

resultados indicam que certos genótipos de PPARs, codificadores de fatores de transcrição alvo de genes que controlam diversos processos homeostáticos envolvendo inflamação, adipogênese, metabolismo lipídico e de glicose, estão associados com osteonecrose, colelitíase e crises algicas em indivíduos com AF. A presença do alelo A-rs4253747 (PPARA) ou G-rs10865710 (PPARG) apresenta risco aumentado de osteonecrose, enquanto a presença dos alelos alternativos são protetores para esse desfecho. A necrose avascular, que mais comumente acomete as cabeça do fêmur e do úmero, representa um importante evento na AF, com forte repercussão em limitação física e/ou incapacidade e dor. **Conclusão:** Nossas análises sugerem que variantes genéticas de PPARs podem ser moduladores de complicações clínicas em indivíduos com AF. Para confirmar nossos resultados e propor um mecanismo de como PPARs estão envolvidos na gravidade clínica, será necessário aumentar a amostra e realizar novos estudos, como os de expressão gênica incluindo fatores modificadores da AF nas análises.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.107>

MICROANGIOPATIA TROMBÓTICA ASSOCIADA À NEOPLASIA SÓLIDA: RELATO DE CASO

AFDA Pinto, IGC Silveira, RG Silva, TV Lourenço, SS Custódio, LPG Gomes, IFM Vasconcelos, CRC Pires, EP Júnior, JPP Gonçalves

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

Introdução: A microangiopatia trombótica associada ao câncer é um tipo raro de anemia hemolítica Coombs negativa e apresenta prognóstico muito desfavorável. **Caso clínico:** Apresentamos o caso de uma paciente do sexo feminino, de 59 anos, admitida com quadro de fraqueza, hiporexia, náusea e perda ponderal de 10 Kg em aproximadamente 06 meses. A avaliação laboratorial inicial demonstrou uma anemia grave, com hemoglobina de 2,5 g/dL, normocítica e normocrômica, associada à plaquetopenia grave, além de achados de leucoeritroblastose e esquizócitos / dacriócitos em sangue periférico. Observada ainda desidrogenase láctica de 3360 U/L (valor de referência até 246 U/L), haptoglobina de 1 mg/dL, bilirrubina indireta de 0,74 mg/dL e reticulócitos de 12,3% (corrigido: 2,1%), com teste da antiglobulina direta negativo. Função renal era preservada. Havia discreta elevação em transaminases, mas com fosfatase alcalina de 2213 U/L. A partir das alterações observadas foi possível definir um quadro de microangiopatia trombótica (MAT) e, diante da possibilidade de púrpura trombocitopênica trombótica (PTT) – PLASMIC score intermediário, foi iniciada plasmaférese. A paciente foi submetida a quatro sessões terapêuticas, que foram suspensas após a suspeita de MAT secundária, a partir dos achados adicionais de um mielograma hipocelular e uma tomografia de tórax, abdome e pelve com lesões líticas em corpos vertebrais. Foi realizada extensa propedêutica na investigação da neoplasia primária, entretanto, a paciente evoluiu com piora

no padrão respiratório, elevação progressiva de bilirrubina direta, citopenias refratárias e hematúria macroscópica, com óbito 20 dias após a admissão. Necropsia revelou tratar-se de um adenocarcinoma gástrico difuso, com disseminação em todos os órgãos avaliados, incluindo a presença de células neoplásicas na circulação pulmonar, além de extensa necrose medular. **Discussão/Conclusão:** A MAT associada ao câncer é um evento muito raro, com incidência estimada de 0,25-0,45/milhão/ano. Sua fisiopatologia envolve a ocorrência de metástases microvasculares, com a indução de anormalidades homeostáticas e um estado pró-trombótico, além da ocorrência de necrose medular metastática. É importante suspeitar da MAT associada ao câncer e diferenciá-la da PTT, não apenas porque possuem tratamentos diferentes, mas também pela possibilidade de diagnóstico da neoplasia de base, permitindo um tratamento direcionado, seja com objetivo curativo ou paliativo.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.108>

EFFICACY AND SAFETY OF IPTACOPAN IN PAROXYSMAL NOCTURNAL HEMOGLOBINURIA PATIENTS: A SYSTEMATIC REVIEW AND META-ANALYSIS

VC Monici^a, IM Almeida^b, MEF Carvalho^b, MM Almeida^c, VN Binda^b, VC Destefani^d, AC Destefani^b, GJS Sanchez^e

^a Universidade de Brasília (UnB), Brasília, Brazil

^b Escola Superior de Ciências da Santa Casa de Misericórdia de Vitória, Vitória, Brazil

^c Centro Universitário Faminas (FAMINAS), Muriaé, Brazil

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

^e Centro Universitário São Camilo (CUSC), São Paulo, Brazil

Objectives: Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria (PNH) is a genetic disorder caused by a somatic mutation in the PIGA gene, which affects the functions of (GPI)-anchored proteins and impacts the regulation of complement activity. However, the current standard of treatment, including eculizumab, has limitations, as many patients continue to suffer from anemia due to persistent activation of proximal complement pathways. Consequently, a novel oral medication called iptacopan was developed, seeking to address the limitations of current anti-C5 therapies by selectively acting against factor B. This therapy offers a promising alternative for treating and rescuing PNH. Therefore, we conducted a systematic review aiming to consolidate and summarize current knowledge on the efficacy and safety of this new treatment. **Methods:** We performed a systematic literature review and a meta-analysis adhering to PRISMA guidelines. Our search strategy encompassed 5 databases, utilizing the key terms 'PNH' and 'iptacopan'. Efficacy outcomes included markers of hemolysis such as LDH, Hemoglobin, Bilirubin, Reticulocyte count. Safety outcomes comprised most common adverse events (AEs). Data were