

BLINATUMOMAB: ANALYSIS OF OVERALL SURVIVAL AND DISEASE-FREE SURVIVAL IN PEDIATRIC PATIENTS DIAGNOSED WITH RELAPSED/REFRACTORY PH-NEGATIVE B-ALL

TF Nunes^a, RM Pontes^b, ACS Dias^b, JCM Córdoba^b, IMQ Magalhães^b, R Camargo^b, FM Furtado^{b,c}

^a Universidade de Brasília (UnB), Brasília, DF, Brasil

^b Hospital da Criança de Brasília José Alencar, Brasília, DF, Brasil

^c Sabin Diagnóstico e Saúde, Brazil

Objectives: To analyze the overall survival (OS) and disease-free survival (DFS) in pediatric patients diagnosed with Ph-negative B-cell Acute Lymphoblastic leukemia (B-ALL) who underwent treatment with Blinatumomab for relapse/refractory disease. **Materials and Methods:** This is a retrospective cohort study that included pediatric patients aged ≤ 18 years with Ph-negative B-ALL in first hematological remission with relapsed/refractory, treated at the Hospital da Criança de Brasília José Alencar (HCB) between 2017 and 2024. Clinical, pathological, and therapeutic data were collected. The analysis of OS and DFS was performed using the Kaplan-Meier method, considering the period until death as OS or until relapse/death as DFS, from the diagnosis or initiation of treatment with Blinatumomab. Fisher's exact test was used to evaluate the association between general data and outcomes, considering the small sample size. The study was approved by the hospital's Research Ethics Committee [4.825.280]. **Results:** 16 patients with B-ALL were included in the study, with 10 (62.5%) were male, with a mean diagnosis age of 6.81 years. The probability of overall survival was 105.20 months (median = 118.00). The average time to death from the use of Blinatumomab was 55.80 months, with a final cumulative survival of 0.63. For patients with pre-Blinatumomab positive minimal residual disease (MRD), the average time to death was 34.54 months. For patients with negative MRD, it was not possible to calculate survival due to the absence of deaths. The final cumulative survival for pre-Blinatumomab MRD was 0.53. After treatment, the average time to death was 54.00 months for positive MRD and 32.50 months for negative MRD, with cumulative survivals of 0.87 (positive) and 0.57 (negative), respectively. The estimated probability of DFS, from diagnosis to relapse/death, was 72.86 months (median = 75.00). The estimated mean duration from the start of Blinatumomab was 22.28 months (median = 25.00), with a final cumulative survival of 0.25 for pre-Blinatumomab MRD, the mean time to death was 25.84 months, and for negative MRD it was 70 months. After treatment, the mean duration was 54.00 months for positive MRD and 32.50 months for negative MRD, with cumulative survivals of 0.87 (positive) and 0.57 (negative). The Log Rank (Mantel-Cox) test did not find a significant difference between pre ($p = 0.12$) and post ($p = 0.51$) Blinatumomab survival curves. The Fisher's Exact test was used to evaluate the association between general data and outcomes; considering the small sample size, no quantitative variable showed significant differences. At the end of the study, 7 patients (43.75%) were in remission, 6 (37.5%) were in relapse, and 3 (18.75%) died. The treatment of one patient was

discontinued due to neurotoxicity. **Discussion:** Other studies have already demonstrated promising results for pediatric patients with relapsed/refractory B-ALL, such as long-term OS improvement and better response rates for negative MRD, supporting the findings of this study. **Conclusion:** The inclusion of Blinatumomab in new therapeutic regimens for Ph-negative B-ALL is a promising approach to achieving better outcomes in patients with poor prognoses. However, it is important to note that neurotoxicity may be a significant adverse event associated with the use of Blinatumomab.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.1108>

QUALIDADE DE VIDA DE CRIANÇAS E ADOLESCENTES COM HEMOFILIA EM TRATAMENTO DE PROFILAXIA, ATENDIDAS NUM CENTRO DE REFERÊNCIA DE HEMATOLOGIA DO NORDESTE BRASILEIRO

MG Carneiro^{a,b}, TMR Guimarães^{a,b}, PTH Silva^{a,b}, IM Costa^b, NCM Costa^b

^a Universidade de Pernambuco (UPE), Recife, PE, Brasil

^b Fundação de Hematologia e Hemoterapia de Pernambuco (HEMOPE), Recife, PE, Brasil

Introdução: A hemofilia é uma doença hereditária ligada ao cromossomo X, caracterizada pela deficiência da atividade coagulante do fator VIII (hemofilia A) ou do fator IX (hemofilia B). Essa deficiência predispõe aos sangramentos espontâneos ou a consequências mais graves em caso de lesões. O tratamento profilático tem objetivo de prevenir hemartroses de repetição, que podem ocasionar deformidades funcionais permanentes, sendo o tratamento de escolha para hemofilia grave, segundo a Organização Mundial de Saúde (OMS), pois garante a integridade física, psicológica e social, melhorando a qualidade de vida (QV), que é definida pela OMS como “a percepção do indivíduo de sua posição na vida, no contexto da cultura e sistema de valores nos quais ele vive e em relação aos seus objetivos, expectativas, padrões e preocupações”. As doenças crônicas são as que mais afetam a QV porque promovem uma mudança na forma como o indivíduo se relaciona consigo e com o mundo. No caso de crianças e adolescentes com hemofilia (CACh), que adaptam sua vida em torno do tratamento, que consiste em infusões intravenosas do fator deficiente de forma frequente, por vezes diárias; atendimentos de emergência por traumas; e consultas mensais com equipe multidisciplinar, repercutindo no seu estado físico, psicossocial e cultural. **Objetivo:** Avaliar a qualidade de vida de crianças e adolescentes com hemofilia em tratamento profilático atendidas no hospital do Hemope, no período de maio a outubro de 2023. **Métodos:** : Estudo transversal, analítico e quantitativo realizado com CACh, sexo masculino, faixa etária de 8 a 16 anos, e seus genitores. A coleta de dados foi realizada com o questionário Haem-QoL, que possui doze domínios: saúde física, sentimentos, autopercepção, família, amigos, apoio, outras pessoas, esportes/escola, enfrentamento, tratamento, futuro e relacionamentos; cuja pontuação varia de zero a 100, sendo que pontuações mais altas indicam

maior comprometimento na QV. O projeto foi aprovado pelo CEP-Hemope, parecer 5.532.567. **Resultados:** Foram analisados 17 crianças, 11 adolescentes e 28 genitores (n = 56). 1. Variáveis sociodemográficas: A maioria tinha cor parda autodeclarada (57%), faixa etária predominante 8-12 anos (60,7%), era estudante e cursava entre 5º e 9º ano do ensino fundamental (64%); recebia benefício (57%) e tinha renda familiar de 1SM (60,7%). 2. Variáveis clínicas e tipo de tratamento: A maioria apresentava hemofilia A (85,7%), do tipo grave (67,9%), tinha menos 3 anos de tratamento profilático (96,4%), articulação alvo antes do início da profilaxia (75%), não tinha hemartrose espontânea nos últimos três meses (89%), fazia atividade física regular (96%). 3. Escore de QV: Verificou-se média global de 27,1 (min.26,1/máx.28,6), sendo considerado um escore bom. O domínio de melhor escore para adolescentes/genitores foi 'relacionamento' 12,5(14,8/10,2), respectivamente; e para crianças/ genitores foi 'tratamento' 12,9(10,7/15,1). Os domínios de pior escore para adolescentes/genitores foram 'amigos' 43,2(46,6/39,8) e 'apoio' 40,25 (43,8/ 36,7); e para crianças/genitores foram 'família' 44,2(47,2/41,2) e 'apoio' 35,15(34,6/35,7). **Conclusão:** Os escores de qualidade de vida de CACH e genitores atendidos na instituição pesquisada foram considerados bons. Identificou-se que os domínios de maior impacto negativo foram 'família', 'apoio' e 'amigos', enquanto houve uma relação positiva com os domínios 'tratamento' e 'relacionamento'. Evidenciou a eficácia do tratamento multidisciplinar, refletindo na promoção da qualidade de vida. Isso confirma que o acompanhamento e tratamento adequados de CACH resultam em um impacto benéfico significativo na qualidade de vida.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.1109>

CRISE ÁLGICA EM ANEMIA FALCIFORME: UM RELATO DE CASO PEDIÁTRICO

MC Capelin^{a,b}, MF Barros^{a,b}, RAT Takaes^{a,b},
DB Menin^{a,b}, IP Roman^{a,b}, LT Miranda^{a,b},
RA Martini^{a,b}, T Brustolin^{a,b}, VS Araújo^{a,b},
MAF Chagas^{a,b}

^a Hospital Universitário do Oeste do Paraná (HUOP),
Cascavel, PR, Brasil

^b Universidade Estadual do Oeste do Paraná
(Unioeste), Cascavel, PR, Brasil

Introdução: A anemia falciforme é uma condição hereditária onde ocorre a substituição do aminoácido ácido glutâmico pela valina na cadeia beta da globina, resultando na formação da hemoglobina S (HbS), onde a valina favorece a polimerização da hemoglobina e falcização das hemácias. Os glóbulos vermelhos em forma de foice não circulam adequadamente na microcirculação, resultando tanto em obstrução do fluxo sanguíneo capilar como em sua própria destruição precoce. **Objetivo:** O objetivo desse trabalho é relatar o caso de um paciente com anemia falciforme. **Relato de caso:** L.R.L., masculino, 10 anos, branco. Relata dor em região de fossa cubital direita e dor em membros inferiores em região de joelhos bilateralmente, além disso relata dor de forte intensidade em abdome. Os exames laboratoriais de admissão

demonstravam aumento das bilirrubinas (BT 5,22 mg/dl; BD 0,44 mg/dl; BI 4,78 mg/dl) aumento da desidrogenase láctica (LDH 1.133U/L), contagem de reticulócitos aumentada (7,40 %) hemoglobina diminuída (8,1 g/dL), hematócrito diminuído (23,3%), VCM (Volume Corpuscular Médio) aumentado (104,0 µg/l), HCM (Hemoglobina Corpuscular Média) aumentada (36,0 pg), RDW (índice relacionado ao tamanho eritrocitário) aumentado (19,7 %) e leucócitos aumentado (17.300/mm³). Realizado esfregaço de sangue periférico, com presença de eliptócitos, drepanócitos, codócitos, Corpúsculos de Howell-Jolly, eritroblastos e policromasia. **Discussão:** Os achados laboratoriais e o quadro clínico do paciente sugerem a presença de um distúrbio hematológico significativo. A anemia macrocítica é indicada pelos valores aumentados de VCM, devido ao quadro elevado de policromatofilia (contagem de reticulócitos elevado), resultando numa população heterogênea (RDW elevado) enquanto a redução dos níveis de hemoglobina, confirma a presença de anemia moderada. A dor em várias regiões do corpo, incluindo a fossa cubital direita, joelhos e abdome, pode estar associada a crises algicas, comuns em condições como a anemia falciforme ou outras formas de hemoglobinopatias. Os níveis elevados de bilirrubina, especialmente a fração indireta (BI), juntamente com o aumento da LDH e da contagem de reticulócitos, são indicativos de hemólise ativa. A hemólise é um processo em que os glóbulos vermelhos são destruídos prematuramente, levando a um aumento da produção de bilirrubina não conjugada e a uma resposta compensatória da medula óssea, refletida na reticulocitose. **Conclusão:** A anemia falciforme é uma doença genética crônica que pode levar a diversas complicações clínicas, impactando significativamente a qualidade de vida dos pacientes. É crucial, portanto, realizar um diagnóstico precoce e adotar um manejo contínuo e multidisciplinar para minimizar as crises dolorosas e reduzir as complicações associadas à condição.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.1110>

RELATO DE CASO: OSTEONECROSE DE CABEÇA DE FÊMUR EM PACIENTE PEDIÁTRICO COM BETA TALASSEMIA MAJOR

ACO Borges^a, PC Giacometto^a, BO Borges^b

^a Hemocentro Regional de Maringá, Universidade
Estadual de Maringá (UEM), Maringá, PR, Brasil

^b Centro Universitário de Maringá (Unicesumar),
Maringá, PR, Brasil

Objetivo: Relatar um caso de osteonecrose de cabeça de fêmur em paciente com Beta talassemia major, transfusão-dependente. **Materiais e métodos:** Estudo descritivo, observacional e retrospectivo, através de análise de dados de prontuário hospitalar. **Relato de caso:** Paciente do sexo masculino, 13 anos, portador de Beta Talassemia Major, transfusão dependente desde 1 ano de vida, em esquema transfusional periódico trisemanal. Há 3 meses com quadro de claudicação, sem dor ou traumas associados. Realizado ressonância nuclear magnética (RNM) sendo observado sinovite do quadril e degeneração da articulação coxo-femoral sugestivo de necrose de cabeça