

paroxística noturna, com ausência de clone nos pacientes estudados. Iniciada ciclosporina na dose padrão, porém dois pacientes não toleraram a medicação e o outro apresentou alteração de função renal, sendo posteriormente suspensa. Não havia indicação de transplante de medula óssea nesses pacientes, sendo optado por iniciar eltrombopague na dose inicial de 50 mg ao dia. A princípio, ficaram internados cerca de 2 a 6 meses por necessidade transfusional, em especial de plaquetas, antes do início da medicação. Atualmente, estão em uso do eltrombopague e seguem livres das necessidades transfusionais, com estabilização das séries plaquetária e eritróide. **Discussão/Conclusão:** É importante ressaltar que apenas a idade como fator isolado não seria contra-indicação para uso da ciclosporina, sendo a imunossupressão ainda a escolha de tratamento de primeira linha, reservando o uso do eltrombopague para aqueles casos onde não há resposta, como nos casos aqui relatados. Outro aspecto importante do tratamento com eltrombopague é a associação de resposta laboratorial multilinhagem e não apenas no setor da trombo-poiese, o que torna a medicação de grande utilidade nessa faixa etária, impossibilitada de terapia com transplante de células tronco e/ou imunossupressão mais intensa.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2023.09.113>

OUTPATIENT SUBCUTANEOUS ALEMTUZUMAB IS FEASIBLE AND SAFE FOR APLASTIC ANEMIA AND ASSOCIATED WITH HIGH RESPONSE RATES

AR Fonseca ^{a,b}, CC Justino ^a, VC Molla ^{a,c},
PE Yamakawa ^a, IB Rabelo ^a, A Hill ^d, L Arnold ^d,
R Kelly ^d, M Griffin ^d, T Munir ^d, E Velloso ^e,
T Dalessandro ^e, AM Risitano ^{f,g}, P Scheinberg ^h,
A Kulasekararaj ⁱ, C Arrais-Rodrigues ^{a,c}

^a Universidade Federal de São Paulo (UNIFESP), São Paulo, Brazil

^b Hospital Sírio Libanês, São Paulo, Brazil

^c Hospital Nove de Julho, São Paulo, Brazil

^d Department of Haematology, St James's University Hospital, Leeds, United Kingdom

^e Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo (HCFMUSP), São Paulo, Brazil

^f Department of Clinical Medicine and Surgery, University of Naples, Naples, Italy

^g Severe Aplastic Anemia Working Party, European Group for Blood and Marrow Transplantation (EBMT), Leiden, Netherlands

^h Division of Hematology, Hospital A Beneficência Portuguesa, São Paulo, Brazil

ⁱ King's College Hospital NHS Foundation Trust, London, United Kingdom

This multicenter international retrospective analysis aimed to evaluate the efficacy and safety of subcutaneous alemtuzumab (ALZ) as an alternative immunosuppressive therapy for aplastic anemia (AA). The study included 57 with AA patients who received ALZ treatment in four centers in Brazil and the

United Kingdom. Most patients had severe aplastic anemia (SAA). The median age of the patients was 52 years, with 21% being older than 65 years. Out of the 60 ALZ treatments analyzed, 57% were first-line treatments, 26% were second-line, and 17% were administered after at least two lines of therapy. At 6 months, the overall response rate (ORR) was 54%. At 12 months, the ORR increased to 57%, with a complete response rate of 18% and a partial response rate of 39%. The cumulative incidence of response was significantly higher in patients younger than 65 years (68%) and in those who received a 103 mg subcutaneous ALZ dose (61%). The overall survival (OS) rates were 84% at 1 year and 71% at 4 years. OS at 4 years was significantly higher in patients who responded to ALZ treatment (hazard ratio: 9.88, 95% confidence interval 2.12 - 46.0, $p=0.004$). Adverse events associated with ALZ were mostly of low grade, and infectious events were infrequent. In conclusion, subcutaneous ALZ appears to be a feasible, effective, and safe alternative to horse antithymocyte globulin (hATG) in patients with aplastic anemia who require immunosuppressive treatment. This is particularly relevant for centers and countries with limited access to hATG.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2023.09.114>

DOENÇAS DA SÉRIE VERMELHA: ANEMIAS CARÊNCIAIS, HEMOCROMATOSE E PORFIRIA

CASO RARO DE HEMOCROMATOSE HEREDITÁRIA TIPO 3 EM CRIANÇA NO BRASIL

ACS Kipper, GM Paula, MS Afonso, YL Corado,
ALS Yanai

Universidade Federal de Mato Grosso (UFMT),
Cuiabá, MT, Brasil

Objetivos: Hemocromatose Hereditária (HH) tipo 3 se caracteriza pela mutação no gene do receptor da transferrina (TFR2); sua apresentação é rara e, em crianças, foram reportados apenas 5 casos em todo o mundo. Este relato é de importância para elucidação da patologia por ser o primeiro caso descrito em criança brasileira. **Materiais e métodos:** As informações foram obtidas por meio de revisão do prontuário e da literatura. **Resultados:** Paciente masculino, 11 anos, com histórico de hemocromatose na família. Buscou atendimento aos 9 anos por asma e dermatite atópica e os exames solicitados constatarem alterações de aminotransferases e ferritina sérica (2580 $\mu\text{g/dL}$). Exame físico com fígado palpável a 2 centímetros do rebordo costal direito. Exames descartaram diagnósticos diferenciais e ressonância magnética de abdome superior constatou concentração hepática de ferro moderada a grave (209 $\mu\text{mol/g}$). Realizada a pesquisa genética com exoma completo, foram identificadas duas variantes em heterozigose composta no gene TFR2, confirmando o diagnóstico de HH tipo 3. Iniciou flebotomias isovolêmicas quinzenais (10 mL/kg), com melhora relativa dos níveis séricos de ferritina, mas sem alcançar as metas terapêuticas. Na 16ª sangria, iniciou-se quelante de ferro (Deferasirox 30 mg/kg/dia), sem boa aceitação e, portanto, a medicação precisou ser suspensa com 15 dias de conduta. Apesar do diagnóstico, o paciente não