

pacientes em relação ao tratamento, políticas públicas e qualidade de vida. **Objetivo:** Evidenciar os avanços conquistados nos últimos 7 anos no estado do Mato Grosso do Sul em prol da qualidade de vida dos pacientes e visibilidade da causa. **Materiais e métodos:** Foram utilizadas técnicas de articulação, meios de multiplicação da visibilidade dos projetos implantados, sensibilização e informação a pacientes, bem como as métricas de utilização dos fatores para profilaxia. **Resultados:** A parceria Aphems e Rede Hemosul MS culminou, nesses últimos 7 anos, em projetos conjuntos que impulsionaram a discussão da causa e conquistaram ganhos significativos para a qualidade de vida das pessoas com hemofilia. - Assembleia para a criação da APHems em 17/04/16 e formulação documental da Associação em 17/04/17, no espaço da Rede Hemosul MS, com coletiva de imprensa com o propósito de dar visibilidade à causa. - Projeto de capacitação de profissionais de saúde: realização de cinco eventos envolvendo médicos hematologistas e ortopedistas, enfermeiros, educadores físicos, psicólogos e fisioterapeutas, com o intuito de envolver, formar, informar e promover a interação desses públicos à causa da hemofilia; eventos Embaixadores e qualificação para pacientes e atenção básica; - Trabalho desenvolvido pela Farmácia de Hemoderivados do Hemosul e a Aphems com o Projeto Ambulância Terapia, que distribui em cada município do Mato Grosso do Sul os fatores, facilitando o acesso e a utilização; - Parceria com a APAE-MS para utilização da piscina para tratamento em hidroterapia aos pacientes; - Criação do ambulatório de hemofilia em 04/22, no qual uma equipe multiprofissional atende os pacientes para um tratamento com mais precisão e qualidade; - Participação da Presidência da APHEMS no Comitê Estadual de Mato Grosso do Sul do Fórum Nacional da Saúde do CNJ - Conselho Nacional do Judiciário; - Aprovação em Campo Grande da lei da carteirinha do hemofílico, com direito a transporte gratuito para os pacientes, elevação do grau de análise dos casos de hemofilia com traumas para as categorias de urgência/emergência; - 1º Lugar no Children's Walk, melhor projeto do Brasil voltado às crianças com hemofilia; Com todos esses projetos alinhados em um plano estratégico para relacionamento e visibilidade da causa, o crescimento na utilização e qualidade de vida da pessoa com hemofilia foi exponencial, conforme dados obtidos do Perfil das Coagulopatias Hereditárias no Brasil do Ministério da Saúde: Ano 2015: Consumo fator 8: 3.223.00 uis, 92 pessoas, média per capita 1.2; Consumo fator 9: 1.237.00 uis, 17 pessoas, média per capita 0.47; Ano 2020: Consumo fator 8: 7.218.500 uis, 108 pessoas, média per capita 2.58; Consumo fator 9: 1.759.00 uis, 20 pessoas, média per capita 0.6. **Conclusão:** Um trabalho em equipe e com propósitos bem definidos, com foco no paciente pode promover um avanço muito maior para uma causa, do que projetos isolados e sem colaboração. Essa parceria entre a Rede Hemosul MS e a APHEMS permite muito mais visibilidade à causa e o alcance de conquistas muito mais significativas e que interferem positivamente na qualidade de vida das pessoas com hemofilia.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2022.09.465>

PÚRPURA TROMBOCITOPÊNICA TROMBÓTICA REFRATÁRIA: RELATO DE CASO

JA Rena, CAC Vieira, DR Spada, MC Locatelli,
BN Nascimento, MG Cliquet, AC Vecina,
MA Gonçalves, JR Assis

Pontifícia Universidade Católica de São Paulo (PUC-SP), São Paulo, SP, Brasil

Introdução: A Púrpura Trombocitopênica Trombótica (PTT) é uma forma de trombose microangiopática que resulta na disfunção de múltiplos órgãos como consequência da isquemia microvascular. Decorre do decréscimo da atividade da ADAMTS13 que tem o papel de clivar o fator de Von Willebrand (FVW), com consequente aumento da agregação plaquetária e isquemia pela oclusão de vasos por trombos de plaquetas. A deficiência severa de ADAMTS 13 (< 10%), ocorre por auto anticorpos em 95% dos casos ou deficiência congênita da enzima em 1%. É caracterizada pela penta de: febre, plaquetopenia, anemia hemolítica micro angiopática, disfunção renal e alterações neurológicas. A suspeita clínica deve ser confirmada pela dosagem da ADAMTS13, e sua etiologia pela presença de auto anticorpos ou sequenciamento do gene. É necessário que o paciente possua exclusão de outras causas como CVID. O manejo da PTT adquirida consiste na realização da plasmáfêrese, o mais precoce possível, administração de corticosteroides e rituximabe. No caso da PTT congênita deve se realizar plasmáfêrese ou infusão de plasma isolada. **Objetivo:** Relatar caso de paciente diagnosticado com Púrpura trombocitopênica trombótica refratária com resposta a Ciclosporina A (CSA). **Metodologia:** Levantamento de prontuário, descrição e discussão de relato de caso clínico por meio de revisão da literatura. **Relato de caso:** Paciente do sexo feminino, 51 anos, com queixa de fraqueza, dispneia e petéquias há 15 dias. Procurou atendimento, realizando exames que evidenciaram anemia e plaquetopenia: Hb 6,7 g/dL, leucócitos 9043/mm³, plaquetas 12.000/mm³, DHL 3170 mg/dL, Bilirrubina indireta 1,1 mg/dL, INR normal e Coombs Direto negativo, além de reticulocitose e presença de esquizócitos > 5 por campo. Realizado mielograma que evidenciou hiperplasia. Inicialmente tratada com plasmáfêrese (1,5 volúme plasmático) e corticoterapia (pulsoterapia e prednisona 1 mg/kg/dia) com boa resposta, mas com piora em seguida. Optado por manutenção da plasmáfêrese e aumento da prednisona para 2 mg/kg/dia, sem melhora. Introduzida ciclosporina A na dose de 2 mg/kg/dia com boa resposta permitindo a suspensão da plasmáfêrese e redução gradativa da prednisona. Exames pós tratamento com Hb 9,9 g/dL 19.200/mm³ P 207.000/mm³. **Discussão:** A PTT refratária ocorre em cerca de 10 a 42% dos pacientes e é caracterizada pela não resposta na elevação de plaquetas após 4 a 7 dias de plasmáfêrese ou deteriorização clínica. Nos casos de PTT adquirida refratária deve se identificar outras causas de trombocitopenia e se não houver, adicionar terapia adicional. As opções de tratamento para a PTT refratária são corticosteroides em dose de 1g/dia de metilprednisolona; plasmáfêrese duas vezes ao dia; Rituximab(anti CD20) na

dose de 375 mg m² uma vez na semana por quatro semanas. Após estas opções é possível realizar esplenectomia; ciclosporina, droga imunomoduladora que inibe a ativação de células T. O uso de plasmaférese associado a ciclosporina levou a remissão em 89% dos casos, contudo foi evidenciado que o aumento da ADAMTS13 foi similar ao da plasmaférese isoladamente. A CSA deve ser utilizada por 6 meses e em caso de não haver resposta, pode ser associada vincristina. Outras potenciais terapias incluem: bortezomib; emicizumab; ADAMTS13 recombinante e terapia anti FVW. **Conclusão:** Ciclosporia A é uma alternativa para o tratamento da PTT refratária à plasmaférese e corticoterapia.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2022.09.466>

REGISTRO NACIONAL DE PESSOAS COM HEMOFILIA A EM USO DE EMICIZUMABE NO BRASIL: DADOS BASAIS

RM Camelo^a, R Muniz^a, M Araújo^a,
MM Barbosa^a, ND Silva^b, F Acúrcio^a,
A Guerra^a, J Alvares-Teodoro^a

^a CCATES, Faculdade de Farmácia, Universidade Federal de Minas Gerais (UFMG), Belo Horizonte, MG, Brasil

^b Fundação Centro de Hematologia e Hemoterapia do Estado de Minas Gerais (Hemominas), Belo Horizonte, MG, Brasil

Introdução: Hemofilia A (HA) é uma doença hereditária rara caracterizada por sangramentos espontâneos devido à deficiência do fator de coagulação VIII (FVIII). A profilaxia é o tratamento recomendado para evitar os sangramentos. Historicamente, ela consistia na infusão regular de FVIII. Nos casos em que o paciente tivesse desenvolvido anticorpos neutralizantes anti-FVIII (inibidores), a profilaxia era feita com agentes de *bypass*. Em 2018, o emicizumabe foi aprovado no Brasil para profilaxia de pessoas com HA sem (PcHA) ou com inibidores (PcHAi). A avaliação do desempenho de uma nova tecnologia é imprescindível para acrescentar informações sobre efetividade e segurança e, principalmente, para auxiliar no estabelecimento de diretrizes terapêuticas. O *Registro Nacional de Pessoas com Hemofilia A em Uso de Emicizumabe no Brasil* (Emicizumab Cases, EMCASE) é um projeto com o objetivo de fazer um registro nacional para acompanhamento de PcHA/PcHAi em uso de emicizumabe como profilaxia, avaliando aspectos terapêuticos, desfechos clínicos, segurança e custos do tratamento. **Objetivo:** Descrever o perfil das primeiras PcHA/PcHAi registradas no Projeto EMCASE. **Métodos:** Incluíram-se PcHA/PcHAi em uso de emicizumabe como profilaxia desde janeiro/2020, mediante assinatura do Termo de Consentimento Livre e Esclarecido. A terapia foi totalmente decidida e conduzida pela equipe interdisciplinar do Centro de Tratamento de Hemofilia (CTH) no qual o paciente estava cadastrado. Os dados foram coletados por essa equipe em formulários padronizados. Inicialmente, obtiveram-se os

dados equivalentes ao período anterior ao uso do emicizumabe (basal). O projeto foi aprovado pelo Comitê de Ética em Pesquisa da Universidade Federal de Minas Gerais (CAAE 10664919.6.0000.5149) e nos CTHs envolvidos. O estudo está cadastrado no Registro Brasileiro de Ensaios Clínicos (ReBEC). O projeto é financiado pelo Fundo Nacional de Saúde (Ministério da Saúde). **Resultados:** Até agosto/2022, 30 PcHA/PcHAi cadastradas em 8 CTHs foram incluídas. A maioria era do sexo masculino (97%). Dois terços (18/27) tinha HA grave (atividade de FVIII residual < 1% do normal). Dentre as 23/27 (85%) PcHA com inibidor pregresso ou atual, apenas uma nunca havia feito imunotolerância. A modalidade terapêutica mais adotada antes do início do uso de emicizumabe foram as profilaxias secundária/terciária (63%). Ao início do uso de emicizumabe, as PcHA/PcHAi possuíam uma idade mediana (intervalo interquartil, IIQ) de 9 anos (IIQ,5-18). O tempo mediano de uso até a publicação deste resumo foi de 265 dias (IIQ,246-307). Apenas 3/27 (11%) PcHA/PcHAi tinham mais de um ano de uso de emicizumabe. **Conclusões:** A maioria das PcHA/PcHAi incluídas no estudo apresentavam HA grave e inibidor anti-FVIII. Antes do início do tratamento com emicizumabe, a modalidade terapêutica prevalente eram as profilaxias secundária/terciária.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2022.09.467>

ACQUIRED VON WILLEBRAND SYNDROME SECONDARY TO MONOCLONAL GAMMOPATHY OF UNDETERMINED SIGNIFICANCE: LONG-TERM REMISSION AFTER TREATMENT WITH BORTEZOMIB

ALR Saldanha, ME Veiga, E Okazaki,
C Rothschild, GA Martinez, V Rocha, FLA Orsi,
P Villaza

Universidade de São Paulo (USP), São Paulo, SP, Brazil

Objective: To describe a case report of a patient with monoclonal gammopathy of undetermined significance (MGUS) who progressed to Acquired von Willebrand syndrome (AVWS) and was successfully treated with bortezomib. **Material and methods:** Case report with literature review. **Results:** A 54-years-old woman presented at our center to investigate an M-spike. She had been treated for chronic kidney disease due to glomerulonephritis for eight years and was on peritoneal dialysis waiting for a kidney transplant. During laboratory workup, a serum M-protein (0.3 g/dL) was detected by protein electrophoresis and a monoclonal IgG kappa was identified. After one year of follow-up, and with stable M-protein levels, the patient started complaining of increased bleeding from minor wounds, bruises in inferior limbs and repeated episodes of epistaxis. The patient had no personal or family history of bleeding disorders. Laboratory testing included normal blood and platelet