BƯỚC ĐẦU ĐÁNH GIÁ HIỆU QUẢ VÀ ĐỘ AN TOÀN CỦA EMICIZUMAB TRONG ĐIỀU TRỊ DỰ PHÒNG Ở BỆNH NHI HEMOPHILIA A TẠI BỆNH VIỆN TRUYỀN MÁU HUYẾT HỌC – BÁO CÁO LOẠT 5 CA BỆNH

Phù Chí Dũng[1]
Vương Thảo Nguyên[1]
Ngô Văn Tân[1]
Nguyễn Thị Hồng Hoa[1]

[1] *Bệnh viện Truyền máu Huyết học*

Tác giả chịu trách nhiệm
Vương Thảo Nguyên
Bệnh viện Truyền máu Huyết học
Email: saphira2501@yahoo.com

Ngày nhận bài: 08/08/2026
Ngày phản biện: 30/09/2026
Ngày đồng ý đăng: 28/10/2026

DOI: 10.52322/jocmbmh.156.0315

TÓM TẮT

Mục tiêu: Đánh giá hiệu quả dự phòng xuất huyết và xác định các biến cố bất lợi của emicizumab trên bệnh nhi hemophilia A (HA).

Đối tượng và phương pháp nghiên cứu: Nghiên cứu hồi cứu mô tả loạt ca trên 5 bệnh nhi chẩn đoán HA tại Bệnh viện Truyền máu Huyết học từ tháng 02/2022 đến tháng 02/2024. Hiệu quả được đánh giá qua tần suất xuất huyết và xuất huyết khớp hàng năm (ABR/AJBR), tình trạng khớp. Độ an toàn được ghi nhận qua biến cố bất lợi.

Kết quả: Sau điều trị emicizumab, ABR của tất cả bệnh nhi đều giảm rõ rệt, AJBR giảm ở cả 4 bệnh nhi có xuất huyết khớp trước điều trị và điểm HJHS sau điều trị đều là 0. Có 4/5 bệnh nhi không ghi nhận tác dụng phụ; 1 bệnh nhi bị sưng, ngứa tại vị trí tiêm và sốt.

Kết luận: Kết quả bước đầu cho thấy emicizumab là liệu pháp dự phòng hiệu quả và an toàn ở bệnh nhi HA, giúp giảm xuất huyết và ổn định tình trạng khớp với ít tác dụng bất lợi.

Từ khóa: *Hemophilia A, emicizumab, điều trị dự phòng, bệnh nhi, xuất huyết, độ an toàn.*

1. ĐẶT VẤN ĐỀ

Hemophilia A (HA) là bệnh do thiếu yếu tố VIII (FVIII), chiếm 85% các trường hợp hemophilia, với tỷ lệ mắc khoảng 1/5.000 trẻ trai. Điều trị chuẩn là điều trị phòng ngừa, bằng cách truyền tĩnh mạch định kỳ FVIII cô đặc. Ngoài ra, nguy cơ phát triển kháng thể chống FVIII có thể xảy ra ở khoảng 30% người bệnh (NB) HA nặng điều trị FVIII. Ở NB HA đã có chất ức chế thì cần sử dụng thuốc bắc cầu kết hợp tận diệt chất ức chế bằng kỹ thuật cảm ứng dung nạp miễn dịch với chi phí rất tốn kém.

Emicizumab là một kháng thể đơn dòng đặc hiệu kép, tác động qua cơ chế bắc cầu giữa yếu tố IXa và yếu tố X, tạo ra hiệu ứng tương tự chức năng FVIIIa đã bị mất trong HA. Emicizumab được dùng qua đường tiêm dưới da và tần suất sử dụng có thể cách mỗi 4 tuần trong giai đoạn duy trì nên tránh được tần suất dày đặc của tiêm

truyền FVIII. Việc tổng kết các dữ liệu thực tế liên quan hiệu quả và độ an toàn của emicizumab giúp chúng tôi rút ra kinh nghiệm thực hành lâm sàng cũng như chia sẻ kinh nghiệm này với đồng nghiệp. Vì vậy, chúng tôi tiến hành nghiên cứu này nhằm đánh giá hiệu quả và xác định các biến cố bất lợi của emicizumab.

2. ĐỐI TƯỢNG VÀ PHƯƠNG PHÁP NGHIÊN CỨU

Thiết kế nghiên cứu: Nghiên cứu hồi cứu mô tả ca bệnh.

Đối tượng nghiên cứu: 5 bệnh nhi HA điều trị emicizumab tại Bệnh viện Truyền máu Huyết học từ tháng 02/2022 đến tháng 02/2024.

Tiêu chuẩn chọn đối tượng: nam ≤16 tuổi, chẩn đoán HA, điều trị emicizumab ≥12 tuần, loại trừ HA mắc phải.

Phương pháp chọn mẫu: Chọn toàn bộ NB thỏa tiêu chuẩn.

Tiêu chuẩn đánh giá:

- Đặc điểm bệnh, gồm tuổi, nồng độ FVIII, đột biến gen, chất ức chế, khớp đích, thang điểm sức khỏe khớp (Hemophilia Joint Health Score – HJHS)

- Đặc điểm điều trị emicizumab, gồm tuổi khởi trị, thời gian dùng, liều thực dùng, chi phí thuốc emicizumab, xét nghiệm APTT, nồng độ FVIII

- Hiệu quả của emicizumab, gồm chỉ số xuất huyết (tần suất xuất huyết hàng năm – ABR, tần suất xuất huyết khớp hàng năm – AJBR) và tình trạng khớp (khớp đích, HJHS)

- Biến cố bất lợi của emicizumab

Phương pháp toán thống kê và cỡ mẫu: vì số lượng 5 ca bệnh nên không áp dụng phương pháp toán thống kê và công thức tính cỡ mẫu, chỉ dùng kỹ thuật mô tả từng ca.

Đạo đức nghiên cứu: Nghiên cứu được thông qua Hội đồng đạo đức của Bệnh viện Truyền máu Huyết học.

3. KẾT QUẢ

3.1. Đặc điểm bệnh

Bảng 1. Đặc điểm bệnh của 5 bé trai HA (trước điều trị emicizumab)

Bệnh nhi	Tuổi (tháng)	FVIII (%)	Đột biến gen	Chất ức chế (BU)	Khớp đích	HJHS
1	33	0	Chưa có dữ liệu*	0	0	0
2	40	0,2	Xq28(154248151-1543017116)x0	0	0	0
3	15	0	c.2529_2547del19 (p.I844fsX4)	0	0	0
4	67	0,1	Intron 22	0	1 *cổ chân trái*	1
5	46	0	c.6194G>A (p.Trp2065Ter)	20-562	0	0

** Giải trình tự gen FVIII (exon 1-26) trên hệ thống ABI Genetic Analyzer 3500: không phát hiện đột biến trên vùng exon 1 đến 3 và exon 5 đến 26, không khuếch đại được vùng exon 4 → nghi ngờ mất đoạn hay chèn đoạn kích thước lớn, hiện tại phòng xét nghiệm chưa đủ phương tiện để xác định.*

- Tuổi tại thời điểm khởi trị nhỏ nhất là 1 tháng và lớn nhất là 56 tháng.

- Tất cả đều là HA thể nặng (yếu tố VIII < 1%); 1 bệnh nhi có chất ức chế hiệu giá cao; 1 bệnh nhi

có biểu hiện ở khớp đích là khớp cổ chân trái và có thang điểm HJHS là 1; các bé trai còn lại chưa có biểu hiện khớp và thang điểm HJHS là 0.

3.2. Đặc điểm điều trị emicizumab

Bảng 2. Đặc điểm điều trị emicizumab

Bệnh nhi	Tuổi khởi trị (tháng)	Thời gian điều trị (tháng)	Liều nạp (mg/kg/tuần)	Liều duy trì (mg/kg/4 tuần)	Chi phí (triệu đồng)	Điều trị trước emicizumab	
						Khi xuất huyết	Dự phòng
1	8	25	4*	5,5*	1.624	KTL + FVIII	Không
2	25	15	3	5,5*	952	FVIII	Không
3	1	14	3	6	840	FVIII	Không
4	56	11	3	6	1.344	KTL + FVIII	Không
5	35	11	3	6	1.092	FVIII + rFVIIa	Không

** Làm tròn lọ; KTL: kết tủa lạnh; rFVIIa: yếu tố VIIa tái tổ hợp.*

- Tuổi khởi trị emicizumab của các bệnh nhi từ 1 đến 56 tháng tuổi; thời gian điều trị từ 11 đến 25 tháng.

- Tất cả bệnh nhi đều không điều trị dự phòng trước điều trị emicizumab, chỉ điều trị xuất huyết bằng kết tủa lạnh, yếu tố VIII cô đặc hoặc yếu tố VIIa tái tổ hợp.

- Liều điều trị: liều nạp 3 mg/kg/tuần trong 4 tuần, sau đó duy trì 6 mg/kg mỗi 4 tuần.

- Chi phí điều trị tùy cân nặng và thời gian điều trị, từ 840 đến 1.624 triệu đồng.

3.3. Hiệu quả của emicizumab

Bảng 3. Hiệu quả điều trị của emicizumab

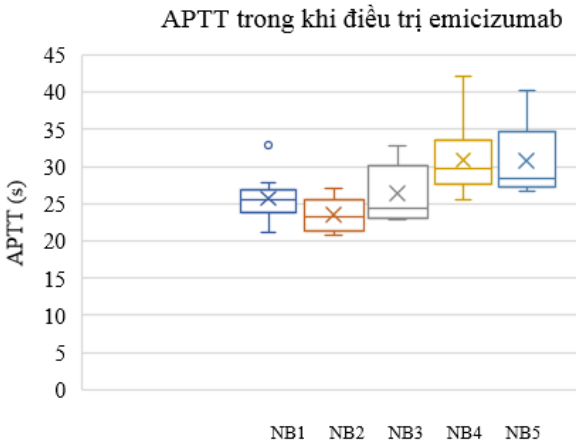
Bệnh nhi	ABR		AJBR		Khớp đích ổn định	HJHS
	Trước	Sau	Trước	Sau		
1	1,7 (tụ máu cánh tay)	0,5 (tụ máu đầu)*	0	0	Có	0
2	2 (1 xh não, 1 xh khớp)	0	1	0	Có	0
3	6 (1 xh não, 5 xh khớp)	0	5	0	Có	0
4	11 (9 xh khớp, 2 xh cơ)	1,5 (1 xh khớp)*	9	1,5	Có	0
5	6 (2 xh não, 4 xh khớp)	0	4	0	Có	0

** do va chạm, được điều trị FVIII; xh: xuất huyết.*

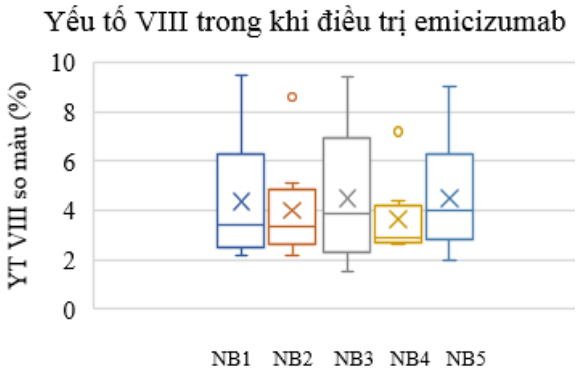
- Trước khi điều trị emicizumab: tất cả bệnh nhi đều có ABR tự nhiên từ 1,7 trở lên.

- Sau khi sử dụng emicizumab: chúng tôi ghi nhận không có bệnh nhi nào xuất huyết tự nhiên, kể cả xuất huyết não. Tình trạng "không xuất huyết mới" đạt ở 3/5 bệnh nhi; 2 bệnh nhi

còn lại chỉ xuất huyết do va chạm. Tất cả bệnh nhi đều có tình trạng khớp ổn định và thang điểm HJHS là 0.



Biểu đồ 1. Biến thiên giá trị APTT



Biểu đồ 2. Biến thiên giá trị FVIII

- Chỉ số APTT trở về ở mức giới hạn bình thường ở tất cả các trường hợp.

- Đối với nồng độ yếu tố VIII, từ 0-0,2% nâng lên mức trung bình là 3-4% ở tất cả các bệnh nhi.

3.4. Biến cố bất lợi của emicizumab

Bảng 4. Biến cố bất lợi của emicizumab

Bệnh nhi	Tại chỗ tiêm	Sốt	Huyết khối	Vi huyết khối	Đau đầu	Phản ứng phản vệ	Tạm ngưng/ giảm liều*	Ngưng vĩnh viễn*
1	Không	Không	Không	Không	Không	Không	Không	Không
2	Không	Không	Không	Không	Không	Không	Không	Không
3	Không	Không	Không	Không	Không	Không	Không	Không
4	Không	Không	Không	Không	Không	Không	Không	Không
5	Ngứa, sưng	Có	Không	Không	Không	Không	Có**	Không

** Do tác dụng phụ của emicizumab; ** có thể do chăm sóc xử trí không phù hợp làm viêm nặng chỗ tiêm phải hoãn mũi tiêm emicizumab 1 tuần*

- Không ghi nhận trường hợp nào cần phải ngưng thuốc emicizumab trong quá trình điều trị.

- Bệnh nhi số 5 có sưng ngứa tại vị trí tiêm chích, sốt và tạm ngưng 1 liều emicizumab, sau đó tiếp tục sử dụng bình thường.

4. BÀN LUẬN

4.1. Đặc điểm 5 bệnh nhi HA

4.1.1. Độ tuổi khởi trị emicizumab dự phòng

Liên đoàn Hemophilia Thế giới (WFH) khuyến cáo nên bắt đầu điều trị dự phòng ở trẻ em mắc bệnh hemophilia nặng trước 3 tuổi.

Trong sổ đăng ký PedNet, 17 trong số 20 (85%) trung tâm chăm sóc bệnh hemophilia đã bắt đầu điều trị bằng emicizumab trước 12 tháng tuổi, trong đó có ba trung tâm (10%) bắt đầu điều trị bằng emicizumab trước 3 tháng tuổi. Tác giả Ahmed S hồi cứu 15 trẻ em bắt đầu dùng emicizumab trong thời kỳ sơ sinh và nhũ nhi. Độ tuổi trung bình khi bắt đầu điều trị dự phòng bằng emicizumab là 13 tuần, trong khoảng từ 1-48 tuần [1].

Chúng tôi bắt đầu điều trị emicizumab cho 5 bé trai với số tháng tuổi nhỏ nhất là 1 tháng và số tháng tuổi lớn nhất là 56 tháng. Các bé trai đều được chẩn đoán là HA mức độ nặng với FVIII từ 0-0,2%. Trường hợp bé trai 56 tháng có biểu hiện ở khớp đích là khớp cổ chân trái và có thang điểm HJHS là 1 (bảng 1).

4.1.2. Liều điều trị emicizumab

Về liều điều trị, chúng tôi sử dụng liều nạp 3 mg/kg/tuần trong 4 tuần, sau đó duy trì 6 mg/kg mỗi 4 tuần. Tuy nhiên do làm tròn lọ và cân nặng bé có thay đổi nên liều thực dùng đôi khi chênh lệch chút ít với liều khuyến cáo như bảng 2. Tất cả các bé trai đều không điều trị dự phòng trước đó (bảng 2).

Nghiên cứu Kim S.E báo cáo 21 bệnh nhi mắc HA nặng không có chất ức chế đã được điều trị bằng emicizumab trong hơn 6 tháng. Tất cả bệnh nhi được dùng phác đồ liều nạp emicizumab là 3 mg/kg hàng tuần trong 4 tuần, sau đó là phác đồ duy trì có điều chỉnh, trong đó 2 bệnh nhi (9,5%) được dùng liều 1,5 mg/kg hàng tuần, 3 bệnh nhi (14,3%) được dùng liều 6 mg/kg sau mỗi 4 tuần và 16 bệnh nhi còn lại (76,2%) được dùng liều 3 mg/kg sau mỗi 2 tuần [5]. Nghiên cứu chúng tôi có các chỉ định về liều và quy trình điều trị emicizumab tương tự như các nghiên cứu trên thế giới đã được chứng minh có hiệu quả và an toàn.

4.2. Đánh giá hiệu quả của emicizumab

4.2.1. Đánh giá qua đặc điểm lâm sàng

Kết quả điều trị của chúng tôi đạt hiệu quả cao. Trước điều trị, tất cả bệnh nhi đều có tình trạng xuất huyết tự nhiên từ 1,7 trở lên, có bệnh nhi số 4 là 11 lần, trong đó 9 lần là xuất huyết khớp, có 3 bệnh nhi có xuất huyết não tự nhiên. Sau điều trị emicizumab, chúng tôi ghi nhận không có bệnh nhi nào xuất huyết tự nhiên, cũng như không có bệnh nhi nào xuất huyết não. Chỉ có 2 bệnh nhi bị xuất huyết do va chạm. Tất cả bệnh nhi đều có tình trạng khớp ổn định và thang điểm HJHS sau điều trị emicizumab là 0 (bảng 3).

Tác giả Thota U.R báo cáo điều trị emicizumab trên 18 bệnh nhi từ 1 tháng đến 12 tuổi bị HA nặng. Tác giả ghi nhận một năm trước khi bắt đầu dùng emicizumab, tổng cộng có 229 lần chảy máu xảy ra. Sau khi dự phòng bằng emicizumab, 5 bệnh nhân có 1 đợt chảy máu, mỗi bệnh nhân có thời gian chảy máu trung bình là 1,2 ngày trong một năm. ABR giảm đáng kể từ 12,7 ± 8,61 xuống còn 0,28 ± 0,46 ($p < 0,001$). Trong đó, 72,2% bệnh nhân không có trường hợp chảy máu nào trong khi dùng emicizumab. AJBR giảm từ 9,72 ± 7,44 xuống 0,17 ± 0,38 ($p < 0,001$) và không ghi nhận bất kỳ biến cố bất lợi nào [6]. Từ đó cho thấy việc điều trị dự phòng emicizumab ở trẻ em HA nặng có hiệu quả cao.

4.2.2. Đánh giá qua các thông số xét nghiệm đông máu

Chúng tôi nhận thấy tác dụng của emicizumab trên 5 bệnh nhi có thể ghi nhận gián tiếp thông qua các xét nghiệm APTT và FVIII bằng phương pháp so màu. Ngay sau khi điều trị liều nạp và chuyển sang liều duy trì, các chỉ số APTT trở về ở mức giới hạn bình thường ở tất cả các trường hợp (biểu đồ 1). Đối với nồng độ FVIII

ban đầu, từ 0-0,2% (phương pháp 1 giai đoạn), tăng nhẹ 3-4% (phương pháp so màu) ở tất cả các bệnh nhi (biểu đồ 2). Đây là một bằng chứng gián tiếp cho thấy tác dụng của emicizumab dự phòng ở NB hemophilia A nặng.

Tác giả Kizilocak H ước tính mức FVIII tương đương ở các NB HA nặng có chất ức chế được điều trị dự phòng bằng emicizumab. NB có HA vừa và nhẹ ở trạng thái không chảy máu và nhóm đối chứng khỏe mạnh đã được đánh giá nồng độ FVIII và quá trình tạo thrombin. Tác giả nhận thấy mức FVIII tương đương (ước tính theo quá trình tạo thrombin) của tất cả các NB dùng emicizumab đều trên 10%, tương ứng thể bệnh nhẹ [4]. Qua đó, chúng tôi nhận thấy có thể gián tiếp theo dõi tác dụng của emicizumab qua định lượng FVIII bằng kỹ thuật so màu.

4.3. Xác định biến cố bất lợi của emicizumab

Chúng tôi không ghi nhận trường hợp nào cần phải ngưng hoàn toàn emicizumab trong điều trị. Có 4/5 bệnh nhi không có bất kỳ biểu hiện tác dụng phụ nào, trừ bệnh nhi số 5. Qua tìm hiểu, có thể do người nhà tự ý bôi dầu, xoa bóp, chườm nóng chỗ tiêm khi ở nhà. Sau 30 phút, bé có biểu hiện đau, nóng, sưng tại chỗ tiêm và phải nhập viện điều trị thuốc giảm đau, kháng viêm 1 tuần. Do đó, mũi emicizumab kế tiếp phải trì hoãn 1 tuần. Từ đó cho thấy tầm quan trọng của việc giáo dục sức khỏe cho NB cũng như người chăm sóc (bảng 4).

Tác giả Ahmed S hồi cứu 15 trẻ sơ sinh và nhũ nhi dùng emicizumab ghi nhận ngoài phản ứng da thoáng qua nhẹ ở 2 trẻ, không có tác dụng phụ nào khác. Không có trẻ nào ngừng dùng emicizumab do các tác dụng phụ [1].

4.4. Hạn chế của đề tài nghiên cứu

Emicizumab là thuốc dự phòng xuất huyết trong điều trị bệnh HA, được sử dụng ở nhiều nước trên thế giới [7] với hiệu quả và độ an toàn được chứng minh rõ rệt [8]. Tuy nhiên, chi phí điều trị cao là một trong những rào cản lớn đối với khả năng tiếp cận emicizumab của người bệnh, đồng thời hạn chế số lượng bệnh nhi có thể đưa vào nghiên cứu.

Chúng tôi ghi nhận chi phí điều trị dao động từ 840.000.000 đồng đến 1.624.000.000 đồng. Đây là một chi phí rất lớn và gánh nặng trong quá trình điều trị cho gia đình. Thời gian điều trị kéo dài làm tăng gánh nặng kinh tế, dẫn đến nguy cơ bỏ điều trị. Bên cạnh đó, hiệu quả lâu dài của việc dùng emicizumab trên bệnh nhi HA so với chi phí điều trị vẫn còn là một vấn đề cần bàn luận thêm.

5. KẾT LUẬN

Đặc điểm 5 bệnh nhi điều trị emicizumab: Tất cả bệnh nhi đều là HA thể nặng, không điều trị dự phòng trước đó; 1 bệnh nhi có chất ức chế hiệu giá cao.

Đánh giá hiệu quả của emicizumab trên bệnh nhi HA: sau điều trị, không ghi nhận trường hợp xuất huyết não; chỉ có 2/5 bệnh nhi xuất huyết do va chạm. Tình trạng khớp ổn định, điểm HJHS đạt 0 ở tất cả bệnh nhi.

Xác định các biến cố bất lợi của emicizumab: Không có bệnh nhi nào phải ngừng điều trị do biến cố bất lợi. Có 4/5 bệnh nhi không ghi nhận tác dụng phụ; 1 bệnh nhi xuất hiện sưng, ngứa tại vị trí tiêm và sốt, dẫn đến trì hoãn mũi tiêm tiếp theo một tuần.

Qua kết quả nghiên cứu trên thế giới và của chúng tôi, emicizumab có tính an toàn cao, dung nạp tốt với bệnh nhi mắc HA. Tuy nhiên vẫn cần có những nghiên cứu với cỡ mẫu lớn hơn và thời gian theo dõi dài hơn về tác động lâu dài của emicizumab trên trẻ em HA thể nặng.

Thực hiện thêm nhiều nghiên cứu với cỡ

mẫu lớn hơn, thời gian theo dõi lâu dài hơn, đánh giá chất lượng cuộc sống của người bệnh hemophilia A sau điều trị emicizumab. Từ đó đưa emicizumab vào phác đồ điều trị dự phòng trên bệnh nhân hemophilia A trẻ em cũng như người trưởng thành có hoặc không có chất ức chế, được bảo hiểm y tế hỗ trợ chi trả một phần hoặc toàn bộ nhằm ngăn ngừa và giảm thiểu xuất huyết.

TÀI LIỆU THAM KHẢO

1. Ahmed S, Kavanagh M, Kelly I, et al. Safety and outcome of early start of emicizumab in neonates and infants with severe hemophilia A, a real-world experience. *Blood. 2024*;144(Suppl 1):3976. doi:10.1182/blood-2024-203316
2. World Federation of Hemophilia. *Gene therapy for hemophilia A. 2024*.
3. Schmitt C, Adamkewicz JI, Xu J, et al. Pharmacokinetics and pharmacodynamics of emicizumab in persons with hemophilia A with factor VIII inhibitors: HAVEN 1 study. *Thromb Haemost. 2021*;121(3):351-360. doi:10.1055/s-0040-1717114
4. Kizilocak H, Marquez-Casas E, Malvar J, Carmona R, Young G. Determining the approximate factor VIII level of patients with severe haemophilia A on emicizumab using in vivo global haemostasis assays. *Haemophilia. 2021*;27(5):730-735. doi:10.1111/hae.14359
5. Kim SE, Kim JY, Park JA, et al. Real-world experience of emicizumab prophylaxis in Korean children with severe hemophilia A without inhibitors. *Blood Res. 2024*;59(1):34. doi:10.1007/s44313-024-00039-1
6. Thota UR, Martha S, Ravula CJ, Cherukuri N. Emicizumab in children with severe hemophilia A. *Indian J Pediatr*. 2025;92(11):1175-1180. doi:10.1007/s12098-024-05263-2
7. Scott LJ, Kim ES. Emicizumab-kxwh: first global approval. *Drugs. 2018*;78(2):269-274. doi:10.1007/s40265-018-0861-2
8. Oldenburg J, Mahlangu JN, Bujan W, et al. The effect of emicizumab prophylaxis on health-related outcomes in persons with haemophilia A with inhibitors: HAVEN 1 study. *Haemophilia*. 2019;25(1):33-44. doi:10.1111/hae.13618

ABSTRACT

PRELIMINARY EVALUATION OF THE EFFICACY AND SAFETY OF EMICIZUMAB PROPHYLAXIS IN PEDIATRIC PATIENTS WITH HEMOPHILIA A

Objective: To evaluate the efficacy of emicizumab and identify treatment-related adverse events in pediatric patients with hemophilia A.

Subjects and methods: A retrospective case-series study was conducted in 5 male pediatric patients diagnosed with hemophilia A (HA) and treated with emicizumab at the Blood Transfusion and Hematology Hospital between February 2022 and February 2024. Treatment efficacy was assessed using the annualized bleeding rate (ABR), annualized joint bleeding rate (AJBR), target joint status, and the Hemophilia Joint Health Score (HJHS). Safety was evaluated through the monitoring of adverse events.

Results: Following emicizumab treatment, ABR decreased markedly in all patients, AJBR decreased in all four patients with joint bleeding before treatment, and the post-treatment HJHS was 0 in all

patients. Four of the five patients had no adverse events; one patient developed injection-site swelling and itching with fever.

Conclusion: Preliminary findings suggest that emicizumab is an effective and safe prophylactic therapy for pediatric patients with HA, reducing bleeding episodes and stabilizing joint status with few adverse effects.

Keywords: *Hemophilia A, emicizumab, prophylaxis, pediatric, bleeding rate, safety.*