

cavalo não está disponível e a timoglobulina de coelho, que está disponível, é associada a baixa taxa de resposta. **Conclusão:** Descrevemos um caso de AAMG no qual a substituição de timoglobulina de cavalo ou de coelho por alentuzumabe ambulatorial e SC em combinação com CsA e EPAG na primeira linha atingiu ótima resposta clínica e laboratorial. Tal tratamento pode ser uma alternativa viável ao tratamento com timoglobulina de coelho na indisponibilidade da timoglobulina de cavalo em países como o Brasil.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.188>

EMERGÊNCIA DE HEMOGLOBINÚRIA PAROXÍSTICA NOTURNA (HPN) HEMOLÍTICA NECESSITANDO TRATAMENTO COM ECULIZUMABE APÓS TRATAMENTO DE ANEMIA APLÁSTICA GRAVE COM IMUNOSSUPRESSÃO: RELATO DE CASO

LS Abreu^a, ML Puls^a, BA Souza^a, CFM Ferreira^a,
EL Rosa^{a,b}, PHA Moraes^{a,b}, RS Szor^a, CD Liz^a,
VC Molla^{a,b}, CA Rodrigues^{a,b}

^a Hospital 9 de Julho - Rede DASA, São Paulo, SP, Brasil

^b Universidade Federal de São Paulo (UNIFESP), São Paulo, SP, Brasil

Objetivo: Descrever a importância do acompanhamento do clone HPN em pacientes com anemia aplástica (AA) através de um relato de caso. **Métodos:** Relato de caso descritivo e observacional, realizado com consentimento livre e esclarecido do paciente. **Resultado:** Paciente masculino, 62 anos, hipertenso, apresentou em 2021 sintomas de fadiga intensa e dispneia aos mínimos esforços. Exames iniciais revelaram Hb 7,1 g/dL, leucócitos 1200/mm³, segmentados 60/mm³ e plaquetas 51.000/mm³. Avaliação com hematologista indicou reticulócitos 4.000/mm³. A avaliação medular mostrou redução global das três séries hematopoiéticas e intensa hipocelularidade (10%), sem sinais de displasia; imunofenotipagem (IFT) medular sem população anômala e cariótipo sem crescimento de metáfases. Investigação adicional com IFT para clone HPN revelou pequeno clone (5% em granulócitos) e comprimento telomérico normal. Diagnóstico de anemia aplástica muito grave foi feito, iniciando tratamento com ciclosporina (CsA), globulina antitimocítica de coelho (rATG) e eltrombopague (EPAG). Paciente atingiu resposta parcial, mas um ano após o início do tratamento houve aumento da necessidade transfusional. Tratamento de segunda linha com alentuzumabe associado a CsA e EPAG foi realizado. Três meses após a primeira infusão de alentuzumabe, houve normalização do número de plaquetas, mas a demanda transfusional permaneceu alta e sem sinais de resposta. Reavaliação mostrou elevação de desidrogenase láctica e níveis reduzidos de haptoglobina. Nova IFT para HPN revelou clone em hemácias (0,7% HPN II e 8,5% HPN III), monócitos (0,8% HPN II e 48,6% HPN III) e neutrófilos (21% HPN III e 0,06% HPN II). Paciente foi encaminhado a serviço público de referência onde iniciou tratamento com eculizumabe. Evoluiu com resolução completa da anemia e hemólise, tornando-se independente de transfusões, conforme exames de agosto de 2024: Hb 13,7 g/dL, neutrófilos

2480/mm³, plaquetas 257.000/mm³, reticulócitos 53.000/mm³, DHL 192 U/L. **Discussão:** Em pacientes com AA muito grave e idade superior a 40 anos, a maioria dos serviços recomenda a terapia tripla (ATG, CsA, EPAG) como abordagem de primeira linha. O alentuzumabe é reservado para pacientes sem resposta adequada a uma ou até duas tentativas da terapia tripla. Pacientes com síndromes de falências medulares podem apresentar seleção clonal medular e desenvolver fenótipo análogo ou similar a HPN. Assim, a monitorização do clone HPN é recomendada. Nosso paciente evoluiu com hemólise e refratariedade aos tratamentos de primeira e segunda linha, com desenvolvimento de clone HPN, apresentando boa resposta após a introdução do inibidor de C5. **Conclusão:** Pacientes com AA devem ser monitorados para a presença de clone HPN. O aumento do clone HPN associado a clínica compatível e critérios de hemólise pode justificar a introdução da inibição do complemento, resultando em respostas hematológicas satisfatórias e melhora clínica.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.189>

HAPLOIDENTICAL STEM CELL TRANSPLANTATION FOR SEVERE APLASTIC ANEMIA IN UPFRONT OR RELAPSED/ REFRACTORY SETTINGS: A SINGLE-CENTER RETROSPECTIVE STUDY

EH Atta^{a,b}, D Lerner^a, AP Vilella^c, LJ Arcuri^d

^a Laboratório de Biologia Molecular (CEMO), Instituto Nacional de Câncer (INCA), Rio de Janeiro, Brazil

^b Oncoclínicas, Brasil

^c Laboratório de Imunogenética, Instituto Nacional de Câncer (INCA), Rio de Janeiro, Brazil

^d Hospital Israelita Albert Einstein (HIAE), São Paulo, Brazil

Introduction: Despite promising results reported by Johns Hopkins, upfront haploidentical stem cell transplantation (haplo-HSCT) using post-transplant cyclophosphamide (PT-Cy) remains an experimental approach. However, the unavailability of horse ATG in Brazil, which appears to be more effective than rabbit ATG, and the ready availability of haploidentical donors renders upfront haplo-HSCT an interesting alternative. **Objectives:** To report the outcomes of haplo-HSCT in patients with SAA in the upfront and relapsed settings. **Patients and Methods:** This single-center retrospective study was conducted at Instituto Nacional de Câncer, Rio de Janeiro, Brazil. Seventeen patients with SAA underwent haplo-HSCT between January 2018 and December 2023. There were 12 patients who underwent upfront haplo-HSCT and 5 patients who underwent haplo-HSCT for relapsed/refractory SAA. Donor-specific anti-HLA antibody (DSA) screening test was performed for all cases. Patients with high DSA levels (mean fluorescence intensity (MFI) > 2000) underwent desensitization therapy. Conditioning regimens and graft-versus-host disease prophylaxis included fludarabine, cyclophosphamide plus TBI 400 cGy with PT-Cy, and calcineurin inhibitor plus mycophenolate mofetil. **Results:** Patients who

underwent haplo-HSCT in the upfront and relapsed/refractory settings for SAA were similar regarding: median age (21 vs. 20 years, $p=0.72$), female sex (66.7% vs. 80%, $p=0.58$), use of bone marrow as graft source (83.3% vs. 16.7%, $p=0.87$), total nucleated cell dose (3.96 vs. 3.67×10^8 /Kg, $p=0.57$), and pre-HSCT ferritin levels (2170 vs. 1760 ng/mL, $p=0.79$). There were more patients with very SAA in the upfront haplo-HSCT group (75% vs. 0%, $p=0.005$). Therefore, patients who received upfront haplo-HSCT had a lower pre-transplant absolute neutrophil count (112 vs. $691/\mu\text{L}$, $p=0.006$). Parents were the most common donors for both upfront and relapsed/refractory haplo-HSCT: 58.3% vs. 80% ($p=0.31$), respectively. Although not statistically significant, graft failure was only observed in SAA patients who underwent upfront haplo-HSCT (33.3% vs. 0%, $p=0.14$): 2 primary and 2 secondary graft failures. All patients who rejected had low DSA levels (MFI 500 - 1300). The 2-year overall survival (OS) was 75.0% vs. 66.7% in patients who received upfront and second-line haplo-HSCT, respectively ($p=0.50$). The 2-year OS was dismal among patients who experienced graft failure (25% vs. 88.9%, $p=0.002$). A second haplo-HSCT was performed in 33.3% versus 20% of patients submitted to haplo-HSCT in the upfront and relapsed/refractory setting ($p=0.58$). All second haplo-HSCT cases in upfront haplo-HSCT were due to graft failure. The only case of second haplo-HSCT in relapsed/refractory haplo-HSCT was a patient who developed secondary acute myeloid leukemia. **Conclusions:** The 2-year OS was similar between SAA patients submitted to upfront and second-line haplo-HSCT despite the higher prevalence of very SAA in the former. Graft failure was observed mainly after first-line haplo-HSCT, highlighting the need for improved donor selection and conditioning regimens in such patients. Prospective studies comparing the outcomes between upfront haplo-HSCT and immunosuppressive therapy in countries where horse ATG is unavailable are urgently needed, especially for patients at higher risk of mortality due to severe neutropenia.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.190>

INTERFERÊNCIA DE TALASSEMIAS NO ACOMPANHAMENTO DO DIABETES MELLITUS POR MEIO DA HEMOGLOBINA GLICADA: UMA REVISÃO DE LITERATURA

MAS Junior^{a,b}, MEO Belarmino^a,
MCO Belarmino^a, IG Henriques^a, AFLA Alves^a,
RDA Soares^a

^a Universidade Federal do Rio Grande do Norte (UFRN), Natal, RN, Brasil

^b Liga Norte Riograndense Contra o Câncer, Natal, RN, Brasil

Introdução: A condição de hiperglicemia crônica condicionante do Diabetes Mellitus pode ser acompanhada clinicamente por alguns exames laboratoriais que repercutem, em análise pela endocrinologia, na adoção de terapêutica mais adequada aos pacientes. Dentre os exames mais importantes, cabe o destaque à hemoglobina glicada, a qual mostra a porcentagem de moléculas de hemoglobina que sofreram glicação no período de

três meses, refletindo, portanto, uma faixa média de glicemia de quem está em acompanhamento ambulatorial. As talassemias, nas suas formas, constituem um grupo de doenças caracterizadas pela anemia microcítica por defeito na síntese das cadeias de globina, seja alfa ou beta, ao que importa a este estudo, a análise das globinas predominantes em fase pós-natal. **Objetivos:** Avaliar, por meio de revisão de literatura, se há interferência das talassemias no acompanhamento feito por dosagem de hemoglobina glicada em pacientes com talassemia e diabetes mellitus. **Metodologia:** A satisfazer os objetivos estipulados para o estudo corrente, fez-se uma busca na base de dados PubMed/MedLine com os seguintes descritores e operadores booleanos: “(((thalassemia) AND (Glycolized hemoglobin)) AND (Diabetes mellitus) AND (ffrft[Filter])) OR (((thalassemia) AND (HbA1c)) AND (Diabetes Mellitus) AND (ffrft[Filter])) OR (((thalassemia) AND (glycated hemoglobin)) AND (Diabetes mellitus) AND (ffrft [Filter]))”. **Resultados:** A busca realizada resultou em 11 (onze) textos, dos quais, após leitura do resumo e/ou objetivos e metodologia, foram selecionados 06 (seis) artigos para compor a base bibliográfica da pesquisa em curso, os quais, em unanimidade, mostraram distorções nos valores de hemoglobina glicada em pacientes diabéticos com talassemias. **Discussão:** Frente aos estudos observados para compor esta pesquisa, nota-se que controle glicêmico de pacientes diabéticos com talassemia, feitos com alicerce em dosagem sérica da fração A1c da hemoglobina glicada (HbA1c), não possui uma base confiável para condução de um plano terapêutico. Todavia não foi possível determinar quais variações seriam mais prováveis na dosagem de HbA1c, se elevação ou redução percentual, uma vez que dois estudos mostraram porcentagens superiores ao que se esperaria, sugerindo que talassemias mostrariam valores inapropriadamente altos de hemoglobina glicada; ao passo que um dos estudos em questão mostrou HbA1c inapropriadamente normal em paciente com tratamento inadequado para diabetes mellitus tipo 1. **Conclusão:** Conclui-se, ante o exposto, que a dosagem de hemoglobina glicada, como parâmetro de acompanhamento ambulatorial de pacientes diabéticos com alguma talassemia, não é a opção clínica mais adequada para tomada de decisões terapêuticas de controle glicêmico, uma vez que a hemoglobinopatia aqui revisada, pode mostrar valores percentuais inapropriados ao quadro clínico e faixa glicêmica de pacientes. Por fim, pôde-se perceber que a dosagem de HbA1c, com resultados discordantes, aventa a existência de hemoglobinopatias, podendo, pois, auxiliar em diagnósticos de talassemias, por exemplo.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.191>

IMPACT OF PRE-TREATMENT TRANSFUSIONS ON CLINICAL PARAMETERS AND OUTCOMES IN APLASTIC ANAEMIA PATIENTS RECEIVING IMMUNOSUPPRESSIVE THERAPY

FET Filho^a, IL Pontes^b, ACC Farias^a,
LA Gurgel^a, FAC Silva^a, DS Oliveira^a,
RM Ribeiro^a, RS Andrade^a

^a Hospital Geral de Fortaleza (HGF), Fortaleza, CE, Brasil

^b Universidade Estadual do Ceará (UECE), Fortaleza, CE, Brasil