

Mutações no PIGA resultam na perda de todas as proteínas ancoradas no GPI, como a CD59, uma importante proteína reguladora do complemento, na superfície dos eritrócitos. Como consequência, as células ficam suscetíveis à ativação pelo complemento, levando à hemólise intravascular contínua. **Objetivo:** Relatar um caso de Anemia Aplástica, com a associação à Hemoglobínúria Paroxística Noturna (HPN), enfatizando os aspectos fisiopatológicos, clínicos, diagnósticos e tratamento. **Material e métodos:** Trata-se de um estudo de caráter exploratório transversal por meio da análise dos prontuários e resultados de exames. **Resultados:** Paciente feminino de 54 anos, com diagnóstico (AA) severa sintomática (resposta da série granulocítica e plaquetária após o uso de imunossupressor (ciclosporina), apresentando associado à anemia, DHL elevado, aumento da bilirrubina indireta e teste de coombs negativo, com citometria de fluxo positiva HPN, demonstrando que 33% das hemácias apresentam perda total de expressão de CD59 (população HPN III). Da mesma forma, 86% dos neutrófilos apresentam perda de expressão CD24 e aerolisina, em 91% dos monócitos apresentam perda de expressão de CD14 e aerolisina. Na ocasião do tratamento a paciente teve necessidade transfusional (hemácias filtradas) em decorrer da AA. No decorrer do monitoramento apresentou diminuição das plaquetas associada à astenia, sangramento retal, leucopenia, tendo necessidade transfusional para manter a homeostasia. Foi tratado com ciclosporina pelo quadro da anemia aplástica severa e em seguida foi administrado Eculizumabe em tratamento contínuo de periodicidade semanal dentro de quatro semanas (fase de indução) seguindo de período quinzenal após a quinta semana (fase de manutenção) no tratamento específico para HPN. **Discussão:** A situação da paciente é grave por característica própria da doença base, porém em resposta ao tratamento apresentou melhoras no quadro clínico e na qualidade de vida, obtendo melhoras da anemia sintomática e amenizando o quadro de dor abdominal e necessidade transfusional, permitindo a paciente retomar as atividades doméstica e laborais. **Conclusão:** O conhecimento precoce da doença (AA) e HPN, beneficiaria o paciente no tratamento e na melhoria da qualidade de vida minimizando os riscos de sequelas graves.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2021.10.066>

O USO DE CICLOFOSFAMIDA 50 MG/KG EM REGIMES DE CONDICIONAMENTO DE TOXICIDADE REDUZIDA PROPORCIONAM ENXERTIA DE TODAS AS CRIANÇAS PORTADORAS DE APLASIA GRAVE DE MEDULA ÓSSEA SUBMETIDAS A TRANSPLANTES ALOGÊNICOS DE DOADOR NÃO APARENTADO E HAPLOIDÊNTICO

MGAD Matos ^{a,b}, LDS Domingues ^{a,b},
RV Gouveia ^{a,b}, VC Ginani ^{a,b}, G Zamperlini ^{a,b},
CMCZ Oliveira ^{a,b}, MV Pupim ^{a,b}, PA Soriano ^{a,b},
CN Monteiro ^{a,b}, JF Marques ^b, FVBD Santos ^b,
CF Andrade ^b, A Seber ^{a,b}

^a Equipe Onco-TMO em Pediatria, São Paulo, SP, Brasil

^b Hospital Samaritano de São Paulo, São Paulo, SP, Brasil

Introdução: O transplante alogênico de células-tronco hematopoiéticas com doador aparentado HLA-idêntico é o tratamento de escolha para aplasia de medula óssea grave em crianças e adolescentes. A terapia imunossupressora ainda é utilizada na ausência de doador idêntico, entretanto, a chance de resposta com ATG de coelho em nosso meio é de apenas 17% em três meses (Clé, 2018), aumentando a mortalidade associada a infecções, risco de recaída da doença e mielodisplasia secundária. Na ausência de doador idêntico, o transplante com doadores alternativos não aparentados e haploidentíficos vem aumentando. Os grandes obstáculos para o seu sucesso são o risco elevado de falha de pega, doença do enxerto contra o hospedeiro e mortalidade relacionada ao transplante. Nossa equipe optou por aumentar a dose de ciclofosfamida do condicionamento para 50 mg/kg com o intuito de diminuir a chance de rejeição, mas é fundamental a avaliação da efetividade desta estratégia. O objetivo deste trabalho foi avaliar os resultados e a segurança dos transplantes em crianças e adolescentes com aplasia grave de medula óssea. **Método:** Estudo descritivo e retrospectivo dos dados de prontuários dos pacientes transplantados com aplasia grave de medula óssea. Todos receberam regime de condicionamento de toxicidade reduzida: doadores irmãos HLA-idêntico, ciclofosfamida 200 mg/kg e timoglobulina; doadores não aparentados e haploidentíficos, fludarabina, ciclofosfamida, timoglobulina e irradiação corporal total 200cGy. Aumentamos a dose da ciclofosfamida do condicionamento de 14,5 mg/kg/dia x 2 dias para 25 mg/kg/dia x 2 dias desde 2018 devido ao relato de falha de pega primária e secundária que observadas em outros serviços brasileiros. Para profilaxia de DECH utilizamos inibidor de calcineurina e metotrexate para os aparentados e não aparentados e inibidor de calcineurina, micofenolato mofetil e ciclofosfamida pós transplante para os haploidentíficos. **Resultados:** Entre março de 2013 a março de 2021 nossa equipe transplantou 17 pacientes com aplasia grave de medula, 8 com doadores haploidentíficos, 6 doadores não aparentados e 3 irmãos idênticos. Onze crianças foram transplantadas com ciclofosfamida 50 mg/kg no condicionamento, 6 com doadores haploidentíficos e 4 não aparentados. A fonte de células foi medula óssea com exceção de uma paciente. Não houve nenhuma rejeição primária ou secundária e nenhuma morte relacionada ao transplante. Não houve diferença na morbidade do transplante com o aumento da dose de ciclofosfamida do condicionamento. Com mediana de 86 meses de seguimento, todos os pacientes estão vivos, com quimerismo completo, independente de transfusões e sem DECH grave (III-IV). **Conclusão:** O transplante alogênico é uma opção segura de tratamento curativo para aplasia de medula grave, com baixa ocorrência de complicações durante e após o transplante. O aumento da dose de ciclofosfamida não modificou a morbimortalidade ao transplante e pode ser considerada para diminuir o risco de falha de pega.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2021.10.067>

