

^a Cairo University, Cairo, Egypt

^b Pediatric Hospital of Cairo University, Cairo, Egypt

^c Ain Shams University, Pediatric Hospital, Cairo, Egypt

^d The Children's Hospital of Philadelphia, Philadelphia, USA

^e University of Alabama, Birmingham, USA

^f Paediatric Haematology, Evelina Children's Hospital, Guy's and St. Thomas' NHS Foundation Trust, London, UK

^g The Hospital for Sick Children, University of Toronto, Toronto, Canada

^h Centro Infantil Boldrini, São Paulo, SP, Brazil

ⁱ Chiesi Canada Corporation, Toronto, Canada

Objectives: Deferiprone (DFP), an oral iron chelator, has recently been approved as the first-line treatment for transfusional iron overload in pediatric and adult patients with Sickle Cell Disease (SCD) and other anemias. The FIRST study (NCT02041299) reported that DFP is noninferior to Deferoxamine (DFO) in patients with SCD and iron overload (as assessed by Liver Iron Concentration [LIC]) and has an acceptable safety profile. Here, we report a subgroup analysis of FIRST to assess whether the efficacy and safety of DFP are comparable to DFO in children with SCD. **Methods:** In this multicenter, 2-arm, randomized, open-label study, eligible patients were randomized 2:1 to receive DFP or DFO for 12 months. The subgroup analysis included children (2–16 years of age) with SCD or another rare anemia who were treated for transfusional iron overload. The primary efficacy endpoint was the change in LIC from baseline to month 12. Safety was assessed by Adverse Events (AEs) in the study period. **Results:** The safety analysis was composed of 128 (DFP, n=86; DFO, n=42) children; most (DFP, 76%; DFO, 81%) had a primary diagnosis of SCD (HbS). Mean age (SD) in the DFP and DFO arms were 9.9 (3.7) and 10.9 (3.0) years ($p=0.09$), respectively. 5 children in the DFP arm withdrew due to AEs and 19 (DFP, n=14; DFO, n=5) for other reasons. Children treated with DFP or DFO showed no difference in the number of AEs ($p=0.77$; including neutropenia [$p=0.30$]), severe AEs ($p=0.10$), serious AEs ($p=0.16$), or withdrawals due to AEs ($p=0.17$). Overall incidence of nonserious AEs possibly related to treatment was higher with DFP than DFO (59% vs. 33%; $p=0.01$). Transient elevation of liver enzymes was significantly higher with DFP ($p=0.03$). 1 child developed agranulocytosis during parvovirus infection, which resolved the following day. In the efficacy population, there was no significant difference in mean (SD) LIC decrease from baseline to 12 months with DFP compared to DFO (-3.39 ± 4.24 mg/g vs. -2.99 ± 3.16 mg/g, respectively; $p=0.57$). **Discussion:** This pediatric subgroup analysis corroborates previous findings that DFP is comparable to DFO in safely reducing LIC in children with transfusion-dependent anemias. No new safety concerns were observed in children that have not been previously noted in other populations. **Conclusion:** The present findings on DFP may benefit children with SCD and their healthcare providers when considering effective iron chelation therapy that may also address treatment-adherence concerns.

SÍNDROME DE EVANS EM UMA PACIENTE COM ANEMIA FALCIFORME: UM RELATO DE CASO

JC Vieira, DB Leite, LF Dornelas, LA Batista, VR Crivelaro, DR Vieira

Instituto Estadual de Hematologia Arthur de Siqueira Cavalcanti (HEMORIO), Rio de Janeiro, RJ, Brasil

Introdução: A Síndrome de Evans (SE) é definida pela presença de Anemia Hemolítica Autoimune (AHA) de anticorpos quentes associada à púrpura trombocitopênica imune (PTI). O curso da doença geralmente é de momentos de remissão e exacerbação. Sua fisiopatologia tem origem desconhecida, porém, sabe-se que ocorre após uma desordem profunda do sistema imunológico. **Objetivo:** Apresentar um caso de SE em paciente com anemia falciforme. **Metodologia:** Trata-se de um relato de caso com revisão de prontuário, levantamento de dados clínicos, laboratoriais, exames complementares e revisão de literatura. **Resultados:** Paciente GMSF, seis anos, em acompanhamento no hemocentro da cidade do Rio de Janeiro desde o nascimento por anemia falciforme grave com crises algícas frequentes e quadros respiratório. Uso de hidroxiuréia e foi esplenectomizada previamente, por sequestros de repetição. Em junho de 2021 foi internada com quadro de pneumonia e trombocitopenia. Recebeu pulsoterapia com metilprednisolona, sem reposta, passando a receber imunoglobulina com normalização da contagem de plaquetas. Em janeiro de 2022 nova internação com crise algíca e COVID-19, com boa evolução clínica. Em abril de 2022 a paciente mais uma vez foi internada, por quadro de pneumonia, broncoespasmo e crise algíca. Prescrito antibiótico e analgesia. No sexto dia de internação apresentou angioedema em face e queda da saturação. Hemograma com trombocitopenia importante de 23.000 mm^3 . Realizado aspirado de medula óssea onde se pôde observar medula com celularidade aumentada, hiperplasia eritróide e hiperplasia de megacariócitos, sugestivo de PTI. Apresentou queda de hemoglobina, interpretada como hemólise associada à doença falciforme, porém teve baixo aproveitamento de concentrado de hemácias, sendo solicitado estudo imunohematológico que mostrou coombs direto, PAI e Anti-Cw sugerindo SE. Iniciado imunoglobulina por dois dias, sem resposta, sendo iniciado pulsoterapia com metilprednisolona, também sem reposta. Apresentou estrabismo convergente do olho E, sendo submetida à tomografia computadorizada de crânio e órbita mostrou sinais compatíveis com hematoma recente. Novo hemograma com contagem de plaquetas de 6.000 mm^3 . Decidido por suspender pulsoterapia e iniciar Rituximabe. Após início da droga houve melhora significativa no número de plaquetas. Recebeu um total de três doses, com intervalo de 15 dias e no último exame realizado a quantidade de plaquetas era de 417.000 mm^3 . **Discussão:** Na literatura o tratamento da SE se baseia no uso de corticoides como primeira linha e em pacientes com citopenia persistente e necessidade de uso prolongado ou altas doses de esteroides a imunoglobulina venosa pode ser benéfica. A trombocitopenia é mais responsiva a essa terapia que a hemólise. **Conclusão:** O Rituximabe tem sido usado em caso de refratariedade ao tratamento e

apesar da relativa falta de experiência com a droga, principalmente em crianças, os estudos têm mostrado resultados promissores e seu uso seria mais seguro que esplenectomia, especialmente, nos menores de dois anos. E no caso apresentado a paciente já era esplenectomizada por sequestros esplênicos de repetição.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2022.09.574>

TROMBOCITOPENIA AMEGACARIOCÍTICA: UM CASO ATÍPICO

LMSL Schiavini, EAW Maciel, MO Rezende

Universidade Federal de Minas Gerais (UFMG), Belo Horizonte, MG, Brasil

Objetivos: Descrever caso clínico atendido no serviço e compará-lo à apresentação clássica. **Material e métodos:** Descrição de caso atendido no serviço, análise de prontuário e revisão da literatura. **Resultados:** Trata-se de menina de 1 ano e 4 meses, previamente hígida, filha de pais consanguíneos, admitida no serviço em 2021, para propedêutica de plaquetopenia. Lactente foi internada na região de origem, por plaquetometria de 7000 μL e epistaxe volumosa, sendo iniciada corticoterapia, sem resposta. Também identificada anemia. Mielograma evidenciou redução isolada de megacariócitos. Transferida para propedêutica. No nosso serviço, primeiro hemograma: anemia, leucopenia e plaquetopenia. Ao acompanhamento: anemia ferropriva e normalização de leucócitos – hipótese principal: Plaquetopenia Autoimune (PTI). Ambulatorialmente, realizado mielograma de acompanhamento e biópsia de medula (MO): normocelular, diminuição isolada da série megacariocítica. Pela ausência de malformações congênitas e história clínica, diagnosticada trombocitopenia amegacariocítica congênita (CAMT). Em nosso serviço, não é feita pesquisa de mutações no gene do receptor MPL, sendo instituído diagnóstico presuntivo. Criança segue em acompanhamento, em avaliação de transplante. Exames recentes com nova leucopenia – evolução da doença? **Discussão:** CAMT é doença rara, de predomínio feminino, caracterizada por redução/ausência de megacariócitos na MO. Em geral, a plaquetopenia é notada no período neonatal. Porém, há descrições em que a redução de plaquetas não foi diagnosticada antes dos 2 anos – na paciente em questão, a primeira manifestação conhecida deu-se aos 14 meses, quando foi realizado seu primeiro hemograma. Os sintomas iniciais costumam ser petéquias, e os sangramentos graves são menos comuns após as primeiras semanas de vida. Pela origem autossômica recessiva, é mais comum em famílias consanguíneas – no caso referido, os pais são primos. A fisiopatologia envolve mutações no gene MPL, do receptor de Trombopoietina (TPO). A alteração nem sempre é detectada, mesmo em pacientes que preenchem critérios clínicos e laboratoriais para a doença. Existem dois tipos: I, em que há perda completa do receptor e evolução precoce para falência medular (média 23 meses), e 2, na qual há certa função residual do MPL, com falência medular por volta de 5 anos. De acordo com a progressão clínica da nossa paciente, acreditamos tratar-se de tipo II. Única opção

curativa é o transplante medular, idealmente antes do desenvolvimento de pancitopenia. Os melhores resultados são com doadores aparentados, embora estudos tenham demonstrado que TMO haploidênticos e não aparentados sejam viáveis. Sendo o sangramento o principal problema, tratamentos de suporte podem ser instituídos: terapia transfusional, evitar uso de anti-inflamatórios e salicilatos, uso de fibrinolíticos. Pesquisas têm sido feitas sobre terapia gênica, uma realidade ainda distante para nosso serviço. **Conclusão:** O diagnóstico de CAMT deve ser lembrado em casos de PTI resistentes a tratamento convencional. O acompanhamento do caso apresentado evidenciou que apresentações atípicas, como ausência de sintomas no período neonatal e presença de outras citopenias iniciais, podem ocorrer.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2022.09.575>

AValiação DO PERFIL DE ANAFILOTOXINAS EM PACIENTES PEDIÁTRICOS COM LEUCEMIA LINFOBLÁSTICA AGUDA DE CÉLULAS B SUBMETIDOS À QUIMIOTERAPIA DE REMISSÃO

JDS Moraes^a, F Magalhães-Gama^{a,b}, FS Silva^{a,c}, Barros mas^c, ND Araújo^{a,c}, FSA Hanna^{a,c}, MDPSS Carvalho^a, AM Tarragô^a, A Malheiro^{a,c,d}, AG Costa^{a,b,c,d,e}

^a Diretoria de Ensino e Pesquisa, Fundação Hospitalar de Hematologia e Hemoterapia do Amazonas (HEMOAM), Manaus, AM, Brasil

^b Programa de Pós-Graduação em Ciências da Saúde, Instituto René Rachou – Fundação Oswaldo Cruz (FIOCRUZ Minas), Belo Horizonte, MG, Brasil

^c Programa de Pós-Graduação em Imunologia Básica e Aplicada, Universidade Federal do Amazonas (UFAM), Manaus, AM, Brasil

^d Programa de Pós-Graduação em Ciências Aplicadas à Hematologia, Universidade do Estado do Amazonas (UEA), Manaus, AM, Brasil

^e Escola de Enfermagem de Manaus, Universidade Federal do Amazonas (UFAM), Manaus, AM, Brasil

Introdução: Anafilotoxinas são pequenos polipeptídeos liberados na clivagem de seus respectivos precursores do sistema complemento. Estudos recentes sugerem que as anafilotoxinas podem manter a inflamação crônica, promovendo um microambiente imunossupressor, induzindo a angiogênese, e aumentando o potencial metastático. Contudo, seu papel em neoplasias hematológicas ainda permanece pouco explorado. **Objetivo:** Dessa forma, o presente estudo buscou analisar as concentrações das anafilotoxinas C3a, C4a e C5a no compartimento da Medula Óssea (MO) e Sangue Periférico (SP) de pacientes pediátricos recém-diagnosticados com Leucemia Linfoblástica Aguda de células B (LLA-B) submetidos à quimioterapia de remissão. **Material e métodos:** Trata-se de estudo observacional, longitudinal e prospectivo, realizado na Fundação Hospitalar de Hematologia e Hemoterapia do Amazonas (HEMOAM), centro de referência para diagnóstico e tratamento de doenças onco-hematológicas na região Norte. A