

mostrou leve melhora do escore em 5 (45,5%) dos 11 pacientes, o restante se mostrou igual. Não houve piora de resultado. **Conclusão:** Apesar da proposta de intervenção com o treino cognitivo não ter demonstrado efeitos significativos, ela aponta positivamente para a necessidade de conduzir essa proposta de maneira mais ampla e profunda melhorando assim, as condições de captação dos pacientes, avaliação, análise e resultados do programa. Vale ressaltar aqui que uma das limitações do programa é a dificuldade que os pacientes possuem em se manterem assíduos semanalmente nas sessões em função das questões socioeconômica e física que muitas vezes os impossibilitam de se deslocarem até a unidade. É preciso pensar em estratégias que facilitem a aderência dessas pessoas a reabilitação.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.053>

LASERTERAPIA NO TRATAMENTO COADJUVANTE DA DOR DA NECROSE ASSÉPTICA DA CABEÇA DO FÊMUR NA DOENÇA FALCIFORME; RELATOS DE CASO

AMM Queiroz, R Teves, SM Oliveira

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

Objetivo: Avaliar a mudança no quadro da dor após o tratamento com laser nos pacientes portadores de necrose asséptica e doença falciforme. **Relatos de caso:** Caso 1: CRES, 41 anos, história de proteinúria em acompanhamento com a nefrologia, duas internações por crise algica por mês até o início do uso da hidroxiuréia em fevereiro de 2014. Em julho de 2016 internou com quadro de síndrome do quadrante superior, permanecendo internada durante 13 dias. Em 2018 iniciou quadro de dor na articulação coxofemoral bilateral, do lado esquerdo, na qual foi constatada a necrose asséptica da cabeça do fêmur pelo Rx simples após consulta com o ortopedista. A dor foi se tornando mais intensa com o passar do tempo, e a mobilidade dessa articulação também. A paciente foi encaminhada para a cirurgia devido à piora da dor. Foram propostas 10 sessões de laser terapia e a paciente relatou melhora da dor após as sessões. Em 10/8/2023 a paciente foi submetida à cirurgia do lado esquerdo da necrose asséptica do fêmur. Caso 2: JCSS, 57 anos, portador de proteinúria em acompanhamento com a nefrologia, início de dor na articulação coxo femoral bilateral em 22/5/2017, em 16/8/2017 foi constatada a necrose asséptica bilateral, através do Rx simples da bacia, o paciente foi encaminhado para consulta com o ortopedista. Houve piora da dor e da mobilidade nas articulações coxo femorais. Foi sugerida a realização de 10 sessões de massoterapia, enquanto o paciente esperava pela consulta no INTO, e durante as sessões de laserterapia houve melhora da dor. O paciente realizou a cirurgia do lado direito em 5/3/2020 e está aguardando a cirurgia do lado esquerdo. Ele iniciou o uso da hidroxiuréia somente em 22/3/2021. Caso 3: JLV5 22 anos, com história de várias internações por STA, faz uso de hidroxiuréia desde 6/2/2018. Relato de intensificação da dor na articulação coxo femoral à direita. Em 26/12/2019

realizou um Rx desta articulação na qual foi constatada a necrose asséptica. Devido à piora da dor foi encaminhado para realização de 10 sessões de laserterapia obtendo evolução. **Metodologia:** Foram selecionados três pacientes com doença falciforme, que frequentam o ambulatório do Hemorio, com necrose asséptica da cabeça do fêmur com comprovação radiológica e com muita dor e limitação do movimento desta articulação: duas mulheres, sendo uma com 19 anos e outra com 22 anos e um homem com 57 anos. Foram entregues aos pacientes 10 formulários no qual os pacientes deveriam sinalizar a evolução da intensidade da dor diariamente utilizando as escalas analógicas da dor (EAD). A análise estatística foi feita em relação a qualidade da dor analisada pelo número descrito nas EAD, os pacientes recebiam as escalas no início da aplicação do laser, devendo marcar, no período de 10 dias. No momento da realização da laserterapia e 4 horas e 12 horas após, com EADS-10 refletindo na dificuldade de deambular e de realizar as suas tarefas diárias, entretanto 4 horas após a realização da laserterapia a dor melhorou em quase 70% nos pacientes descritos, depois do quarto dia de laserterapia chegando a dor zero a três no final. Dos 10 dias de tratamento. **Conclusão:** A laserterapia demonstrou ser eficaz na melhora da dor e da mobilidade da articulação envolvida, com diminuição da quantidade de opioides orais. Desta forma, indica-se que ela deve ser realizada em mais pacientes para a obtenção de melhores avaliações.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.054>

ENERGIZE: A GLOBAL PHASE 3 STUDY OF MITAPIVAT DEMONSTRATING EFFICACY AND SAFETY IN ADULTS WITH ALPHA- OR BETA- NON-TRANSFUSION-DEPENDENT THALASSEMIA

AT Taher^a, H Al-Samkari^b, Y Aydinok^c,
M Besser^d, G Luna^e, S Gheuens^f, A Glenthj^g,
AS Goh^h, A Kattamisⁱ, SR Loggetto^j,
KM Musallam^k, P Ricchi^l, E Salido-Fierrez^m,
S Shethⁿ, V Viprakasit^o, MD Cappellini^p,
KH Kuo^q

^a Division of Hematology and Oncology, Department
of Internal Medicine, American University of Beirut
Medical Center, Beirut, Lebanon

^b Division of Hematology and Oncology,
Massachusetts General Hospital, Harvard Medical
School, Boston, United States

^c Department of Paediatric Haematology and
Oncology, Ege University School of Medicine, Izmir,
Turkey

^d Department of Haematology, Cambridge
University Hospitals NHS Foundation Trust,
Cambridge, United Kingdom

^e Centre de Référence Syndromes Drépanocytaires
Majeurs, Thalassémies et Autres Pathologies Rares
du Globule Rouge et de l'Érythropoïèse, Hôpital
Henri Mondor APHP, Paris, France

^f Agios Pharmaceuticals, Inc., Cambridge, United States

^g Department of Haematology, Copenhagen University Hospital - Rigshospitalet, Copenhagen, Denmark

^h Haematology Unit, Department of Medicine, Hospital Pulau Pinang, Penang, Malaysia

ⁱ Thalassemia Unit, First Department of Pediatrics, National and Kapodistrian University of Athens, Athens, Greece

^j São Paulo Blood Bank - GSH Group, São Paulo, Brazil

^k Center for Research on Rare Blood Disorders (CR-RBD), Burjeel Medical City, Abu Dhabi, UAE

^l Unità Operativa Semplice Dipartimentale Malattie Rare del Globulo Rosso, Azienda Ospedaliera di Rilievo, Nazionale, Cardarelli, Napoli, Italy

^m Department of Haematology, Hospital Clínico Universitario Virgen de la Arrixaca-IMIB, Murcia, Spain

ⁿ Division of Hematology and Oncology, Department of Pediatrics, Weill Cornell Medicine, New York, United States

^o Department of Pediatrics & Thalassemia Center, Faculty of Medicine, Siriraj Hospital, Mahidol University, Bangkok, Thailand

^p Department of Clinical Sciences and Community, University of Milan, Ca'Granda Foundation IRCCS Maggiore Policlinico Hospital, Milan, Italy

^q Division of Hematology, University of Toronto, Toronto, Canada

Background: In thalassemia, ATP production in erythroid cells is too low to meet the demand of oxidative stress and ensuing cellular damage; this leads to ineffective erythropoiesis (IE) and chronic hemolytic anemia. Guidelines for non-transfusion-dependent thalassemia (NTDT) recommend raising hemoglobin (Hb) by ≥ 1 g/dL to reduce morbidities from IE and anemia. No oral disease-modifying therapies are approved for the treatment of β -thalassemia, and no agents are approved for α -thalassemia. Mitapivat is a first-in-class, oral, activator of pyruvate kinase that increases ATP production. Mitapivat may reduce metabolic stress, addressing the underlying pathophysiology across the full range of thalassemias, with the potential to reduce complications and improve health-related quality of life (HRQoL). **Aims:** To assess the efficacy and safety of mitapivat vs placebo (pbo) in adults with α - or β -NTDT in ENERGIZE (NCT04770753), a phase 3, double-blind, randomized, pbo-controlled, global trial. **Methods:** Adults (≥ 18 years) with α - or β -NTDT and baseline (BL) Hb ≤ 10 g/dL were randomized 2:1 to mitapivat 100 mg twice daily or pbo for 24 weeks (wks). NTDT was defined as ≤ 5 red blood cell (RBC) units transfused 24 wks before randomization and no RBC transfusions ≤ 8 wks before informed consent or during screening. The primary endpoint was Hb response: ≥ 1.0 g/dL increase in average Hb concentration over Wks 12–24 compared with BL. Key secondary endpoints were changes from BL in average Hb concentration and Functional Assessment of Chronic Illness Therapy–Fatigue Scale (FACIT-Fatigue) score over Wks 12–24. Safety and markers of

hemolysis and erythropoiesis were among the secondary endpoints. **Results:** 194 patients (pts) were randomized (mitapivat $n=130$; pbo $n=64$); 94.8% completed the 24-wk trial. Mean age was 41.2 years, mean BL Hb was 8.3 g/dL, 86.6% received no transfusions in the 24 wks before randomization, and 32.0% had α -NTDT. BL characteristics were similar between treatment arms. Mitapivat demonstrated statistically significant improvements vs pbo for Hb response (42.3% vs 1.6%, respectively; 2-sided $p < 0.0001$), and for changes from BL in Wks 12–24 average Hb (least-squares mean [LSM] difference (95% CI): 0.96 g/dL (0.78, 1.15); 2-sided $p < 0.0001$) and Wks 12–24 average FACIT-Fatigue score (LSM difference (95% CI): 3.40 (1.21, 5.59); 2-sided $p < 0.0026$). Results favored mitapivat across all prespecified subgroups. Improvements in several markers of hemolysis and erythropoiesis were also observed, consistent with the proposed mechanism of mitapivat. The proportion of pts with treatment-emergent adverse events (TEAEs) of any grade was similar across treatment arms (mitapivat 82.9%; pbo 79.4%). The most common TEAEs ($\geq 10\%$ of pts) with mitapivat were headache, initial insomnia, nausea, and upper respiratory tract infection. Among mitapivat-treated pts, 6.2% had serious TEAEs (none considered treatment related) and 3.1% had TEAEs leading to treatment discontinuation; none occurred with pbo. **Summary/Conclusion:** Mitapivat significantly increased Hb and improved fatigue vs pbo; improvements were observed across all prespecified subgroups. Mitapivat was generally well tolerated with a low treatment discontinuation rate. These data are the first proof of efficacy of a disease-modifying therapy across the full range of NTDT (α - and β -thalassemia). Mitapivat may represent a new oral treatment option addressing both pathophysiology and HRQoL in thalassemia.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.055>

ANEMIA HEMOLÍTICA AUTOIMUNE EM PACIENTE DE 30 ANOS COM HEMOGLOBINA DE 1,9: RELATO DE CASO

RR Riboli, LZ Munhoz, AL Nunes, M Reinehr, J Fabião

Universidade Federal de Pelotas (UFPel), Pelotas, RS, Brasil

Introdução: Define-se anemia hemolítica autoimune pela presença de autoanticorpos que destroem eritrócitos ao ligarem-se em sua superfície. Classificada em primária ou secundária (a maioria dos casos) - associada a doenças linfoproliferativas, imunodeficiências, neoplasias ou induzidas por medicações. Para realização do diagnóstico, deve-se considerar critérios laboratoriais: hemograma, reticulócitos, bilirrubinas, LDL, haptoglobina e o teste de Coombs direto. Espera-se nesses exames: anemia, reticulocitose, aumento do LDL, haptoglobina baixa e DAT +. A terapêutica se inicia com indicação de ácido fólico, glicocorticoides, pulsoterapia com imunoglobulina humana, rituximabe, ciclofosfamida, azatioprina, ciclosporina, micofenolato, danazol e esplenectomia. Nos casos secundários, realizar tratamento da causa base. **Objetivo:** Relatar quadro de anemia hemolítica autoimune que não