

de exclusão e requer como confirmação uma biópsia com coloração por vermelho do congo amilóide positiva. **Conclusão:** A amiloidose é uma doença de difícil diagnóstico, por causa de suas diferentes manifestações sistêmicas e localizadas. Visto que mesmo na suspeita clínica, deve-se afastar todas as outras possíveis causas antes de seguir biópsia com coloração vermelho congo. Dessa forma este relato mostra a importância do diagnóstico precoce em virtude da gravidade e dificuldade do tratamento, já que na forma AL o tratamento com Melfalana IV e transplante autólogo, só resultam em 40% de resposta, tornando o prognóstico reservado nos casos diagnosticados tardiamente.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2020.10.321>

320

DOENÇA DE GAUCHER E A TERAPIA DE REPOSIÇÃO ENZIMÁTICA

C.P.R. Severino, H.C. Marafon, E.D.S. Silva

Universidade Estadual do Oeste do Paraná
(UNIOESTE), Cascavel, PR, Brasil



Objetivos: Os erros inatos do metabolismo (EIM) relacionam-se com a falta de atividade de uma ou mais enzimas específicas que resultam em manifestações nos órgãos atingidos. A doença de Gaucher se caracteriza como um EIM, sendo uma doença hereditária, autossômica e recessiva, descrita na literatura como a lipídose mais frequente. Essa doença é caracterizada pela deficiência na atividade da enzima lisossomal beta-glicosidase, que quando inativa causa acúmulo de glicolipídio nos macrófagos. Essa deficiência induz a alterações histológicas nos órgãos do sistema imunológico, como fígado, baço, linfonodos e medula óssea. Os sinais mais característicos da doença são a esplenomegalia, a hepatomegalia e o enfraquecimento dos ossos. Existem três tipos dessa doença, mas apenas o I e o III podem ser tratados com a terapia de reposição enzimática. Tendo em vista a unanimidade da comunidade científica em relação aos benefícios na qualidade de vida dos pacientes que fazem o tratamento de reposição enzimática, bem como reconhecendo que a doença de Gaucher ainda é pouco presente na produção científica brasileira, esse presente estudo tem por objetivo avaliar o conhecimento referente ao tratamento dessa doença, bem como evidenciar a importância da produção de conteúdo científico a respeito dos EIM, que ainda que raros, podem ser altamente incapacitantes. **Materiais e métodos:** Trata-se de um estudo de revisão de literatura de artigos brasileiros publicados na base de dados Scielo. O termo Doença de Gaucher foi colocado e 24 artigos foram encontrados, mas apenas 3 possuíam um enfoque mais específico sobre o tratamento com reposição enzimática na doença de Gaucher. **Resultados:** No que se refere aos aspectos genéticos da doença, os três artigos citaram seu caráter recessivo e autossômico, e dois artigos mencionaram a maior prevalência da doença entre os judeus Ashkenazi. Os três artigos dissertaram sobre os três fenótipos da doença, bem como apontaram que o tipo I é o mais comum. A hepatomegalia foi unanimemente elencada como o sintoma mais comum da doença. A terapia de reposição enzimática

foi recomendada pelos três artigos, para os tipos I e III da doença, após a confirmação do diagnóstico por dosagem da atividade enzimática da beta-glicosidase. A média de idade dos pacientes estudados em dois artigos diferiu um pouco, sendo 16,9 anos em um artigo e 19,6 no outro. Em ambos os artigos com análise de pacientes foi observada uma melhora de todos os parâmetros ao longo do tratamento, como anemia, trombocitopenia, hepatomegalia, esplenomegalia e dor óssea. Dois artigos sugerem o uso da mesma dose, 35 U/Kg a cada duas semanas e um artigo sugere entre 30 e 120 U/Kg, a depender do estágio de risco do paciente. **Discussão:** Identificou-se que existe um pequeno número de artigos em português relacionados a essa doença. Nota-se que há muita concordância entre os trabalhos e unanimidade no que se refere a melhora na qualidade de vida dos pacientes que se utilizam da reposição enzimática. Entretanto, a quantidade limitada de artigos influencia negativamente na tentativa de estabelecer padrões nacionais. **Conclusão:** Conclui-se que ainda que exista consenso no que tange aos principais pontos da doença, ainda existem poucos estudos publicados no Brasil e isso prejudica o estabelecimento de padrões no tratamento da doença, o que evidencia a necessidade de mais estudo sobre o tema.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2020.10.322>

321

EFEITO DO LASSBIO-1386 EM CÉLULAS DE INDIVÍDUOS INFECTADOS PELO HTLV-1

E.M.M. Costa^a, M.F.R. Grassi^b, G. Calasans^b,
E.S. Batista^b, L.L. Goes^b, L.M.D.S. Lopes^a, C.S.
Meira^b, J.G. Lima^b, B.G.C. Filho^b

^a Escola Bahiana de Medicina e Saúde Pública
(EBMSP), Salvador, BA, Brasil

^b Fundação Oswaldo Cruz (Fiocruz), Salvador, BA,
Brasil



O HTLV-1 é o agente etiológico da Leucemia Linfoma de Células T do Adulto e Mielopatia Associada ao HTLV-1/Paraparesia Espástica Tropical (HAM/TSP). Está relacionado também a outras doenças inflamatórias como uveíte, artrites, dermatites, polimiosites. Poucos tratamentos são disponíveis para sintomáticos portadores de HTLV-1. O derivado de N-acilhidrazona, o LASSBio-1386, possui atividade imunomoduladora, antiproliferativa e anti-inflamatória e não foi estudado no contexto do HTLV-1. **Objetivo:** Determinar o efeito do composto LASSBio-1386 in vitro sobre a proliferação, ciclo celular, apoptose, necrose e na carga proviral em células mononucleares do sangue periférico (PBMC) de indivíduos infectados pelo HTLV-1. **Métodos:** Trata-se de um estudo experimental em indivíduos assintomáticos, indivíduos com diagnóstico de HAM/TSP e em voluntários da Fiocruz, com idade igual ou superior a 18 anos, atendidos no Centro de HTLV da Escola Bahiana de Medicina e Saúde Pública de Salvador. A IC50 foi obtida através de linfoblastos cultivados na presença e na ausência de diferentes concentrações de LASSBio 1386, em seguida foi avaliada a inibição da proliferação na PBMC dos indivíduos infectados pelo HTLV-1 assintomáticos e com HAM/TSP na presença e na ausência do composto. Para avaliar