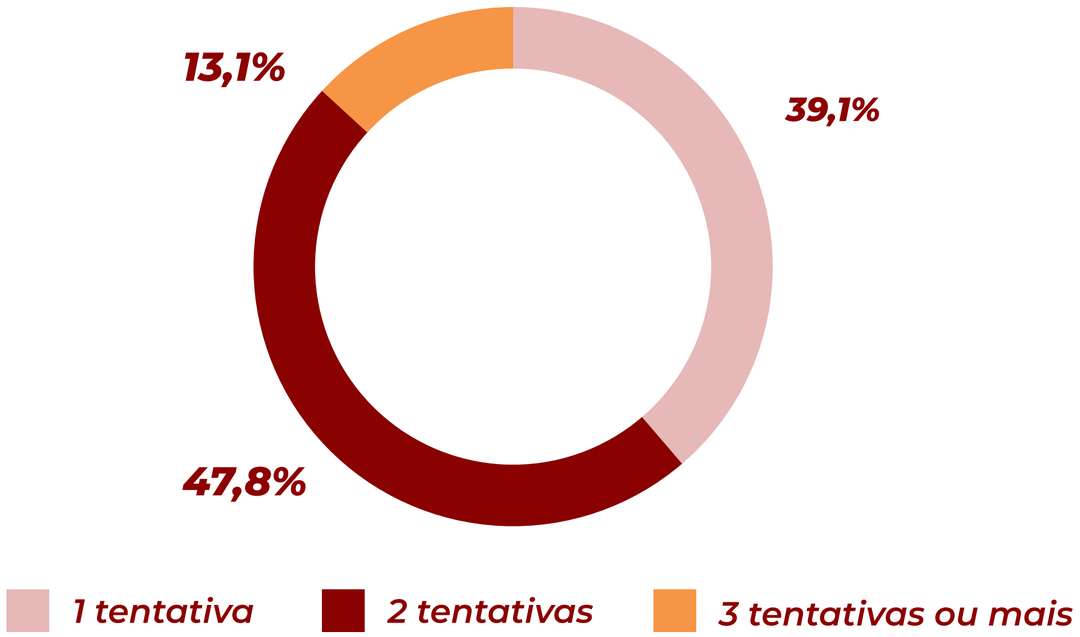


Gráfico 5 – Número de tentativas para uma aplicação bem-sucedida

Essa limitação técnica pode impactar diretamente a adesão ao tratamento, contribuindo para a omissão de doses, aumento da ansiedade durante o cuidado e redução da qualidade de vida.

A literatura já descreve que ***o tempo de preparo, a complexidade da administração intravenosa e a frequência das aplicações,*** *geralmente três vezes por semana,* ***são fatores reconhecidos que dificultam a continuidade da profilaxia no contexto domiciliar[22,23].***

Dificuldades no Tratamento Domiciliar:
Acesso venoso como principal barreira

51% dos participantes da pesquisa relataram desafios no tratamento domiciliar com fator VIII (gráfico 6), destes, o principal obstáculo relatado foi o **difícil acesso venoso (68,6%).**

Essa limitação, bastante comum na primeira infância, **representa uma barreira concreta à administração da profilaxia em casa**, especialmente quando somada à ansiedade e insegurança dos cuidadores quanto ao procedimento.

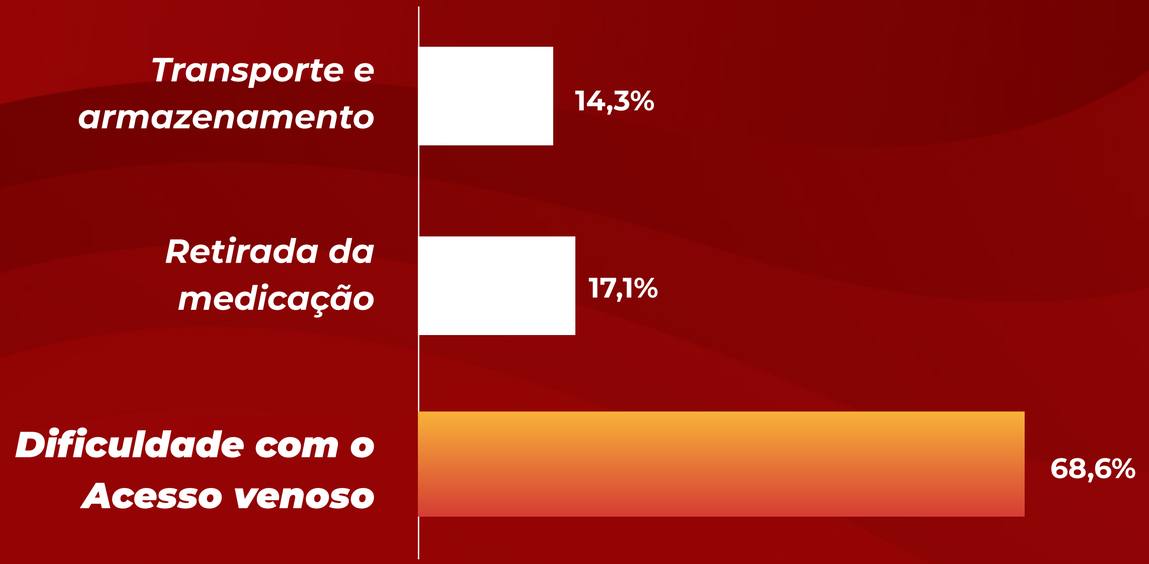


Gráfico 6 – Dificuldades apontadas no tratamento domiciliar

Uso de Cateteres:

O uso de cateteres foi pouco frequente entre as crianças avaliadas. Apenas ***6% precisaram utilizar cateter em algum momento no último anos e*** *94,1% não precisaram recorrer a esse tipo de dispositivo, o que sugere que, para a maioria dos casos, o manejo clínico está sendo realizado de forma menos invasiva.*

Contudo, ***entre aqueles que utilizaram o cateter, 67% relataram ao menos um episódio de infecção associada ao seu uso****, indicando uma alta taxa de complicação entre os poucos que fizeram uso do dispositivo*

Dificuldades no Tratamento Domiciliar:
Acesso venoso como principal barreira

O **acesso venoso** difícil, especialmente em crianças pequenas, permanece como um dos principais **desafios técnicos no manejo da hemofilia, agravando o estresse dos cuidadores e aumentando o risco de perda de doses**[24,25]. A literatura aponta que a necessidade de múltiplas tentativas para punção venosa, somada ao medo de agulhas e à sobrecarga física e emocional dos responsáveis, **pode comprometer significativamente a regularidade do tratamento**[26,27,28].

Esse cenário está diretamente relacionado aos dados apresentados anteriormente *(gráfico 3, página 25)*, que revelam que **quase 60% dos pacientes dependem de estruturas externas**, como hospitais e centros especializados, para realização das infusões. Isso indica que uma **parcela significativa dos que enfrentam dificuldades com acesso venoso não consegue realizar o tratamento no domicílio**, o que impõe deslocamentos frequentes, aumenta a sobrecarga familiar e reduz a autonomia terapêutica. **Trata-se de uma limitação estrutural que impacta diretamente a adesão ao tratamento e a qualidade de vida dessas famílias.**

Com relação aos 49% dos cuidadores que relataram não enfrentar dificuldades com o tratamento, é possível associar ao dado anteriormente apresentado que a **maioria das infusões de fator VIII é realizada por profissionais de saúde em centros especializados ou unidades de saúde**, e não diretamente pelos cuidadores no domicílio. Isso sugere que a **ausência de dificuldades pode estar mais associada ao fato de o cuidador não ser o responsável direto pela administração do tratamento do que à facilidade do processo em si**. Por outro lado, os que relataram dificuldades indicam desafios importantes que impactam diretamente a adesão, como a resistência da criança ao procedimento, dificuldades no acesso aos serviços ou limitações na administração do medicamento.

Dificuldade de acesso venoso de acordo com a faixa etária

No recorte específico da presente pesquisa, **68,6% dos cuidadores de crianças de 0 a 6 anos com hemofilia A grave, sem inibidor, relataram ter dificuldade com acesso venoso.** Esse percentual é superior ao observado na mesma faixa etária na amostra geral da pesquisa nacional, que foi de 67% (gráfico 7).

A comparação com faixas etárias mais avançadas reforça a singularidade do desafio enfrentado na primeira infância, e observa-se que a dificuldade com acesso venoso é consideravelmente menor entre: 58% entre crianças de 7 a 14 anos e apenas 6% entre adolescentes de 15 a 17 anos. Esses dados podem ser visualizados no gráfico 7, e reforçam que a primeira infância representa o período de maior dificuldade para acesso venoso, exigindo abordagens específicas para minimizar os riscos e otimizar a adesão ao tratamento.

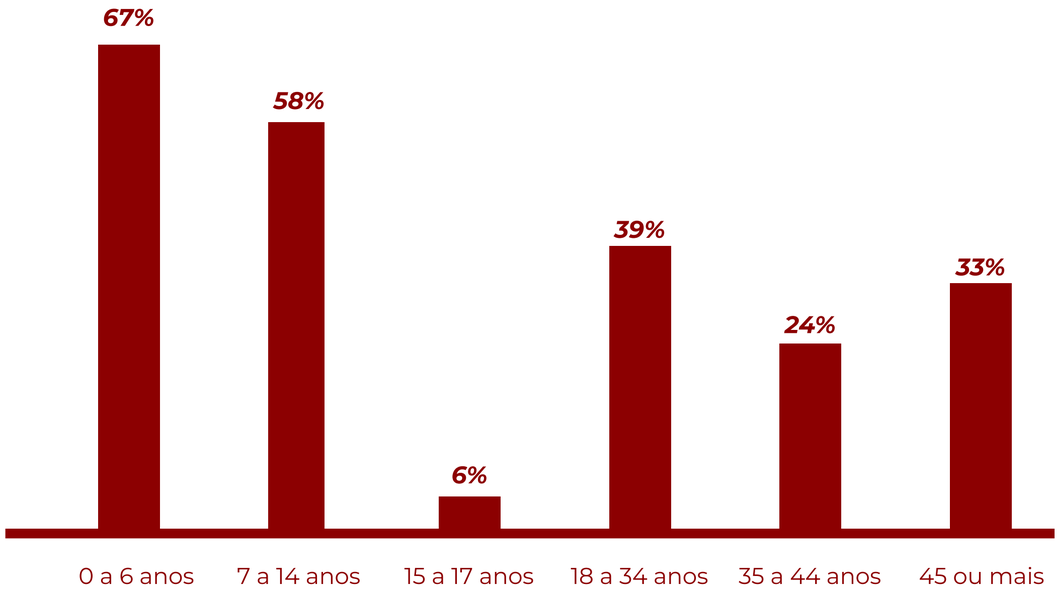


Gráfico 7 – Dificuldade de acesso venoso de acordo com a faixa etária

Outro dado que merece destaque é que **27,5% dos cuidadores relataram perda de medicamento**, seja por dificuldades no acesso venoso ou por outros motivos. Esse número indica não apenas risco clínico por falha na profilaxia, mas também prejuízos relevantes ao uso racional de recursos públicos. Tais achados reforçam a necessidade de:

- *Ações educativas e apoio técnico contínuo no manejo domiciliar;*
- *Maior disponibilidade de suporte médico descentralizado e próximo à residência dos pacientes, garantindo suporte em situações de intercorrência ou dificuldade no manejo;*
- *Incorporação de tecnologias que facilitem a administração segura do tratamento em casa, além de reduzir o risco de erro, promover adesão e oferecer maior autonomia às famílias.*

Acesso a serviços complementares: *Fisioterapia e Odontologia*

De acordo com os dados da pesquisa, **58,8% dos cuidadores relataram que as crianças não têm acesso ao serviço de fisioterapia** (gráfico 8). Além disso, **19,6% afirmaram que o deslocamento até o centro de tratamento torna inviável** a realização das sessões.

Em relação ao atendimento odontológico (gráfico 8), **39,2% dos cuidadores informaram que a criança não possui acesso ao serviço,** enquanto **23,5% relataram que os atendimentos são realizados diretamente no Centro de Tratamento de Hemofilia**.

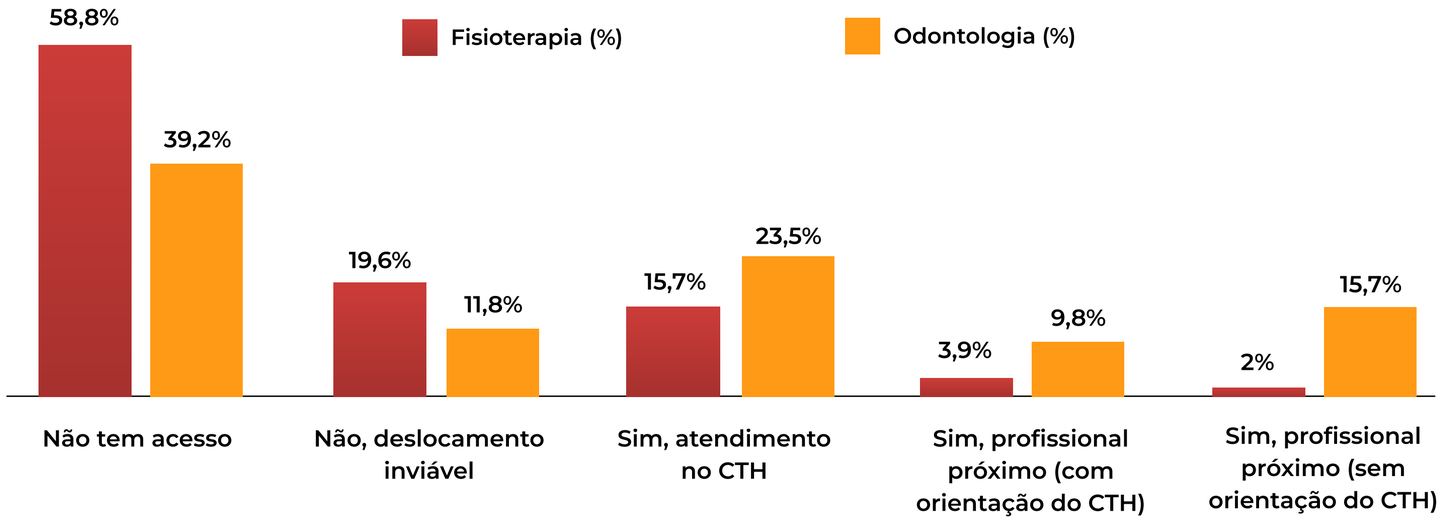


Gráfico 8 – Acesso a tratamento fisioterapêutico e odontológico

Os dados evidenciam uma **barreira à adesão aos cuidados reabilitadores**, comprometendo a prevenção de complicações ortopédicas desde a infância. Além disto, indicam uma **concentração dos serviços, para aqueles que tem acesso, em centros especializados, dificultando o acompanhamento precoce e especializado em saúde bucal e fisioterapêutico.**

Em conjunto, esses dados demonstram a **necessidade de estratégias que descentralizem o cuidado e integrem profissionais da atenção primária e da rede local**, para ampliar o acesso contínuo e qualificado a serviços complementares essenciais, como fisioterapia e odontologia.

Carga Logística do Tratamento: *Deslocamento, permanência e impacto na rotina familiar*

O **tratamento** da hemofilia exige **visitas frequentes aos Centros de Tratamento de Hemofilia**, seja para consultas de rotina, acompanhamento clínico ou retirada de medicação.

A frequência dessas visitas varia: **41,2% realizam o deslocamento a cada três meses, 23,5% comparecem mensalmente** e o restante segue esquemas menos regulares.

A principal motivação relatada para as visitas é a **realização de consultas de rotina (76,5%**), enquanto apenas uma pequena parcela procura o serviço exclusivamente em situações de intercorrência.

As barreiras logísticas representam um fator crítico na jornada de cuidado de famílias com crianças com hemofilia. A necessidade de deslocamentos frequentes até centros de tratamento, muitas vezes localizados a grandes distâncias, impõe um fardo considerável sobre as famílias[29,30]. Em ambientes com menor densidade de centros especializados, como em regiões mais afastadas, o acesso limitado pode não apenas atrasar o diagnóstico e, mas também comprometer a continuidade do tratamento[31].

Esse cenário é ainda mais **agravado por fatores socioeconômicos, como renda familiar reduzida, o que dificultam o custeio de despesas diretas e indiretas, associadas ao tratamento**[23]. Em conjunto, esses elementos configuram um ciclo de desigualdade que impacta a adesão ao tratamento, a qualidade de vida e a equidade no acesso aos serviços de saúde especializados.

O tempo médio de permanência no Centro de Tratamento de Hemofilia também é relevante, e evidencia o impacto logístico que essas visitas podem representar na rotina familiar:

41,2%

permanecem entre 2 e 3 horas no Centro de Tratamento

27,5%

permanecem entre 1 e 2 horas no Centro de Tratamento

Quando questionados sobre a etapa que mais consome tempo durante o atendimento, os cuidadores apontaram a consulta médica (43,1%), seguida pelo processo de retirada de medicação (21,6%) e pela triagem (17,6%).

Além do tempo de permanência no Centro de Tratamento, **o deslocamento até o local representa um desafio adicional** enfrentado por muitas famílias.

47% relataram um tempo médio de deslocamento de até 1 hora, enquanto **35,3%** indicaram trajetos **superiores a 2 horas**, chegando a **mais de 4 horas** em alguns casos (gráfico 9).

25,5% moram a **mais de 200 km** do hemocentro de referência.

21,6% dos participantes residem a menos de 10 km do centro de tratamento

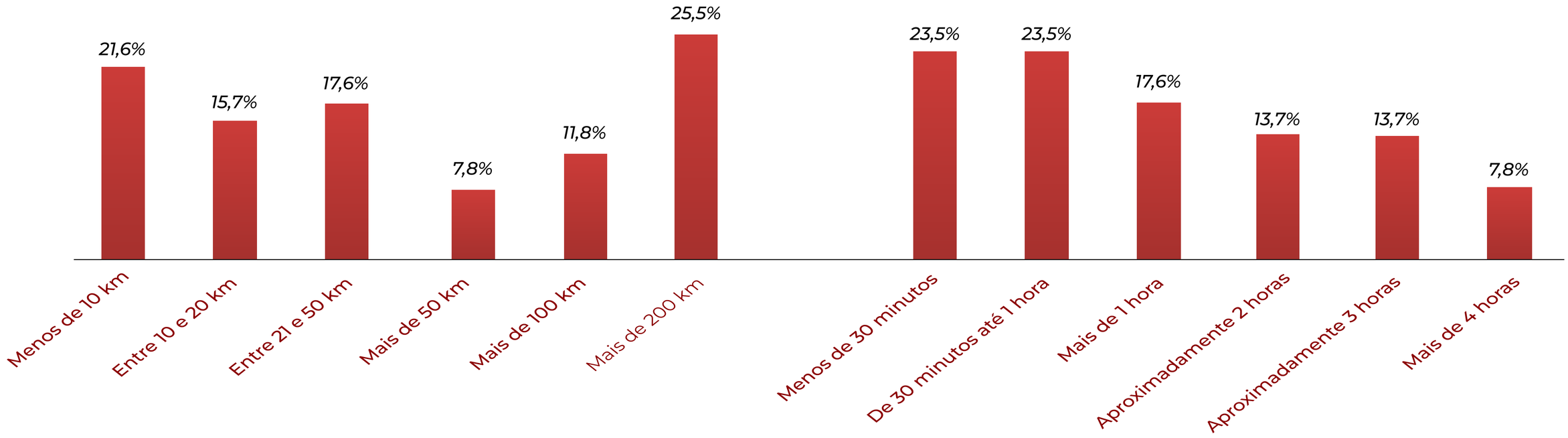


Gráfico 9 – Distância e tempo de deslocamento até o CTH

Considerando o ***percurso de ida e volta, associado ao tempo médio de permanência no Centro de Tratamento de Hemofilia****, estima-se um consumo de aproximadamente:*

4 horas e 53 minutos da rotina das famílias.

Esse dado reforça a sobrecarga logística imposta pelo tratamento, especialmente para quem vive em regiões remotas ou com menor acesso a serviços especializados, impactando não apenas a organização familiar e à empregabilidade dos cuidadores, mas também aspectos relacionados à adesão ao tratamento e qualidade de vida.

A **frequência de visitas para retirada de medicação** é mais um aspecto que reforça a carga logística sobre os cuidadores:

60,8% *relataram realizar esse* ***deslocamento mensalmente*** *(gráfico 10), e* ***27,4% o fazem a cada dois meses.***

Diante das longas distâncias e dos meios de transporte muitas vezes limitados, esse compromisso mensal torna-se uma exigência significativa, especialmente para famílias com menores recursos financeiros ou residentes em áreas remotas.

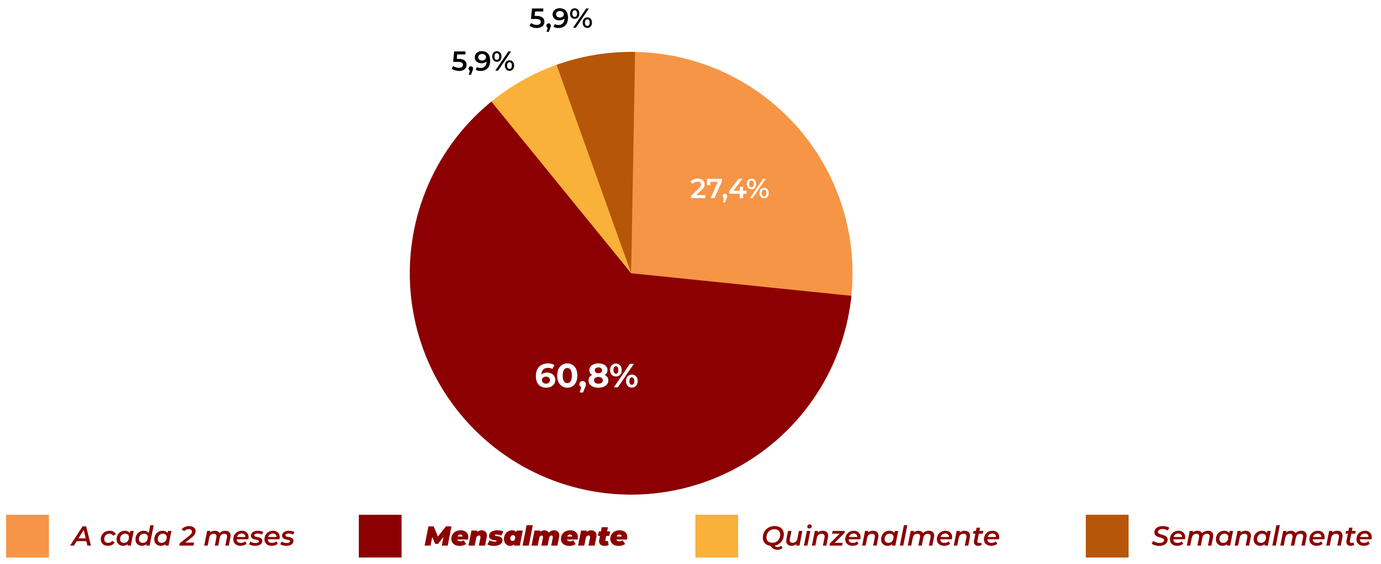


Gráfico 10 – Frequência de visitas ao Centros de Tratamento de Hemofilia para buscar medicação



Barreiras práticas e logísticas que dificultam a adesão

62,7% ***dos cuidadores utilizam veículo próprio***

13,7% ***dependem de transporte público***

7,8% ***recorrem a serviços públicos agendados, como ambulância ou transporte da saúde municipal.***

Embora mais de **60% utilize transporte próprio**, os **custos com combustível, alimentação e estacionamento,** somados à **indisponibilidade** do cuidador para exercer atividades laborais, representam um **impacto financeiro relevante**, contribuindo para uma **sobrecarga socioeconômica** importante associada ao manejo da hemofilia.

A literatura reforça que essas **barreiras práticas e logísticas** enfrentadas pelas famílias não apenas dificultam a adesão terapêutica, mas também **aumentam o risco de complicações clínicas**, como **danos articulares permanentes**, além de impactarem negativamente a qualidade de vida de pacientes e cuidadores[30,32].

A dificuldade em manter um regime de profilaxia de forma consistente reflete tanto as **limitações estruturais**, como a frequência elevada de deslocamentos, longas distâncias e falta de transporte adequado, quanto às barreiras **psicossociais,** como exaustão física, emocional e prejuízos à vida laboral do cuidador.

Nesse cenário, a introdução de terapias menos invasivas, como agentes de meia-vida prolongada e terapias subcutâneas, pode representar um avanço promissor. Tais alternativas visam não apenas reduzir a frequência de administração, mas também mitigar o impacto psicológico e logístico do tratamento[33-35], oferecendo melhores perspectivas de adesão e qualidade de vida para pacientes e cuidadores com alternativas de descentralização do cuidado e maior autonomia no manejo do tratamento.

Os dados ainda evidenciam a importância de **estratégias que otimizem o fluxo de atendimento nos hemocentros** e, sobretudo, que **descentralizem etapas como a dispensação de medicamentos**, reduzindo a necessidade de deslocamentos constantes.

Episódios de Sangramento no último ano

Em relação aos sangramentos no último ano (gráfico 11), os dados demonstram que, ***em média, cada criança apresentou 4 episódios de sangramento no último ano****.*

Apenas 19,6% dos cuidadores afirmaram que a criança não apresentou sangramentos no período.

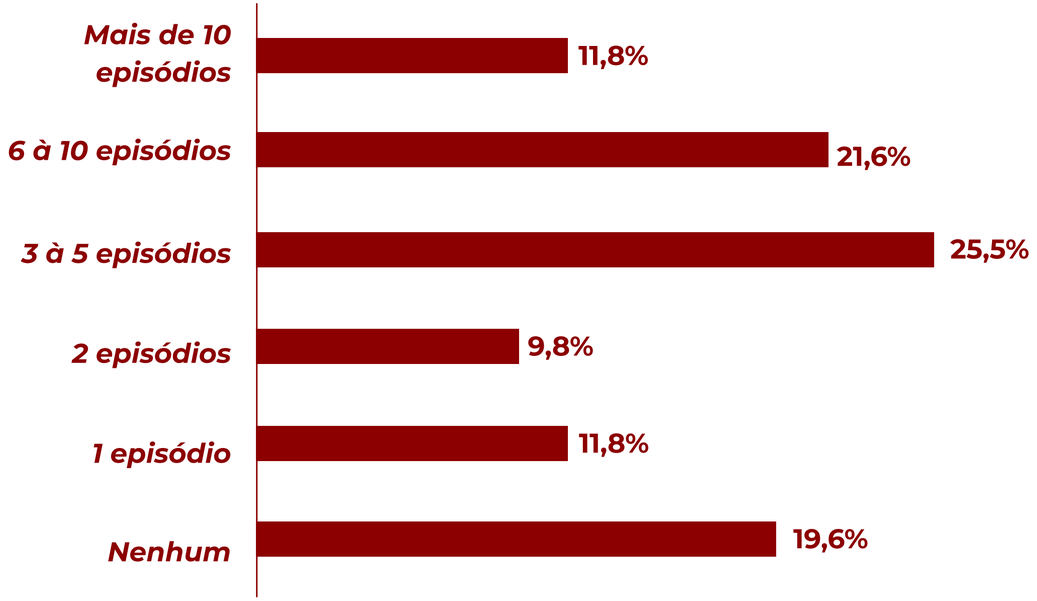


Gráfico 11 – Número de episódios de sangramento no último ano

Esses números indicam que, embora o tratamento profilático esteja presente, ***as hemorragias ainda representam uma realidade*** *recorrente na rotina dessas famílias.*

A ***ocorrência recorrente de episódios hemorrágicos****, mesmo em crianças sob profilaxia, é consistente com achados da literatura que indicam que* ***o tratamento convencional, embora reduza a gravidade dos sangramentos, não elimina completamente o risco de eventos***[36,37]*.*

Episódios de sangramento articular, como as hemartroses, são particularmente preocupantes, *pois representam o principal fator de risco para o desenvolvimento precoce de artropatia hemofílica*[38,39]*. Essa condição, ainda que identificada em proporção relativamente baixa na amostra estudada, confirma que as complicações musculoesqueléticas podem emergir já nos primeiros anos de vida, reiterando a importância do diagnóstico precoce e do rigor na adesão ao tratamento profilático.*

Impactos Clínicos da Hemofilia

O gráfico 12 apresenta a distribuição das **principais complicações clínicas observadas nas crianças com hemofilia A,** incluídas na pesquisa. Entre elas, destacam-se as **hemartroses (sangramentos articulares)**, com **frequência significativa já na primeira infância.** Também foram relatados casos de **hemorragias graves, como intracranianas**, além de **episódios de sangramento muscular** e **síndrome compartimental.** A ocorrência de artropatia hemofílica reforça a importância da profilaxia precoce e do acompanhamento multiprofissional para prevenir danos permanentes.

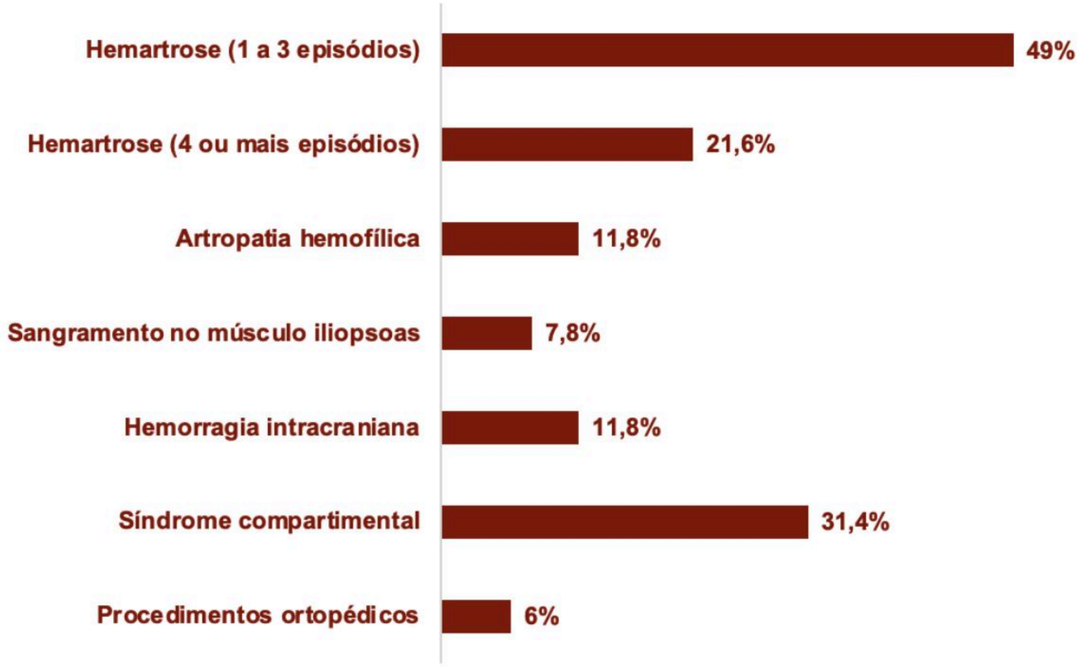


Gráfico 12 - Impactos Clínicos Graves

O impacto de uma doença como a Hemofilia pode repercutir para além da vida do paciente, mas de toda sua família que precisa adaptar-se à nova rotina, às dificuldades, tensões, preocupações e angústias inerentes à jornada de uma pessoa com uma doença complexa tal qual a Hemofilia.

Complicações como as destacadas nestes resultados podem significar, para todos os que convivem com esta realidade, situações muito mais complexas do que os números conseguem demonstrar.

Deste modo, estes achados reforçam a necessidade de intervenções precoces e eficazes para prevenção de sangramentos articulares e preservação da função musculoesquelética desde os primeiros anos de vida.

Intercorrências fora do horário do CHT

As **intercorrências graves fora do horário de funcionamento dos Centros de Tratamento de Hemofilia** representam um importante ponto de atenção no cuidado de pacientes pediátricos. Conforme apresenta-se abaixo, 35,3% dos cuidadores relataram que nunca enfrentaram situações graves nesses períodos (gráfico 13). No entanto, a maior parte dos respondentes **(64,7%) vivenciou ao menos uma intercorrência significativa nesse contexto.**

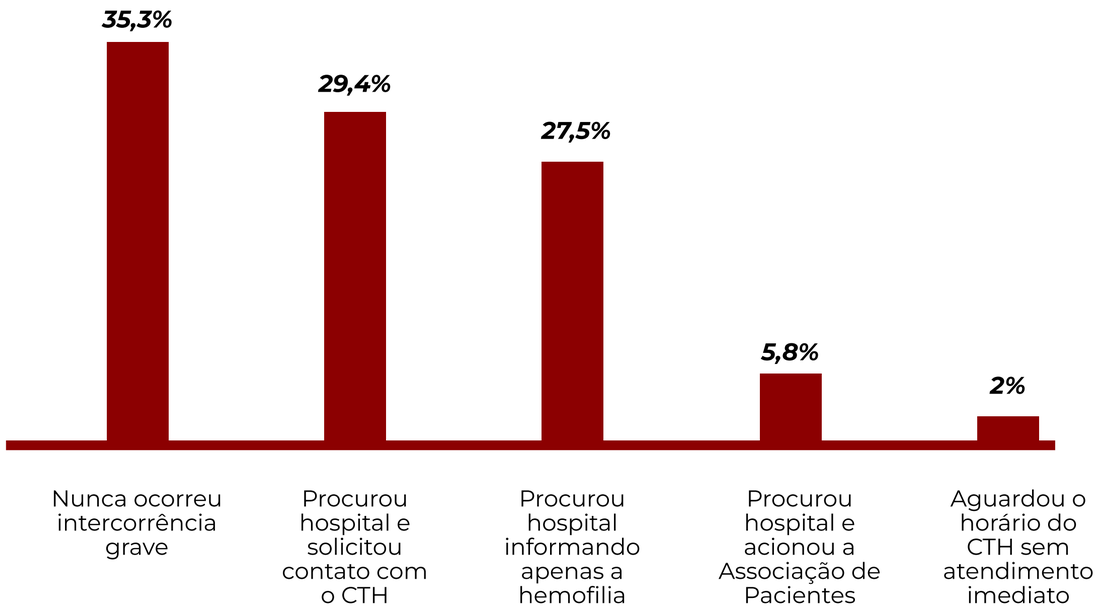


Gráfico 13 – Situação diante de intercorrência grave fora do horário de funcionamento do CTH.

Quanto ao desfecho desses atendimentos emergenciais, apenas 39,2% dos pacientes receberam o tratamento adequado com contato efetivo entre a unidade de saúde e o Centro de Tratamento ou um hematologista. Por outro lado, 19,6% relataram que o tratamento foi inadequado, com recusa ou desconsideração das informações fornecidas pela família.

As intercorrências clínicas fora do horário de funcionamento dos centros de tratamento constituem uma preocupação importante na hemofilia pediátrica. A literatura mostra que, apesar dos avanços no cuidado, a resposta emergencial fora de centros especializados ainda enfrenta entraves significativos, com impacto potencial no prognóstico[40].

Estes dados refletem essa realidade, evidenciando que, em muitos casos, o atendimento fora do ambiente especializado é inadequado ou não segue protocolos específicos para hemofilia, o que está alinhado a achados de outros estudos que apontam falhas de reconhecimento e manejo inicial em unidades gerais de saúde[30].

Impacto na qualidade de vida do paciente

De forma geral, os cuidadores atribuíram uma **nota média de 3,8** (em uma escala de 1 a 5) para a **qualidade de vida da criança**, sendo 1 “muito ruim” e 5 “muito boa”. Embora esse número indique uma percepção predominantemente positiva, os dados revelam presença significativa de limitações físicas e emocionais, que afetam o cotidiano dos pacientes.

Limitações físicas que impactam na rotina

Em relação às limitações físicas (gráfico 14), 41,2% dos cuidadores apontaram que a criança apresenta algum grau de limitação na rotina diária, sendo 23,5% de forma leve, 15,7% de forma moderada e 2,0% significativa.

Isso demonstra que, mesmo em idade precoce, a hemofilia já interfere no desempenho físico de parte dos pacientes.

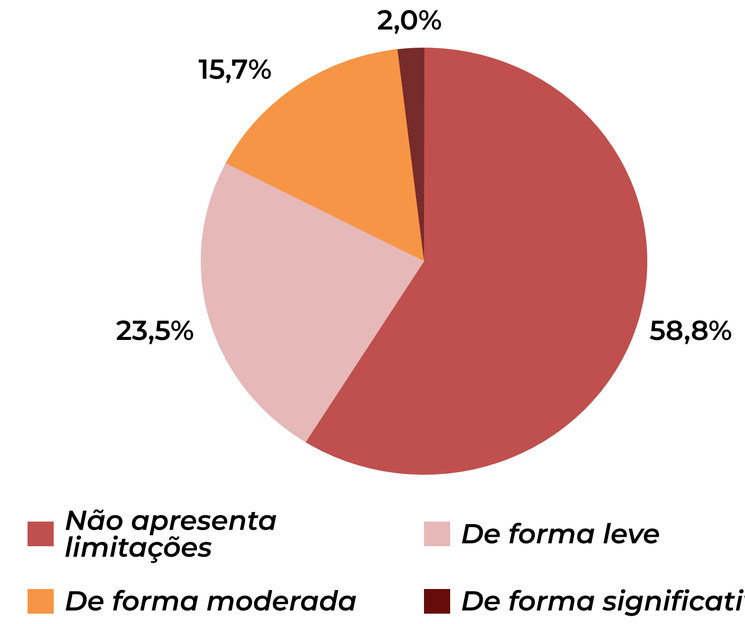


Gráfico 14 - Limitações físicas devido à Hemofilia que impactam sua rotina diária

A percepção de dor também é um dado relevante:

Conforme apresenta-se no gráfico 15 a seguir, **47,1% relataram que a criança sente dores articulares ou musculares ocasionalmente,** e 7,8% com frequência semanal ou diária.

Além disso**, 41,2% utilizam medicamentos para dor**, e 62,7% faz uso raramente, reforçando a importância do controle de sintomas para manutenção da funcionalidade e bem-estar.

Impacto na qualidade de vida do paciente

O paciente sente dores articulares ou musculares com frequência?

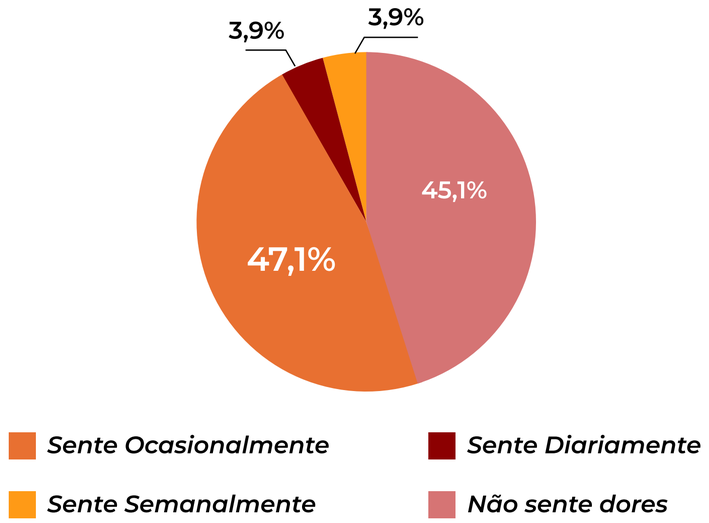


Gráfico 15 - Sente dor articular ou muscular com frequência

As restrições físicas identificadas, incluindo limitações na rotina diária e episódios de dor, são compatíveis com estudos que destacam que, **já na infância, a hemofilia pode comprometer o desenvolvimento motor, limitar a participação em atividades lúdicas e afetar a independência**[41].

A **presença de dor**, mesmo que ocasional na maioria dos casos, **impacta diretamente a funcionalidade e pode contribuir para o isolamento social e para alterações emocionais**, especialmente em fases críticas do desenvolvimento[41].

Interferência da Hemofilia no Contexto Escolar

***No contexto escolar,* 49% dos cuidadores relataram algum grau de interferência da hemofilia na frequência** ou no acompanhamento das atividades escolares, sendo que **7,8% apontaram impacto frequente**. Quanto às faltas no último ano letivo (gráfico 16), 25,5% indicaram que a criança nunca precisou se ausentar, **enquanto 23,5% relataram entre 3 a 5 faltas**. Além disso, 17,6% das crianças ainda não frequentam a escola, o que está relacionado à menor faixa etária presente na amostra.

No campo educacional, os dados indicam que **a hemofilia exerce impacto relevante sobre a frequência escolar já na primeira infância,** período crucial para o desenvolvimento social e cognitivo.

A presença de faltas recorrentes, atribuídas à condição clínica, reforça achados da literatura que **associam doenças crônicas ao absenteísmo escolar e a dificuldades de integração** com o ambiente educacional[42,43].



Gráfico 16 – Número de faltas na escola no último ano

Esses dados reforçam que, **mesmo na primeira infância, a condição já interfere na rotina escolar de uma parte significativa dos pacientes**, com potenciais efeitos sobre o desenvolvimento e a inclusão.

Quanto ao convívio social, **25,5% apontaram impacto leve nas relações com amigos, e 19,6% relataram impacto moderado.** Embora a maioria perceba manutenção dos vínculos sociais, os dados indicam que a presença da condição pode interferir na socialização, mesmo que de forma sutil ou intermitente.

Estrutura de Instituição Escolar

Mais da metade dos cuidadores afirmaram que a **escola não conta com profissionais treinados para lidar com emergências** relacionadas à hemofilia (gráfico 17).

Essa ausência de preparo, especialmente em um ambiente no qual as crianças passam boa parte do tempo, pode representar um **fator de insegurança para as famílias** e um obstáculo à plena inclusão escolar.

A instituição de ensino do paciente possui profissionais treinados para prestar apoio em caso de emergência relacionada à hemofilia?

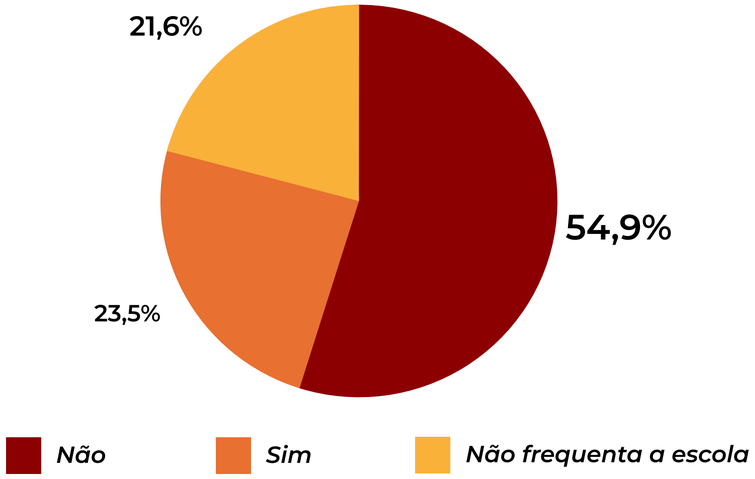


Gráfico 17 - Capacitação das instituições escolares para emergências hemofílicas

Impacto na Qualidade de vida do paciente

Quando comparadas a outras crianças da mesma idade, os cuidadores relataram que a hemofilia interfere em diferentes aspectos da rotina da criança (figura 3), especialmente nas atividades diárias, esportivas e na participação em passeios com amigos, família ou escola.

Embora a intensidade desse impacto varie entre os casos, os relatos evidenciam que as **limitações impostas pela condição estão presentes desde os primeiros anos de vida, afetando não apenas a autonomia e o brincar, mas também a inclusão social e o bem-estar emocional.**

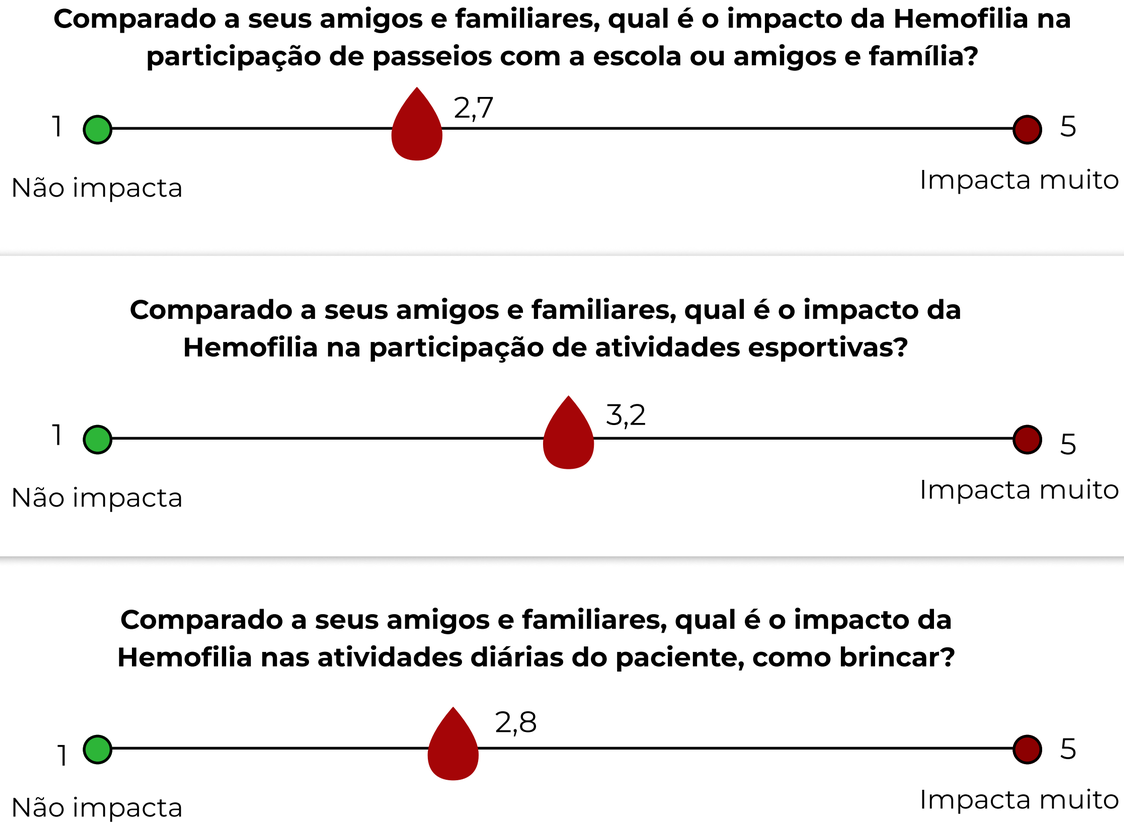


Figura 3 – Impacto em atividades diárias

A literatura demonstra que doenças crônicas como a hemofilia tendem a gerar dificuldades de integração escolar, aumento de faltas e limitações na participação em atividades coletivas, elementos que podem comprometer não apenas o desempenho acadêmico, mas também a formação de vínculos sociais[44,45]. A identificação de impactos nas relações sociais entre crianças com hemofilia corrobora essa tendência, mesmo em idades precoces.

Bem-estar emocional

O bem-estar emocional foi avaliado com média de **3,9**, indicando uma percepção geral positiva. No entanto, **39,2% dos cuidadores relataram sinais de ansiedade ou tristeza nas crianças**, sendo 7,8% com frequência. A análise dos sinais comportamentais (gráfico 18) revelou que **59% dos cuidadores perceberam sinais perceptíveis**, e 41% relataram ausência de sinais. Os dados demonstram dos pacientes que apresentam sinais comportamentais, **97% relata irritabilidade como o principal sinal**.

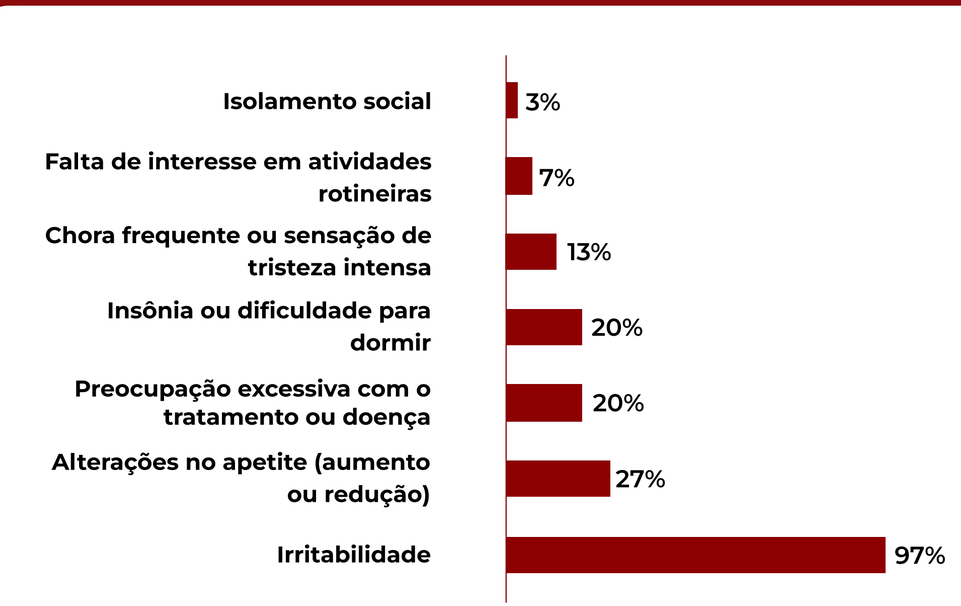


Gráfico 18 – Sinais comportamentais perceptíveis

O bem-estar emocional das crianças, apesar de relatado pelos cuidadores como predominantemente positivo, também apresenta sinais de vulnerabilidade. A alta frequência de irritabilidade relatada é consistente com estudos que apontam que crianças com condições crônicas enfrentam maior risco de desenvolver sintomas emocionais como ansiedade, irritabilidade e alterações comportamentais46. Esses sinais, ainda que nem sempre classificados como distúrbios psiquiátricos formais, indicam a necessidade de monitoramento psicológico e intervenções preventivas.

No que se refere ao apoio emocional e aconselhamento para a família, **62,7% dos cuidadores afirmaram não receber nenhum tipo de suporte para a família.** Apenas 11,8% relataram acompanhamento regular, e 25,5% têm acesso ocasional a esse tipo de apoio. Esses dados evidenciam uma lacuna importante na rede de cuidado, especialmente diante dos impactos emocionais e da sobrecarga envolvida no tratamento de uma condição crônica como a hemofilia.

Impacto na qualidade de vida do cuidador

De forma geral, os cuidadores atribuíram uma nota **média de 3,2** (em uma escala de 1 a 5) para sua **própria qualidade de vida** desde o diagnóstico do paciente, valor inferior àquele atribuído à qualidade de vida da própria criança (3,8).

Essa diferença já sugere uma **percepção de maior sobrecarga ou privação pessoal no processo de cuidado.**

A interferência nas atividades diárias é evidente: 39,2% relataram impacto frequente, e outros 37,3% ocasional, como mostrado no gráfico 19.

Além disso, o cuidado compromete o bem-estar físico em 80,4% dos casos, sendo 47,1% de forma leve ou moderada e 19,6% de forma significativa, o que aponta para sintomas como fadiga, dores, e desgaste corporal.

Interferência da hemofilia nas atividades diárias do cuidador

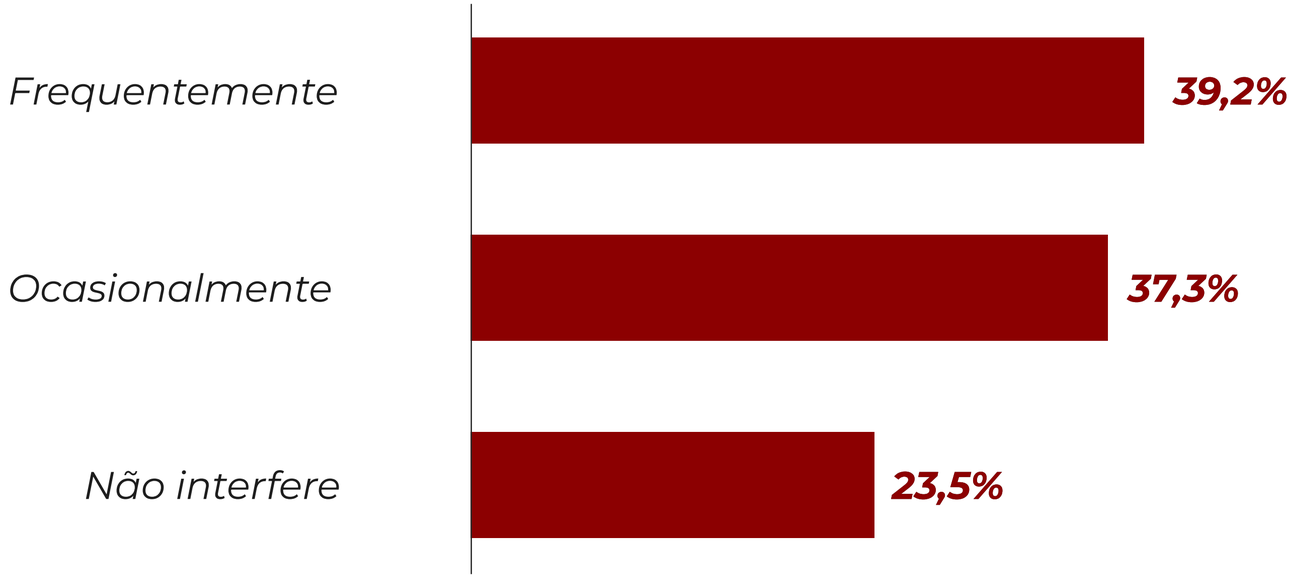


Gráfico 19 – Interferência da hemofilia nas atividades diárias do cuidador

Em termos de dinâmica familiar, quase 80% dos cuidadores relataram algum grau de impacto, com 31,4% descrevendo como leve ou moderado, e 17,6% de forma significativa (gráfico 20). Esse dado demonstra que a rotina de cuidados ultrapassa o âmbito individual e repercute no convívio e nas responsabilidades familiares.

Impacto da hemofilia na dinâmica familiar

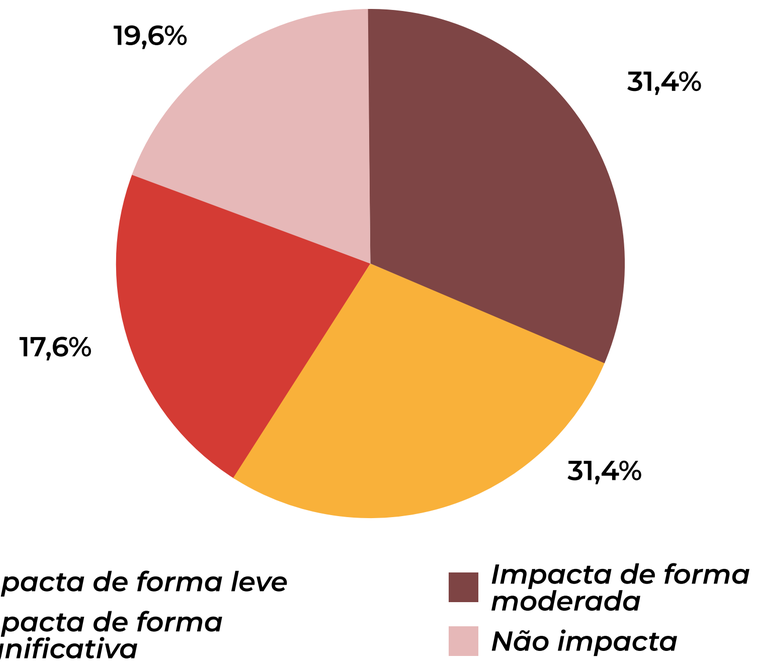


Gráfico 20 – Impacto da hemofilia na dinâmica familiar

A sobrecarga emocional é outro ponto central:

- **46,1% dos cuidadores relataram sentir isso diariamente**
- **40,2% ocasionalmente**
- **13,7% não relatando sobrecarga.**

A avaliação do bem-estar emocional teve média de 3,1, inferior à atribuída ao bem-estar da criança (3,9), indicando um **nível mais crítico de desgaste psicológico.**

Quanto ao **apoio disponível, 49%** relataram **apoio de familiares e amigos, 41% de profissionais de saúde**, e apenas 14% de grupos de apoio.

Essa percepção de sobrecarga emocional é confirmada pelos dados do gráfico 21, em que 98% dos cuidadores afirmaram sentir ansiedade ou preocupação.

Dentre os principais motivos de preocupação (gráfico 22), destacam-se o risco de sangramento grave ou com risco de morte (88%) e a ocorrência de hemorragias (71%), seguidos da possibilidade de sequelas ortopédicas (51%).

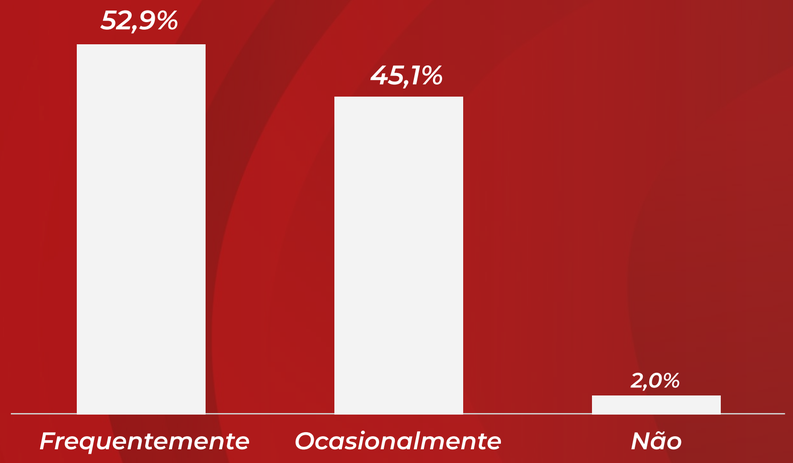


Gráfico 21 – Sentimento de ansiedade ou preocupação constante devido à Hemofilia

Motivos de preocupação dos cuidadores

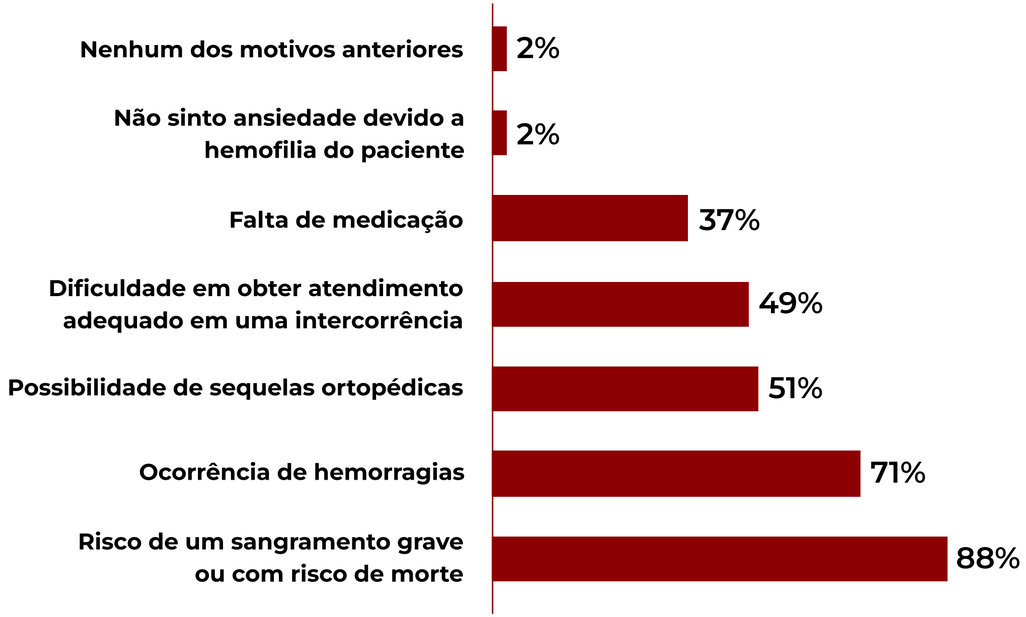


Gráfico 22 – Motivos de preocupação dos cuidadores

O impacto nas atividades diárias e na dinâmica familiar confirma o que a literatura aponta sobre doenças raras crônicas: ***o cuidado contínuo tende a reorganizar rotinas, redistribuir papéis familiares e provocar sobrecarga física e emocional***[47,48].

A presença de ***sentimentos de ansiedade e preocupação em praticamente todos os cuidadores*** *reforça essa sobreposição de demandas práticas e emocionais, que frequentemente evoluem para quadros de desgaste crônico e estresse*[47,49,50].



Impacto na Vida Social e Trabalho

A vida social dos cuidadores também é afetada:

31,4% relataram impacto leve, e outros **41,2% relataram impacto moderado ou significativo,** o que inclui dificuldades em manter encontros sociais, participar de eventos ou realizar viagens.

A hemofilia da criança também impacta significativamente a vida profissional e financeira dos cuidadores:

A nota média atribuída ao **impacto financeiro foi de 3,2**, em uma escala de 1 (não impacta) a 5 (impacta de forma significativa), refletindo um efeito moderado a importante no orçamento familiar. Quanto à **rotina de trabalho, 41,2% relataram interferência frequente**, e 31,4% ocasional, evidenciando um padrão de comprometimento regular. Além disso, **mais de 70% dos cuidadores relataram alterações em sua vida profissional: 35,3% deixaram de trabalhar e 23,5% reduziram a carga horária** (gráfico 23).

Alterações em sua vida profissional:

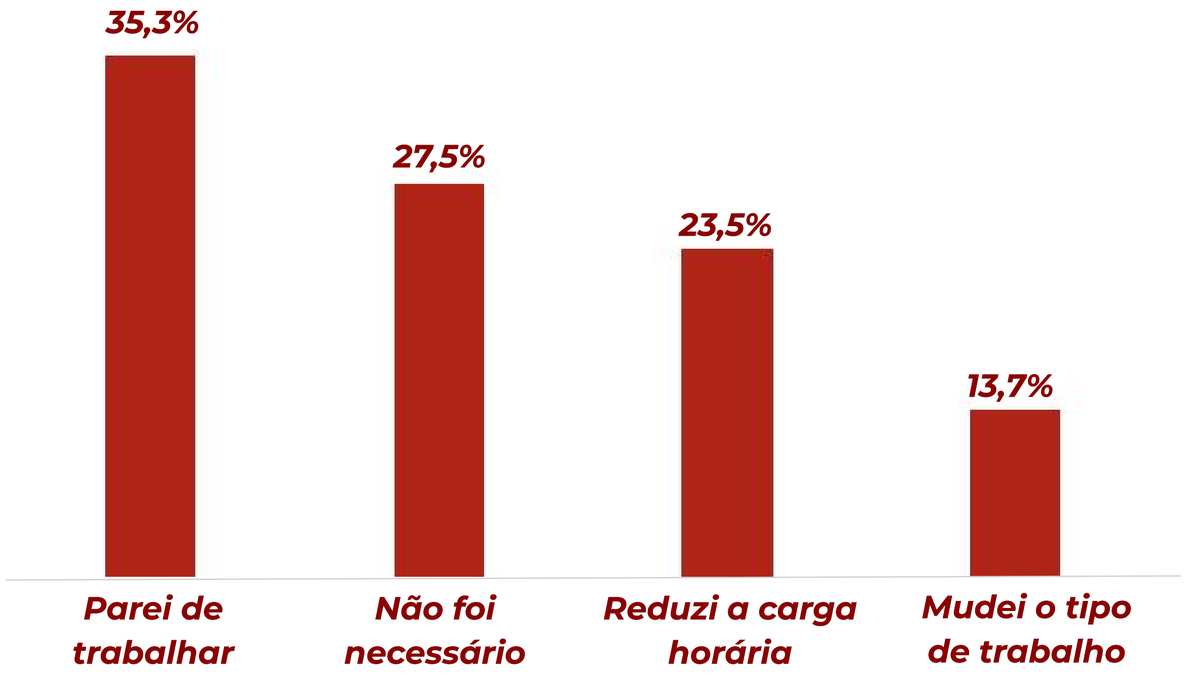


Gráfico 23 – Impacto da hemofilia no trabalho

Perspectivas Futuras

Quais recursos adicionais seriam desejáveis para apoiar o cuidado da criança?

33,3% | Treinamento para infusões domiciliares

29,4% | Suporte psicológico contínuo para o paciente e/ou cuidador

27,5% | Consultoria educacional para inclusão escolar

9,8% | Grupos de apoio com outros cuidadores e familiares

Esses dados apontam para uma demanda concreta por autonomia no manejo terapêutico, acolhimento emocional e integração entre saúde e educação, pilares fundamentais para um cuidado centrado na família.

Preocupações em Relação ao Futuro

As **preocupações em relação ao futuro da criança com Hemofilia** mais citadas pelos cuidadores, foram (*gráfico 24)*:

65% | **Acesso contínuo** e adequado aos tratamentos
53% | **Desenvolvimento de complicações** articulares ou outras condições de saúde
51% | **Manutenção da qualidade de vida** e bem-estar

Esses dados revelam um olhar atento à sustentabilidade do cuidado ao longo do tempo e à preservação da funcionalidade, especialmente diante dos riscos acumulados de sangramentos e sequelas osteoarticulares.

A preocupação com a independência e a autonomia na vida adulta (43%) também aparece com destaque, o que sugere uma expectativa de que as intervenções no presente reflitam em maior liberdade e inserção social no futuro.

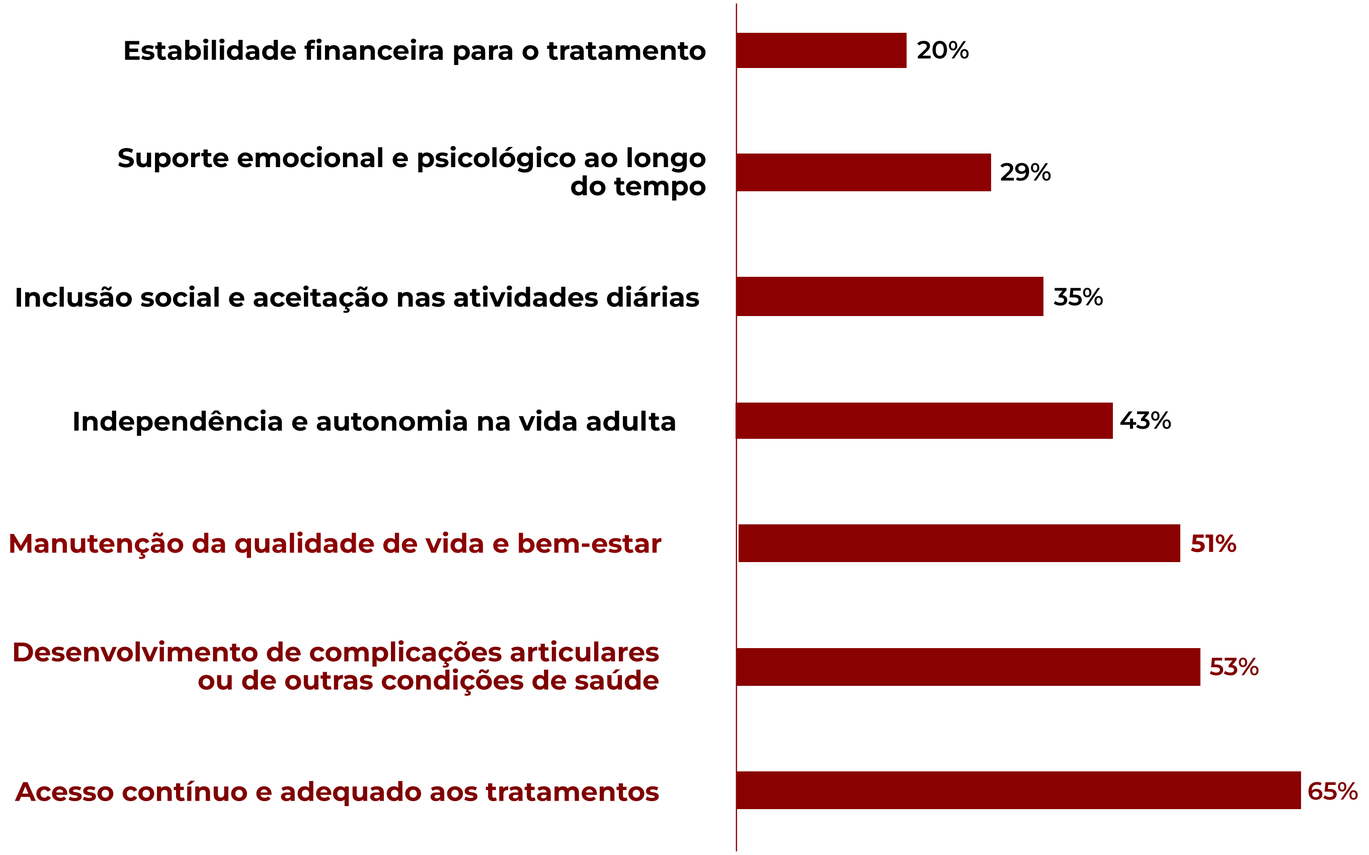


Gráfico 24 – Principais preocupações dos cuidadores em relação ao futuro do paciente

Quais melhorias são desejadas para o tratamento?

Em relação às **melhorias desejadas para o tratamento**, os **três principais aspectos** foram apontados pelos cuidadores:

92% | Disponibilidade de **terapias menos invasivas** *(como as subcutâneas)*

76% | Maior **acesso a tratamentos avançados**

67% | Menor frequência de infusões

*Esses achados se relacionam diretamente com os **desafios já relatados ao longo da pesquisa**, como a dificuldade de acesso venoso, a perda de doses e o esforço físico e emocional para manter a rotina de tratamento, principalmente nos casos em que a administração não ocorre no domicílio.*

*A busca por **maior praticidade, conforto e redução do impacto terapêutico** é, portanto, um dos principais desejos das famílias.*



Gráfico 25 – Melhorias desejadas no tratamento da hemofilia



Por fim, ao serem convidados a refletir sobre
o que representaria uma mudança significativa na qualidade de vida da criança, os cuidadores apontaram:

74,6% | Acesso a terapias menos invasivas e com **menor frequência** entre as infusões

13,7% | Programas de **apoio escolar e inclusão**

7,8% | Redução das restrições em atividades físicas e sociais

3,9% | Melhorias nas condições de transporte e armazenamento de medicamentos

Esses dados reforçam a convergência entre o desejo por maior independência, a praticidade do tratamento e o acesso equitativo às oportunidades de convivência e desenvolvimento.

Considerações Finais

Este relatório de pesquisa lançou luz sobre a **realidade vivida por cuidadores de crianças com hemofilia A grave na primeira infância**, um subgrupo particularmente vulnerável e ainda pouco explorado nos dados nacionais. Os **achados** apresentados **revelam um cenário de grande complexidade clínica, logística e emocional**, que afeta diretamente a qualidade de vida das crianças e de suas famílias.

Embora o fator VIII esteja amplamente disponível no SUS e represente o padrão terapêutico estabelecido, persistem **barreiras significativas à adesão ao tratamento.** As **dificuldades no acesso venoso, a frequência elevada de infusões, a dependência de centros especializados e a sobrecarga sobre os cuidadores** evidenciam uma lacuna entre a oferta terapêutica e as condições reais de manejo na infância.

Os dados também demonstram que **eventos clínicos graves**, como hemartroses e hemorragias intracranianas, **continuam a ocorrer, mesmo entre crianças em uso regular de profilaxia.** Tais ocorrências, somadas ao impacto funcional precoce e às limitações físicas, escolares e sociais já percebidas nessa fase da vida, reforçam a necessidade de revisão das estratégias de cuidado adotadas.

Além disso, o **estudo evidencia o peso emocional e socioeconômico assumido majoritariamente pelas mães**, que compõem a ampla maioria dos cuidadores. A interrupção de atividades profissionais, a carga logística das consultas e o custo indireto do cuidado configuram um quadro de desigualdade estrutural que demanda atenção urgente das políticas públicas.

Os cuidadores manifestam de forma clara os caminhos desejáveis para a transformação desse cenário: terapias menos invasivas, com menor frequência de infusões e mais compatíveis com a realidade pediátrica, além de suporte psicossocial, capacitação das escolas e maior descentralização dos serviços.

Espera-se que os achados aqui apresentados c**ontribuam para o reconhecimento da especificidade da infância na hemofilia e impulsionem respostas integradas que promovam equidade, proteção e bem-estar.** Que possam também orientar o aprimoramento das estratégias de cuidado, fortalecer as políticas públicas de saúde e ampliar a valorização da voz das famílias que enfrentam, diariamente, os múltiplos desafios impostos por essa condição.

Referências

- 01. Srivastava A, Santagostino E, Dougall A, et al. WFH guidelines for the management of hemophilia, 3rd edition. Haemophilia. 2020;26(Suppl 6):1–158. https://doi.org/10.1111/hae.14046
- 02. Brasil. Ministério da Saúde. Secretaria de Atenção Especializada à Saúde. Sistematização: dados coagulopatias hereditárias. Brasília: Ministério da Saúde; 2023.
- 03. Friedman KD, Rodgers GM. Inherited coagulation disorders. In: Greer JP, Foerster J, Rodgers GM, et al., editors. Wintrobe's Clinical Hematology. 12th ed. Philadelphia: Lippincott Williams & Wilkins; 2009. p. 1379–1424.
- 04. Manco-Johnson MJ, Soucie JM, Gill JC; Joint Outcomes Committee of the Universal Data Collection, US Hemophilia Treatment Center Network. Prophylaxis usage, bleeding rates, and joint outcomes of hemophilia, 1999 to 2010: a surveillance project. Blood. 2017;129(17):2368–74. doi:10.1182/blood-2016-02-683169
- 05. Zwagemaker AF, Gouw SC, Jansen JS, Vuong C, Coppens M, Hu Q, Feng X, Kim SK, Van der Bom JG, Fijnvandraat K. Incidence and mortality rates of intracranial hemorrhage in hemophilia: a systematic review and meta-analysis. Blood. 2021 Dec 30;138(26):2853-2873. doi: 10.1182/blood.2021011849. PMID: 34411236.
- 06. McCary I, et al. Real-world use of emicizumab in patients with haemophilia A: bleeding outcomes and surgical procedures. Haemophilia. 2020;26:631–6.
- 07. Núcleo Ciência Pela Infância – NCPI. Primeira infância [Internet]. Disponível em: https://ncpi.org.br/primeira-infancia/. Acesso em: 20 maio 2025.
- 08. Barone-Camp A, Myers EK, Bensard DD, Acker SN. Shock index, pediatric age adjusted: a scoping review of applications in pediatric trauma triage and beyond. J Trauma Acute Care Surg. 2025 Mar 25. doi:10.1097/TA.0000000000004601
- 09. Campbell KA. The neurobiology of childhood trauma, from early physical pain onwards: as relevant as ever in today's fractured world. Eur J Psychotraumatol. 2022;13(2). https://doi.org/10.1080/20008066.2022.2131969
- 10. Fischer K, Valentino L, Ljung R, Blanchette V. Prophylaxis for severe haemophilia: clinical challenges in the absence as well as in the presence of inhibitors. Haemophilia. 2008;14(Suppl 3):196–201. doi:10.1111/j.1365-2516.2008.01736.x
- 11. Trinchero A, Sholzberg M, Matino D. The evolution of hemophilia care: clinical and laboratory advances, opportunities, and challenges. Hamostaseologie. 2020;40(3):311–21. doi:10.1055/a-1175-6530
- 12. Manco-Johnson MJ, Abshire TC, Shapiro AD, et al. Prophylaxis versus episodic treatment to prevent joint disease in boys with severe hemophilia. N Engl J Med. 2007;357(6):535–44. doi:10.1056/NEJMoa067659
- 13. Berrueco R, Caballero N, López-Tierling M, et al. Mapping the patient experience in a pediatric hemophilia unit: our patient journey. J Clin Med. 2024;13(20):6235. https://doi.org/10.3390/jcm13206235
- 14. Skinner MW, Négrier C, Paz-Priel I, et al. The effect of emicizumab prophylaxis on long-term, self-reported physical health in persons with haemophilia A without factor VIII inhibitors in the HAVEN 3 and HAVEN 4 studies. Haemophilia. 2021;27(5):854–65. doi:10.1111/hae.14363
- 15. Schneider NB, Araujo CLP, Santos HWG, Lima S, Falavigna M, Pachito DV. Epidemiology, patient journey and unmet needs related to hemophilia in Brazil: a scoping review with evidence map. Hematol Transfus Cell Ther. 2024;46(4):533–41. doi:10.1016/j.htct.2023.12.004
- 16. Westesson LM, Sparud-Lundin C, Baghaei F, et al. Burden on parents of children with haemophilia: the impact of sociodemographic and child's medical condition. J Clin Nurs. 2019;28:4077–86. doi:10.1111/jocn.15003
- 17. Jiménez-Yuste V, et al. Burden of treatment on people with hemophilia: global real-world data. Blood. 2024;144:5077.
- 18. Khair K, Mackensen SV. Caregiver burden in haemophilia: results from a single UK centre. J Haemoph Pract. 2017;4(1):40-8. https://doi.org/10.17225/jhp00094
- 19. Halimeh S, Siebert M, Von Mackensen S. How caring for toddlers and young children with severe haemophilia impacts on caregiver's burden. Blood. 2019;134(Suppl 1):3461. https://doi.org/10.1182/blood-2019-131185
- 20. Associação Médica Brasileira. Mães são maioria entre cuidadoras de pacientes com doenças raras [Internet]. Brasília: AMB; [citado 2025 maio 26]. Disponível em: https://amb.org.br/brasilia-urgente/maes-sao-maioria-entre-cuidadoras-de-pacientes-com-doencas-raras/
- 21. Ministério da Saúde (BR). Portaria Conjunta nº 6, de 5 de abril de 2022. Aprova o Protocolo de uso de fatores de coagulação para a profilaxia primária em caso de hemofilia grave [Internet]. Brasília: Ministério da Saúde; 2022 [citado 2025 maio 26]. Disponível em: https://www.gov.br/saude/pt-br/assuntos/pcdt/p/profilaxia-primaria-em-caso-de-hemofilia-grave-protocolo-de-uso/view
- 22. Flood E, Pocoski J, Michaels LA, Bell JA, Valluri S, Sasanè R. Illustrating the impact of mild/moderate and severe haemophilia on health-related quality of life: hypothesised conceptual models. Eur J Haematol. 2014;93(1):9-18. https://doi.org/10.1111/ejh.12328
- 23. Thornburg CD, Duncan NA. Treatment adherence in hemophilia. Patient Prefer Adherence. 2017;11:1677-86. https://doi.org/10.2147/PPA.S139851
- 24. Hacker MR, Geraghty S, Manco-Johnson M. Barriers to compliance with prophylaxis therapy in haemophilia. Haemophilia. 2001;7(4):392-6. https://doi.org/10.1111/j.1365-2516.2001.00534.x
- 25. Schrijvers LH, Beijlevelt-van der Zande M, Peters M, Schuurmans MJ, Fischer K. Learning intravenous infusion in haemophilia: experience from the Netherlands. Haemophilia. 2012;18(4):516-20. https://doi.org/10.1111/j.1365-2516.2012.02752.x
- 26. Dunn A, Patterson J, Biega CF, Grishchenko A, Luna J, Stanek JR, et al. A novel clinician-orchestrated virtual reality platform for distraction during pediatric intravenous procedures in children with hemophilia: randomized controlled trial. JMIR Serious Games. 2019;7(1):e10902. https://doi.org/10.2196/10902
- 27. Halimeh S, Siebert M, Von Mackensen S. How caring for toddlers and young children with severe haemophilia impacts on caregiver's burden. Blood. 2019;134(Suppl 1):3461. https://doi.org/10.1182/blood-2019-131185
- 28. Nwagha TU, Okoye HC, Nonyelu CE, Ejezie CS, Obodo OI, Adediran M. Appraising haemophilia caregivers burden in the resource-limited setting: a Nigerian survey. Niger J Med. 2023;32(6):600-5. https://doi.org/10.4103/NJM.NJM_17_24
- 29. Zhou ZY, Riske B, Forsberg AD, Ullman M, Baker JR, Koerper MA, et al. Self-reported barriers to hemophilia care in people with factor VIII deficiency. Am J Prev Med. 2011;41(6 Suppl 4):S346-53. https://doi.org/10.1016/j.amepre.2011.09.003
- 30. Saxena K. Barriers and perceived limitations to early treatment of hemophilia. J Blood Med. 2013;4:49-56. https://doi.org/10.2147/JBM.S43734
- 31. Pierce GF, Adediran M, Diop S, Dunn AL, El Ekiaby M, Kaczmarek R, Konkle BA, Pipe SW, Skinner MW, Valentino LA, Robinson F, Ampartzidis G, Martin J, Haffar A. Achieving access to haemophilia care in low-income and lower-middle-income countries: expanded Humanitarian Aid Program of the World Federation of Hemophilia after 5 years. Lancet Haematol. 2022 Sep;9(9):e689-e697. doi: 10.1016/S2352-3026(22)00209-5.
- 32. Jovem C. Non-factor therapies for hemophilia. HemaSphere. 2023;7(6):e911. https://doi.org/10.1097/HS9.0000000000000911
- 33. Chowdary P. Nonfactor Therapies: New Approaches to Prophylactic Treatment of Haemophilia. Hamostaseologie. 2021 Aug;41(4):247-256. doi: 10.1055/a-1424-7900. Epub 2021 Jun 29. PMID: 34187062.
- 34. Regling K, Callaghan MU, Sidonio R Jr. Managing Severe Hemophilia A in Children: Pharmacotherapeutic Options. Pediatric Health Med Ther. 2022;13:27-35 https://doi.org/10.2147/PHMT.S293246
- 35. Shima M, Hanabusa H, Taki M, Matsushita T, Sato T, Fukutake K, Fukazawa N, Yoneyama K, Yoshida H, Nogami K. Factor VIII-Mimetic Function of Humanized Bispecific Antibody in Hemophilia A. N Engl J Med. 2016 May 26;374(21):2044-53. doi: 10.1056/NEJMoa1511769. PMID: 27223146.
- 36. Roy S, De AK. Effect of prophylactic management of hemophilia on bleeding episodes. Indian J Hematol Blood Transfus. 2019;35:496-501. https://doi.org/10.1007/s12288-018-1054-6
- 37. Valentino LA. Considerations in individualizing prophylaxis in patients with haemophilia A. Haemophilia. 2014;20(5):607-15. https://doi.org/10.1111/hae.12438
- 38. Wu R, Wu X, Zhang N, Zhao L, Zhang J, Luke KH, Poon MC, Peng Y, Andrea D. Joint disease status of severe and moderate haemophilia patients at the Beijing Children's Hospital: early onset and rapid increasing severity of arthropathy in 90% of patients by 6 years of age. Haemophilia. 2014 May;20(3):e227-30. doi: 10.1111/hae.12394. Epub 2014 Mar 3. PMID: 24589184.
- 39. Oldenburg J. Optimal treatment strategies for hemophilia: achievements and limitations of current prophylactic regimens. Blood. 2015 Mar 26;125(13):2038-44. doi: 10.1182/blood-2015-01-528414. Epub 2015 Feb 23. PMID: 25712992.

Referências

- 40. de Moerloose P, Davis JA, Benchikh El Fegoun S, Habis R, Klamroth R. Barriers and challenges for the fast treatment of bleeds in the non-haemophilia treatment centre hospital setting. Haemophilia. 2020 May;26(3):422-430. doi: 10.1111/hae.13956. Epub 2020 Mar 9. PMID: 32147924.
- 39. Oldenburg J. Optimal treatment strategies for hemophilia: achievements and limitations of current prophylactic regimens. Blood. 2015 Mar 26;125(13):2038-44. doi: 10.1182/blood-2015-01-528414. Epub 2015 Feb 23. PMID: 25712992.
- 40. de Moerloose P, Davis JA, Benchikh El Fegoun S, Habis R, Klamroth R. Barriers and challenges for the fast treatment of bleeds in the non-haemophilia treatment centre hospital setting. Haemophilia. 2020 May;26(3):422-430. doi: 10.1111/hae.13956. Epub 2020 Mar 9. PMID: 32147924.
- 41. Pinto PR, Paredes AC, Almeida A. Pain Prevalence, Characteristics, and Impact Among People with Hemophilia: Findings from the First Portuguese Survey and Implications for Pain Management. Pain Med. 2020 Mar 1;21(3):458-471. doi: 10.1093/pm/pny309. PMID: 30812031.
- 42. Cutter S, Molter D, Dunn S, Hunter S, Peltier S, Haugstad K, Frick N, Holot N, Cooper DL. Impact of mild to severe hemophilia on education and work by US men, women, and caregivers of children with hemophilia B: The Bridging Hemophilia B Experiences, Results and Opportunities into Solutions (B-HERO-S) study. Eur J Haematol. 2017 Apr;98 Suppl 86:18-24. doi: 10.1111/ejh.12851. PMID: 28319337.
- 43. Emerson ND, Distelberg B, Morrell HE, Williams-Reade J, Tapanes D, Montgomery S. Quality of Life and School Absenteeism in Children With Chronic Illness. J Sch Nurs. 2016 Aug;32(4):258-66. doi: 10.1177/1059840515615401. Epub 2015 Nov 15. PMID: 26572160; PMCID: PMC4867299.
- 44. Lum A, Wakefield CE, Donnan B, Burns MA, Fardell JE, Marshall GM. Understanding the school experiences of children and adolescents with serious chronic illness: a systematic meta-review. Child Care Health Dev. 2017 Sep;43(5):645-662. doi: 10.1111/cch.12475. Epub 2017 May 23. PMID: 28543609.
- 45. García-Ripoll M, De la Corte-Rodríguez H. Disability and the social impact of hemophilia. Blood Coagul Fibrinolysis. 2023 Jun 1;34(S1):S26-S28. doi: 10.1097/MBC.0000000000001207. PMID: 37254728.
- 46. Cobham VE, Hickling A, Kimball H, Thomas HJ, Scott JG, Middeldorp CM. Systematic Review: Anxiety in Children and Adolescents With Chronic Medical Conditions. J Am Acad Child Adolesc Psychiatry. 2020 May;59(5):595-618. doi: 10.1016/j.jaac.2019.10.010. Epub 2019 Oct 30. PMID: 31676391.
- 47. Crespo C, Santos S, Canavarro MC, Kielpikowski M, Pryor J, Féres-Carneiro T. Family routines and rituals in the context of chronic conditions: a review. Int J Psychol. 2013;48(5):729-46. doi: 10.1080/00207594.2013.806811. Epub 2013 Jul 15. PMID: 23848452.
- 48. Belzer LT, Wright SM, Goodwin EJ, Singh MN, Carter BS. Psychosocial Considerations for the Child with Rare Disease: A Review with Recommendations and Calls to Action. Children (Basel). 2022 Jun 21;9(7):933. doi: 10.3390/children9070933. PMID: 35883917; PMCID: PMC9325007.
- 49. DeKoven M, Karkare S, Kelley LA, Cooper DL, Pham H, Powers J, Lee WC, Wisniewski T. Understanding the experience of caring for children with haemophilia: cross-sectional study of caregivers in the United States. Haemophilia. 2014 Jul;20(4):541-9. doi: 10.1111/hae.12379. Epub 2014 Jan 29. PMID: 24472032.
- 50. Halimeh S, Siebert M, Von Mackensen S. How caring for toddlers and young children with severe haemophilia impacts on caregiver's burden. Blood. 2019;134(Suppl 1):3461. https://doi.org/10.1182/blood-2019-131185
- 51. von Mackensen S, Myrin Westesson L, Kavakli K, Klukowska A, Escuriola C, Uitslager N, Santoro C, Holland M, Khair K. The impact of psychosocial determinants on caregivers' burden of children with haemophilia (results of the BBC study). Haemophilia. 2019 May;25(3):424-432. doi: 10.1111/hae.13684. Epub 2019 Apr 11. PMID: 30974034.



Realização: ABRAPHEM Associação Brasileira de Pessoas com Hemofilia

Coordenação Científica: Supera Consultoria Projetos Estratégicos, ATS e Pesquisas em Saúde

Investimento: Roche

Julho de 2025