

Hematologia (n=15, 36%) ou outras especialidades (n=6, 14%), com mediana de 3 meses entre clínica-diagnóstico (1–18; p=0,41). Nenhum paciente era assintomático ao diagnóstico. Observou-se fratura patológica ou lesão osteolítica em 35 pacientes (82%), necessidade transfusional em 26 (62%), hipercalcemia em 18 (43%) e hemodiálise em 9 (21%). Seguimento na atenção primária à saúde (APS) durante o período sintomático ocorreu em 29 pacientes (69%), e 25 destes (86%) também atendidos em pronto-socorro no período. Em todos a avaliação de gamopatia monoclonal ocorreu apenas na atenção especializada. Oito pacientes (19%) não receberam quimioterapia por fragilidade extrema, com mediana de SG de 1 mês (intervalo: 1–5). Resposta ao tratamento de primeira linha (n=34) foi resposta completa em 3 pacientes (9%), parcial muito boa em 12 (35%), parcial em 7 (21%), doença estável ou progressiva em 11 (33%) e não-avaliável em 1 (3%). Com mediana de seguimento de 17 meses ocorreram 22 mortes, 9 por sepse (41%) e 7 por progressão (32%), com mortalidade precoce (<3 meses) em 24% (n=10). SLP e SG medianas foram de 16 meses e 24 meses, com probabilidade de SLP e SG em 12 meses de 59% e 73%. Probabilidade de SG em 12 meses para pacientes ambulatoriais versus internados foi de 80% e 46% (p=0.063). **Discussão:** Diagnóstico de MM em hospital público de cidade com IDH muito alto ocorreu universalmente em pacientes sintomáticos, frequentemente com doença óssea, anemia ou disfunção renal graves. Apesar de idade ao diagnóstico mais jovem que a literatura, diagnóstico tardio com acesso limitado a terapias-alvo pode ter impactado negativamente na sobrevida observada. **Conclusão:** Melhor acesso a meios diagnósticos e conscientização sobre MM são necessários para diagnóstico em nosso cenário de pacientes sem comprometimento clínico grave e com maior probabilidade de sobrevida.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2022.09.1086>

ANÁLISE QUANTITATIVA E QUALITATIVA DOS ATUAIS ESTUDOS CLÍNICOS EM PACIENTES PORTADORES DE β -TALASSEMIA

AS Rodrigues, BP Machuca, CG Freitas, DKS Costa, JVDS Bianchi

Liga Acadêmica de Hematologia e Banco de Sangue São Camilo (LAHBSSC), São Paulo, SP, Brasil

Objetivo: Realizar levantamento dos atuais estudos clínicos em andamento e concluídos em pacientes portadores de β -Talassemia, demonstrando os principais tipos de intervenções que estão sendo propostas, estratificando a fase do estudo e os principais países envolvidos na pesquisa. **Metodologia:** Foram realizadas pesquisas na base de dados ClinicalTrials.gov, no qual as informações utilizadas foram cuidadosamente selecionadas e organizadas, a fim atender ao objetivo proposto. **Resultados/Discussão:** A β -talassemia é uma anemia hemolítica genética em que há redução ou ausência da síntese de cadeias beta. O tetrâmero de hemoglobina sofre um desequilíbrio de modo a desencadear anemia hemolítica que muitas vezes leva a dependência transfusional e consequentemente a sobrecarga de ferro, dentre outras graves manifestações relacionadas a

essa doença. Dessa forma, a patofisiologia tem sido alvo de estudos clínicos com a perspectiva de diminuir os eventos patológicos e trazer uma melhor qualidade de vida aos pacientes portadores da condição. Conforme a plataforma ClinicalTrials.gov, atualmente existem 249 estudos no mundo sobre β -talassemia, sendo 36 estudos em recrutamento, 16 ativos e 122 completos. A América do Sul e a Ásia são os continentes com menos estudos, uma vez que comparados aos Estados Unidos e a Europa, com respectivamente, 86 e 69 estudos. Dentre os estudos com status completo, 23 possuem caráter observacional, os quais analisam a qualidade de vida dos pacientes; e 99 com caráter intervencional que investigam a segurança e eficácia de intervenções medicamentosas para o tratamento de β -talassemia e os consequentes resultados obtidos. A transfusão sanguínea é utilizada principalmente para manter os níveis de Hb estáveis e minimizar as manifestações clínicas; e a quelação de ferro, como profilaxia à hemocromatose. Ambas são consideradas terapias convencionais para a β -talassemia, no entanto, a cura definitiva depende de transplante de célula tronco hematopoietica, apesar do risco de complicações, rejeição ou doença do enxerto contra hospedeiro. **Conclusão:** Além das terapias já conhecidas, pesquisas com abordagens farmacológicas vêm crescendo cada vez mais. A partir da coleta de dados, verificou-se o desenvolvimento de pesquisas experimentais voltadas para a avaliação da segurança, tolerabilidade e eficácia do fármaco EDIT-301, utilizado em estudo multicêntrico de fase 1/2, atualmente em recrutamento nos Estados Unidos, para a edição de células progenitoras hematopoieticas CD34+ autólogas, a partir dos promotores do gene da γ -globina, induzindo os glóbulos vermelhos a aumentarem a produção de HbF, o que pode reduzir a necessidade de transfusões constantes. Outra intervenção que vem sendo alvo de estudos clínicos é o Sirolimus (rapamicina), imunossupressor já aprovado pelo FDA para a prevenção da rejeição aguda em receptores de transplante renal, que ainda é capaz de induzir a expressão do gene da γ -globina nas células precursoras eritróides em pacientes com β -Talassemia, também levando a um aumento na produção de HbF. Atualmente estão sendo conduzidos 7 estudos de fase 2 na Itália utilizando este fármaco. Ambas as terapias mostraram-se altamente eficazes no tratamento da β -Talassemia, com melhora da qualidade de vida dos pacientes, além da redução do risco de complicações e manifestações clínicas graves da doença.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2022.09.1087>

LINFOMA GRAY ZONE RECAÍDO COMO LINFOMA DE HODGKIN

GO Borges^a, HI Paula^a, PHN Mattos^a, CA Bitencourt^b, MEP Aguiar^a, TF Dios^a, MO Galvão^a, CEDR Castro^a, FSB Ferreira^b, FD Xavier^{a,b}

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

^b Hospital DF Star, Brasília, DF, Brasil

Objetivos: Relato de caso de um linfoma gray zone primário de mediastino recaído como linfoma de Hodgkin após