

Objetivo: Analisar sobrevida e toxicidades dos pacientes com Leucemia Promielocítica Aguda (LPA) recidivada/refratária, com esquema terapêutico composto de ATO + ATRA exclusivamente. **Materiais e métodos:** Estudo prospectivo, não randomizado e unicêntrico, foi aprovado pelo Comitê de Ética Local. Critérios de inclusão: Pacientes menores de 21 anos com diagnóstico de LPA, confirmados com positividade para mutações PML-RARA, NPM1-RAR α ou NUP214-RAR α que receberam tratamento de acordo com ICC-APL 01 (International Consortium for Childhood APL protocol) e apresentaram recidiva ou doença refratária. **Critérios de exclusão:** Pacientes refratários ou recidivados que não receberam ATO e ATRA exclusivamente. A recidiva citológica foi definida como o reaparecimento de > 5% de promielócitos anormais na Medula Óssea (MO), ou presença de promielócitos anormais em sítios extramedulares. A recidiva molecular, foi definida como o reaparecimento do transcrito da fusão PML-RARA, detectado após PCR de Transcrição Reversa (RT-PCR) previamente negativo em duas amostras sucessivas de MO repetidas com intervalo de 2 semanas. A doença refratária foi definida pela evidência de doença molecular do APL após a fase de consolidação. O tratamento de reindução incluiu: ATO 0,15 mg/kg associado a ATRA 25 mg/m² diariamente por 50 dias. A consolidação consistiu em 4 ciclos de 42 dias, com intervalo de duas semanas entre os ciclos. Cada ciclo incluiu ATO 0,15 mg/m²/dia, 5 dias/semana durante 4 semanas. Associado com ATRA 25 mg/m² por dia em D1-D14, D28-42. O controle molecular da doença foi realizado a cada 3 meses após o término da terapia por um ano. Toxicidades avaliadas de acordo com CTACE.5.0. **Resultados:** De 2009 a 2023, 82 pacientes com LPMA atendidos no Centro Infantil Boldrini, utilizaram o protocolo ICC-APL-01. De um total de 82 pacientes, 9 foram analisados (10,9%) por recidiva sendo 1 recidiva precoce, 4 recidivas tardias, 2 recidivas muito tardias e uma recidiva extramedular em pele. Um paciente foi analisado por doença refratária após a consolidação (1,2%). Apenas um paciente, após recidiva molecular precoce, apresentou refratariedade ao uso de ATO+ATRA seguido de quimioterapia convencional e faleceu após recidiva hematológica com 90.500 leucócitos/mm³. Toxicidade cardíaca (grau 2) ocorreu em 1 paciente usando ATO (alongamento QT/QTc > 500 mseg). Três pacientes durante o uso de ATRA apresentaram boca seca e dispepsia (grau 2). Um paciente com toxicidade de pseudo tumor cerebral (grau 3). Para 9 pacientes com recidiva/refratariedade, Sobrevida Global (SG), em 5 anos, 88,9 $\pm$ 10,5%. **Discussão:** Nossa amostra foi pequena e realizada retrospectivamente, porém os resultados mostraram que a terapia combinada composta por ATO+ATRA (para reindução e consolidação), foi eficaz em oferecer remissão completa a longo prazo, com resultados comparáveis à literatura. Os resultados foram obtidos com baixa toxicidade. **Conclusão:** Nossos resultados mostraram que mesmo em um país com recursos limitados, bons resultados podem ser obtidos com menor custo e baixa toxicidade.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2023.09.1068>

RELATO DE CASO DE ANEMIA MEGALOBLÁSTICA EM PACIENTE LACTENTE

MLP Ponce, MPS Souza, JR Sachi, LC Julidori, VL Bueno, TCR Raimundo, BM Moellmann, CBDC Ferreira, LM Mello, EED Couto

Universidade do Vale do Sapucaí (UNIVAS), Pouso Alegre, MG, Brasil

Objetivos: Relatar o processo de diagnóstico de uma paciente lactente de 8 meses com anemia megaloblástica e revisar a literatura vigente. **Material e métodos:** Paciente de 8 meses, encaminhada ao pronto socorro após alterações em hemograma evidenciando pancitopenia (hemoglobina de 3,9 g/dL e plaquetas de 141.000 u/L). Realizou exame em consultório particular devido à queixa de sonolência excessiva desde os três meses, optou-se pela internação hospitalar para investigação. Foi solicitada nova triagem infecciosa com urocultura e hemocultura, realizado dosagem de b12 (148 pg/mL), gasometria arterial constatando alcalose; ácido fólico, função hepática, reticulócitos, DHL e VHS (mantendo elevados), Coombs indireto e Ultrassom abdominal. Foi notado atraso do neurodesenvolvimento e convulsões. Foi solicitada ressonância magnética de crânio para completar a elucidação diagnóstica completa. **Resultados:** Ao exame físico, a paciente apresentou-se hipocorada (+2/+4). Em exames laboratoriais foi encontrado EAS de 1025. Nas gasometrias realizadas, encontrou-se valores alterados de pH 7,48, pO₂ 144, pCO₂ 26 e variações no nível de lactato ao longo da evolução (de 31 para 8). Em MHC foi identificado crescimento de *Staphylococcus auricularis*. As TCs de crânio evidenciaram acentuações difusas de espaços líquidos extra-axiais, supraperitoniais, subaracnóides e coleção em região subdural, relacionada a provável hidrocefalia benigna da infância. Ao realizar RX de Tórax, a paciente apresentava infiltrado difuso semelhante ao TC de crânio. Em nasofibrolaringoscopia e videoendoscopia da deglutição foram apresentadas disfagia grave e laringomalácia, suspeitada após broncoaspiração durante a amamentação. Os demais exames estavam dentro da normalidade. **Discussão:** A anemia megaloblástica é caracterizada por defeito na síntese de DNA das células precursoras hematopoéticas, resultando em hemólise intramedular e eritropoese ineficaz. A principal causa é a deficiência de folato e vitamina B12, sendo que ambos atuam como cofatores importantes na síntese de DNA. A B12 tem participação no desenvolvimento e mielinização do sistema nervoso central. Má absorção por anemia perniciosa e gastrectomia são as principais causas de deficiência de B12, enquanto a ingesta insuficiente e o aumento da necessidade causam deficiência de folato. Outras causas incluem erros inatos do metabolismo e uso de fármacos. Os sintomas incluem inapetência, adinamia, dispnéia e déficits neurológicos na deficiência severa de B12. Pode haver pancitopenia devido a hematopoiese ineficaz. Há anemia macrocítica com elevação do DHL, associada a níveis séricos de B12 e folato diminuídos. O tratamento consiste na reposição vitamínica, além da correção da causa subjacente da hipovitaminose. No caso relatado, a mãe possui história prévia de cirurgia bariátrica com reposição irregular de

vitaminas, o que levou o lactente a desenvolver anemia megaloblástica por deficiência nutricional, com pancitopenia e manifestações neurológicas. Houve melhora do quadro após reposição vitamínica. **Conclusão:** Trata-se de um paciente com um quadro de anemia megaloblástica que evoluiu com alterações metabólicas e imunológicas, atualmente em investigação de um possível erro inato do metabolismo. Após reposição vitamínica paciente apresentou melhora do quadro.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2023.09.1069>

SARCOMA MIELOIDE PRIMÁRIO DO MEDIASTINO: RARA APRESENTAÇÃO EM PEDIATRIA

ECVR Cruz, LBA Lima, MT Schramm, MR Assis,
LW Pinto

Instituto Nacional de Câncer (INCA), Rio de Janeiro,
RJ, Brasil

Introdução: O Sarcoma Mieloide (SM) é uma massa tumoral, que consiste em blastos mielóides acometendo sítios extramedular. A forma isolada, sem envolvimento da medula óssea, é rara, ocorrendo em menos de 1% dos casos. O diagnóstico exige biópsia tecidual. Cerca de 75%–90% dos pacientes com SM desenvolverão leucemia mieloide aguda (LMA) com um período de latência que varia de 4–12 meses e necessidade de tratamento sistêmico. **Objetivo:** Relatar um caso raro de SM primário de mediastino em pediatria e, devido à escassez de literatura sobre o tema, estimular a discussão das possíveis abordagens terapêuticas atuais. **Material e métodos:** Descrição do caso de paciente ALS, masculino, pré-escolar de 3 anos, previamente hígido. Iniciou quadro de dor abdominal difusa com relato de múltiplos atendimentos em pronto atendimento pediátrico sendo medicado com sintomáticos durante 1 mês. Na ocasião, evoluiu com piora da dor abdominal e desconforto respiratório. Foi realizado exames radiológicos e confirmado por tomografia de tórax a presença de massa de mediastino anterior. Evoluiu com dispneia, necessitando transferência para UTI pediátrica do Instituto Nacional do Câncer (INCA) para monitorização clínica e elucidação diagnóstica. Foi realizada biópsia percutânea guiada por USG, cujo resultado histopatológico foi de sarcoma mieloide, confirmado por estudo imuno-histoquímico com positividade de LCA, CD68, CD4, Mieloperoxidase (MPO), CD117 e negatividade para CD20 e CD3. O paciente apresentava hemograma normal. Não foi evidenciado acometimento de medula óssea, assim como também não se identificaram alterações citogenéticas ou moleculares. **Resultados:** Diante do diagnóstico foi iniciado tratamento quimioterápico conforme o protocolo BFM LMA 2004. O paciente apresentou redução significativa da massa mediastinal após a indução. Realizou exame PET-CT, após completar fase de intensificação, compatível com massa residual fibrosada com critérios de remissão. No momento, encontra-se na fase de manutenção em remissão completa. Não possui doador HLA compatível. **Discussão:** O tratamento do SM em pediatria exige uma abordagem multidisciplinar. Quimioterapia

intensiva, com base em protocolos para LMA, seguida de terapia de consolidação com transplante de células-tronco hematopoiéticas tem sido a estratégia mais adotada. Diferentes abordagens têm sido exploradas em poucos relatos de casos, demonstrando a necessidade de individualização do tratamento, considerando o risco de toxicidade e complicações a longo prazo. **Conclusão:** O SM primário de mediastino é uma apresentação rara que exige atenção especializada para o diagnóstico e tratamento. Devido à raridade, não existem diretrizes de tratamento bem estabelecidas. É fundamental que os casos de SM em crianças sejam abordados em centros especializados e que uma colaboração multidisciplinar seja buscada para aprimorar o conhecimento e definir estratégias terapêuticas mais eficazes. A escolha do tratamento deve ser individualizada, considerando os benefícios potenciais em relação aos riscos.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2023.09.1070>

LONG-TERM OUTCOMES OF CHILDHOOD ACUTE LYMPHOCYTIC LEUKEMIA WITH MODIFIED BERLIN-FRANKFURT-MÜNSTER PROTOCOL IN RIO DE JANEIRO, BRAZIL: A MULTICENTRIC HOSPITAL-BASED SURVIVAL ANALYSIS STUDY

PRCB Horn^{a,b}, AMB Azevedo^c, S Rouxinol^d,
MT Schramm^b, BS Sanches^c, NL Duarte^c,
TSF Seixas^d, ES Costa^c, MGP Land^{c,e},
MHFO Souza^a

^a Hospital Universitário Pedro Ernesto (HUPE),
Universidade do Estado do Rio de Janeiro (UERJ), Rio
de Janeiro, RJ, Brazil

^b Instituto Nacional de Câncer (INCA), Rio de
Janeiro, RJ, Brazil

^c Instituto de Puericultura e Pediatria Martagão
Gesteira (IPPMG), Universidade do Estado do Rio de
Janeiro (UERJ), Rio de Janeiro, RJ, Brazil

^d Hospital Federal da Lagoa, Rio de Janeiro, RJ,
Brazil

^e Instituto Nacional de Ciência e Tecnologia em
Biologia do Câncer Infantil e Oncologia Pediátrica
(INCT BioOncoPed), Universidade Federal do Rio
Grande do Sul (UFRGS), Porto Alegre, RS, Brazil

Introduction/objectives: Acute Lymphocytic Leukemia (ALL) is the most common pediatric cancer and it seems to be more frequent in Hispanics. Berlin-Frankfurt-Münster (BFM) protocol for ALL was preceded by a clinical trial carried out in the 1970s and, in the 1980s, hospitals from Rio de Janeiro began to use this protocol seeking for a more effective treatment. Our aim is to determine the survival probabilities and the main prognostic factors for children and adolescents with ALL in Rio de Janeiro and to compare these results with other BFM studies. **Methods:** We conducted a survival analysis study with a retrospective cohort of 695 patients from 0–19 years treated with a modified BFM protocol at four public hospitals in the city of Rio de Janeiro, Brazil, between 1998 and 2018. Prognostic factors included age, sex, leukocyte count,