

dose de 375 mg m² uma vez na semana por quatro semanas. Após estas opções é possível realizar esplenectomia; ciclosporina, droga imunomoduladora que inibe a ativação de células T. O uso de plasmaférese associado a ciclosporina levou a remissão em 89% dos casos, contudo foi evidenciado que o aumento da ADAMTS13 foi similar ao da plasmaférese isoladamente. A CSA deve ser utilizada por 6 meses e em caso de não haver resposta, pode ser associada vincristina. Outras potenciais terapias incluem: bortezomib; emicizumab; ADAMTS13 recombinante e terapia anti FVW. **Conclusão:** Ciclosporia A é uma alternativa para o tratamento da PTT refratária à plasmaférese e corticoterapia.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2022.09.466>

REGISTRO NACIONAL DE PESSOAS COM HEMOFILIA A EM USO DE EMICIZUMABE NO BRASIL: DADOS BASAIS

RM Camelo^a, R Muniz^a, M Araújo^a,
MM Barbosa^a, ND Silva^b, F Acúrcio^a,
A Guerra^a, J Alvares-Teodoro^a

^a CCATES, Faculdade de Farmácia, Universidade Federal de Minas Gerais (UFMG), Belo Horizonte, MG, Brasil

^b Fundação Centro de Hematologia e Hemoterapia do Estado de Minas Gerais (Hemominas), Belo Horizonte, MG, Brasil

Introdução: Hemofilia A (HA) é uma doença hereditária rara caracterizada por sangramentos espontâneos devido à deficiência do fator de coagulação VIII (FVIII). A profilaxia é o tratamento recomendado para evitar os sangramentos. Historicamente, ela consistia na infusão regular de FVIII. Nos casos em que o paciente tivesse desenvolvido anticorpos neutralizantes anti-FVIII (inibidores), a profilaxia era feita com agentes de *bypass*. Em 2018, o emicizumabe foi aprovado no Brasil para profilaxia de pessoas com HA sem (PcHA) ou com inibidores (PcHAi). A avaliação do desempenho de uma nova tecnologia é imprescindível para acrescentar informações sobre efetividade e segurança e, principalmente, para auxiliar no estabelecimento de diretrizes terapêuticas. O *Registro Nacional de Pessoas com Hemofilia A em Uso de Emicizumabe no Brasil* (Emicizumab Cases, EMCASE) é um projeto com o objetivo de fazer um registro nacional para acompanhamento de PcHA/PcHAi em uso de emicizumabe como profilaxia, avaliando aspectos terapêuticos, desfechos clínicos, segurança e custos do tratamento. **Objetivo:** Descrever o perfil das primeiras PcHA/PcHAi registradas no Projeto EMCASE. **Métodos:** Incluíram-se PcHA/PcHAi em uso de emicizumabe como profilaxia desde janeiro/2020, mediante assinatura do Termo de Consentimento Livre e Esclarecido. A terapia foi totalmente decidida e conduzida pela equipe interdisciplinar do Centro de Tratamento de Hemofilia (CTH) no qual o paciente estava cadastrado. Os dados foram coletados por essa equipe em formulários padronizados. Inicialmente, obtiveram-se os

dados equivalentes ao período anterior ao uso do emicizumabe (basal). O projeto foi aprovado pelo Comitê de Ética em Pesquisa da Universidade Federal de Minas Gerais (CAAE 10664919.6.0000.5149) e nos CTHs envolvidos. O estudo está cadastrado no Registro Brasileiro de Ensaios Clínicos (ReBEC). O projeto é financiado pelo Fundo Nacional de Saúde (Ministério da Saúde). **Resultados:** Até agosto/2022, 30 PcHA/PcHAi cadastradas em 8 CTHs foram incluídas. A maioria era do sexo masculino (97%). Dois terços (18/27) tinha HA grave (atividade de FVIII residual < 1% do normal). Dentre as 23/27 (85%) PcHA com inibidor pregresso ou atual, apenas uma nunca havia feito imunotolerância. A modalidade terapêutica mais adotada antes do início do uso de emicizumabe foram as profilaxias secundária/terciária (63%). Ao início do uso de emicizumabe, as PcHA/PcHAi possuíam uma idade mediana (intervalo interquartil, IIQ) de 9 anos (IIQ,5-18). O tempo mediano de uso até a publicação deste resumo foi de 265 dias (IIQ,246-307). Apenas 3/27 (11%) PcHA/PcHAi tinham mais de um ano de uso de emicizumabe. **Conclusões:** A maioria das PcHA/PcHAi incluídas no estudo apresentavam HA grave e inibidor anti-FVIII. Antes do início do tratamento com emicizumabe, a modalidade terapêutica prevalente eram as profilaxias secundária/terciária.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2022.09.467>

ACQUIRED VON WILLEBRAND SYNDROME SECONDARY TO MONOCLONAL GAMMOPATHY OF UNDETERMINED SIGNIFICANCE: LONG-TERM REMISSION AFTER TREATMENT WITH BORTEZOMIB

ALR Saldanha, ME Veiga, E Okazaki,
C Rothschild, GA Martinez, V Rocha, FLA Orsi,
P Villaza

Universidade de São Paulo (USP), São Paulo, SP, Brazil

Objective: To describe a case report of a patient with monoclonal gammopathy of undetermined significance (MGUS) who progressed to Acquired von Willebrand syndrome (AVWS) and was successfully treated with bortezomib. **Material and methods:** Case report with literature review. **Results:** A 54-years-old woman presented at our center to investigate an M-spike. She had been treated for chronic kidney disease due to glomerulonephritis for eight years and was on peritoneal dialysis waiting for a kidney transplant. During laboratory workup, a serum M-protein (0.3 g/dL) was detected by protein electrophoresis and a monoclonal IgG kappa was identified. After one year of follow-up, and with stable M-protein levels, the patient started complaining of increased bleeding from minor wounds, bruises in inferior limbs and repeated episodes of epistaxis. The patient had no personal or family history of bleeding disorders. Laboratory testing included normal blood and platelet