

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 constataram 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

apresenta manifestações clínicas significativas relacionadas ao acúmulo de ferro. **Discussão:** O ferro é essencial para o organismo devido a sua função no metabolismo celular, mas pode ser tóxico quando presente em excesso. O gene TFR2 é responsável por codificar proteína transmembrana que medeia a ligação do ferro com a hepcidina, esta inibe a absorção de ferro intestinal e aumenta a liberação de ferro na corrente sanguínea. Na HH tipo 3 há uma mutação no gene TFR2 cursando com diminuição dos níveis de hepcidina, aumentando a absorção de ferro no intestino e a saída de ferro dos macrófagos, levando ao acúmulo do metal nos tecidos, principalmente no fígado. A HH TFR2 é uma doença rara e, geralmente, os diagnósticos são feitos por volta da terceira década de vida, sendo relatados apenas alguns casos na infância. O paciente descrito trata-se do brasileiro mais jovem a ser relatado como portador de HH TFR2, sendo diagnosticado aos 9 anos de idade. As manifestações clínicas da HH tipo 3 como cirrose, insuficiência cardíaca e artropatias, decorrem de anos de acúmulo de ferro, o que justifica a apresentação mais tardia da doença. É fundamental o diagnóstico precoce pois permite instituir terapêutica com a finalidade de evitar o acúmulo de ferro e melhorar o prognóstico. **Conclusão:** Apesar da HH TFR2 ser mais diagnosticadas em adultos, não podemos subestimar o acometimento em crianças, pois o acúmulo tecidual de ferro ao longo dos anos pode causar lesões irreversíveis, o que aumenta a morbimortalidade do paciente. Mediante o diagnóstico precoce do caso, o tratamento composto por sangrias e quelantes de ferro pode ser iniciado antes do paciente apresentar manifestações clínicas da doença. O menino e sua família foram orientados quanto a raridade e gravidade do caso, assim como a necessidade do tratamento e acompanhamento frequentes para evitar complicações e proporcionar melhor qualidade de vida.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2023.09.115>

ANÁLISE DO PERFIL DE PACIENTES SUBMETIDOS A SANGRIA TERAPÊUTICA REALIZADO PELA AGÊNCIA TRANSFUSIONAL DE UM HOSPITAL PRIVADO DA CIDADE VOLTA REDONDA/RJ

CB Morato

Grupo GSH, Brasil

Objetivo: O estudo teve como objetivo analisar o perfil dos pacientes submetidos a sangria terapêutica realizados pela agência transfusional de um hospital privado da cidade do Volta Redonda no ano de 2022. **Materiais e métodos:** Trata-se de uma pesquisa de abordagem descritiva e quantitativa, obtidos através de análises do TDSA Sistemas. O presente estudo refere-se a um trabalho descritivo e retrospectivo dos indivíduos submetidos a sangria terapêutica no GSH CORP Participações S.A, de 01 de janeiro de 2022 a 31 de dezembro de 2022. Foram analisados sexo, idade, volume retirado e indicação clínica dos indivíduos. **Resultados:** No período analisado foram realizadas 140 sangrias terapêuticas com predominância do sexo masculino, representados por 90%. A faixa de idade predominante foi de indivíduos de 40 a 60 anos

(68%), seguido de 20 a 40 anos (17%) e acima de 60 anos (15%). Nas indicações clínicas, hemocromatose foi a frequente com 74%, seguido de Policitemia com 19% e Poliglobulia com 7%. Os pacientes de repetição foram representados por 12%, realizando em média de 04 a 05 sessões com intervalos de 7 a 15 dias, retirando de 450 a 500 mL de sangue em cada sessão. Nas intercorrências, hipotensão e lipotimia representaram <10% não sendo necessário prescrição de reposição e liberados após avaliação médica. **Discussão:** A sangria terapêutica é um procedimento similar a doação de sangue, com a diferença que o sangue é desprezado após a coleta e tem finalidade de reduzir alguns sinais e sintomas de diversas doenças. Pode ser realizada regularmente ou de forma esporádica. A indicação, volume a ser retirado e a frequência são definidos pelo médico assistente em conjunto com o hematologista, sempre considerando o diagnóstico, os testes laboratoriais, os sintomas e eventuais reações adversas em sangrias anteriores. Apesar de ser um procedimento simples e seguro, eventualmente o paciente pode manifestar reações adversas devido a redução transitória do seu volume sanguíneo, podendo também apresentar hematomas no braço, reações vaso vagues, fadiga, hipotensão, lipotimia e prostração. O termo de consentimento informado é aplicado ao paciente submetido a sangria terapêutica, esclarecendo-o sobre os benefícios e riscos inerentes ao procedimento. **Conclusão:** No período analisado de 2022 foram realizadas 140 sangrias terapêuticas, média de 12 sangrias/mês com predominância do sexo masculino, idade de 40 a 60 anos, sendo hemocromatose o maior índice de indicação clínica. Em pacientes jovens a indicação da sangria terapêutica é associada em maior parte à reposição hormonal para ganho de massa muscular. A reposição hormonal masculina é um tratamento baseado na reposição sintética da testosterona que pode decair por diversos fatores, como obesidade, problemas de saúde, estresse psicológico e andropausa e com essa queda nos níveis de testosterona os homens costumam apresentar diminuição da libido, ganho de peso, insônia, calvície, irritabilidade, perda de massa muscular e óssea. O uso da testosterona em doses acima do normal pode desencadear o aumento da contagem de glóbulos vermelhos levando o indivíduo a problemas cardiovasculares e nesses casos a sangria terapêutica é o tratamento mais indicado.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2023.09.116>

POLICITEMIA COMO MANIFESTAÇÃO LABORATORIAL NA HEMOCROMATOSE

PAD Santos^a, JD Ribeiro^a, DF Vellasco^a,
BCC Reis^{b,c}

^a Faculdade de Ciências Médicas de Três Rios, Três Rios, RJ, Brasil

^b Centro de Terapia Oncológica de Petrópolis (CTO), Petrópolis, RJ, Brasil

^c Universidade de Vassouras, Vassouras, RJ, Brasil

Introdução: A hemocromatose hereditária (HH) é uma desordem autossômica recessiva, caracterizada pelo acúmulo de ferro em vários órgãos. O principal gene associado é o HFE