

^b Inherited Blood Disorders Center, Qatif Central Hospital, Qatif Health Network, Qatif, Kingdom of Saudi Arabia

^c Faculty of Medicine, Imperial College London, London, United Kingdom

^d Brent Sickle Cell and Thalassemia Centre, Department of Haematology, London North West University Healthcare NHS Trust, London, United Kingdom

^e Division of Hematology and Oncology, Department of Pediatrics, Washington University School of Medicine, St. Louis, United States

^f The Pulmonary Center, Boston University Chobanian & Avedisian School of Medicine, Boston, United States

^g Instituto Estadual de Hematologia Arthur de Siqueira Cavalcanti (Hemorio), Rio de Janeiro, Brazil

^h Helios Universitätsklinikum Wuppertal, Wuppertal, Germany

ⁱ Comprehensive Sickle Cell Center, Section of Hematology-Oncology, University of Illinois Hospital, Chicago, United States

^j Pfizer Inc, New York, United States

^k Division of General Internal Medicine, Department of Medicine, Virginia Commonwealth University, Medical College of Virginia Campus, Richmond, United States

Objective: Remittive therapies for sickle cell disease (SCD) have increased over the past 7 years highlighting the need for standardized and quantifiable markers to monitor SCD, progression and treatment response. The aim was to develop an SCD treatment-decision framework that is well-defined, quantifiable, adaptable, personalizable, and clinically relevant for every stage of the individual patient journey. **Methods:** SCD experts worldwide, with extensive knowledge of organ systems commonly associated with SCD-related complications participated in an iterative series of advisory boards to identify and prioritize laboratory, clinical, and qualitative measures of SCD progression to see how these measures should be used for treatment decision making. The series were designed to 1) determine quantifiable goals for SCD treatment; 2) identify unmet needs and barriers to applying goal-oriented decision making in SCD clinical practice; and 3) introduce, refine, and validate an SCD treatment-decision framework and populate the framework with specific treatment targets. To aid implementation of a SCD treatment-decision framework in clinical practice, parameters identified were prioritized using a virtual survey and differentiated for pediatric or adult implementation. **Results:** Advisors focused on the significance of shared decision making between patient and clinician, treatment goals including of biological, social, and psychological dimensions, and the uniqueness of individual patients and their experiences. Advisors recommended that an SCD treatment-decision framework should invoke regular assessment, re-assessment, and proposed the monitoring of three key areas: markers of disease activity, markers of organ damage, and measures of health-related quality of life (HRQoL). Advisors agreed on the manage, monitor, perform (MMR) framework: 1) Manage: Are key SCD

parameters managed? 2) Monitor: Are key aspects of disease progression monitored to prevent further organ complications? 3) Realize: Is the patient able to fulfill their potential? The MMR framework requires clinicians to consider and reassess the three pillars in parallel in the clinic to assess patient treatment. Advisors identified key assessment criteria: SCD parameters (hematological parameters, markers of hemolysis, presence of vaso-occlusive episodes, presence of acute chest syndrome, transfusion burden, risk of infection); presence and severity of organ complications (renal, cardiovascular, pulmonary, neurological, retinal, osteonecrosis, hepatobiliary, endocrine [growth and development], leg ulcers), and shared decision making (patient treatment goals, HRQoL, pain, fatigue, depression, anxiety, transition of care, reproduction and fertility, professional development). **Discussion:** Unity on SCD treatment measures, outcomes, and goals could improve SCD management and patient outcomes. **Conclusions:** The finalized MMR framework should aim to achieve the best clinical standard of care and address worldwide regional limitations. The MMR framework could also be used to guide the design of clinical trials. We plan to continually refine the MMR framework, in partnership with global SCD experts, to allow for customization to worldwide healthcare systems, application to patients based on developmental stage and/or disease status, and to allow piloting in clinical practice.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.046>

DOENÇA DA CRIOAGLUTININA – DA BANCADA AO TRATAMENTO

BS Fernandes ^a, AMB Bertolo ^a, TA Barros ^b, KS Blanco ^a

^a Hospital da Força Aérea do Galeão (HFAG), Rio de Janeiro, RJ, Brasil

^b Hospital Universitário Clementino Fraga Filho (HUCFF), Universidade Federal do Rio de Janeiro (UFRJ), Rio de Janeiro, RJ, Brasil

Objetivo: Relatar um caso de paciente portadora de doença da crioaglutinina (CAD), desde o diagnóstico imunohematológico até seu tratamento. **Relato do caso:** Trata-se de paciente de 79 anos, que se apresentou ao serviço de Hematologia para investigação de Tromboembolismo pulmonar (TEP) não provocado em Dezembro de 2021. Durante a propedêutica, foi identificada anemia moderada (Hemoglobina ao redor de 8 g/dL), sendo aprofundada sua avaliação. No ínterim das consultas, internou em Setembro de 2022 com queda importante da contagem de hemoglobina (4 g/dL) em vigência de parotidite bacteriana aguda. Tratada com antibióticos, obtendo melhora do quadro. Neste momento, as provas de hemólise mostraram-se positivas, o que motivou a solicitação de Teste da antiglobulina direto (TAD), o qual foi fortemente positivo (4+). Os estudos imunohematológicos demonstraram fixação exclusiva de C3d no cartão monoespecífico, pesquisa de anticorpos irregulares (PAI) negativa a 37°C e fortemente reativa a 4°C (4+ em ambas as células). A titulação da crioaglutinina foi > 1:64 e havia

especificidade anti I (testada contra hemácias de cordão umbilical). Diante da anemia hemolítica por anticorpos frios, a investigação de causas secundárias foi negativa (sorologias virais, provas de autoimunidade e neoplasmas linfoproliferativos). A biópsia de medula óssea excluiu outras entidades linfoproliferativas. Firmado diagnóstico de CAD, sendo iniciado tratamento com esquema Rituximab + Bendamustina, seis ciclos, até maio/2023. No seguimento, a paciente vem em uma resposta parcial tardia, porém progressiva, de sua doença, com redução dos parâmetros de hemólise e melhora hematimétrica. **Discussão:** A CAD é uma doença hemolítica rara causada por autoanticorpos frios e ainda pouco conhecida. Geralmente com especificidade anti I e com titulação da crioaglutinina acima de 1:64 como critério diagnóstico obrigatório. Deve ser sempre diferenciada das Síndrome da crioaglutinina, em que há uma causa secundária subjacente – doenças autoimunes, neoplasmas linfoproliferativos ou quadros infecciosos agudos / crônicos. Na avaliação de medula óssea atenta, é possível achar infiltração por clone linfocitário específico da doença, já descrito na classificação atualizada de neoplasias hematológicas da OMS 2022. Além disso, pela hiperviscosidade, há risco aumentado de eventos tromboembólicos, como foi o caso da paciente. Essa entidade não responde a corticosteroides, devendo ser tratada com imunoquimioterapia para erradicação do clone em questão. O esquema mais comumente usado é Rituximab + Bendamustina, com ótimas taxas de resposta. O tempo de resposta é variável, sendo relatadas respostas após doze a dezoito meses inclusive, como foi o caso da paciente em questão. Após o tratamento, houve grande ganho da qualidade de vida e melhora laboratorial. **Conclusão:** A raridade e o diagnóstico complexo fazem com que essa doença seja, ainda hoje, subdiagnosticada em nosso meio. Somente o reconhecimento precoce dessa grave entidade, por hematologistas e hemoterapeutas, poderá possibilitar o seu manejo correto e o consequente sucesso no tratamento.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.047>

PERFIL EPIDEMIOLÓGICO DE INTERNAÇÕES POR DOENÇA HEMOLÍTICA DO FETO E DO RECÉM-NASCIDO EM SANTA CATARINA EM 2023

GF Custodio^a, VAR Sulzbacher^a, ES Machado^b, JB Abreu^c, ACC Santana^d, SVBF Silva^e

^a Universidade do Extremo Sul Catarinense (UNESC), Criciúma, SC, Brasil

^b Faculdade Metropolitana São Carlos (FAMESC), Bom Jesus de Itabapoana, RJ, Brasil

^c Universidade Federal do Ceará (UFC), Fortaleza, CE, Brasil

^d Centro Universitário de Valença (UNIFAA), Valença, RJ, Brasil

^e Universidade do Estado do Rio Grande do Norte (UERN), Mossoró, RN, Brasil

Introdução: A doença hemolítica do feto e do recém-nascido (DHRN) caracteriza-se como a destruição dos glóbulos vermelhos através de anticorpos maternos transferidos por via transplacentária. Esses anticorpos se manifestam pela incompatibilidade do fator Rh entre a mãe e o feto. Ademais, a relevância do levantamento dos dados da doença é necessária para mostrar a importância da tipagem sanguínea e triagem de anticorpos reflexos desde a primeira consulta do pré-natal, com a finalidade de estabelecer o acompanhamento e tratamento imediatamente se o diagnóstico for realizado. **Objetivo:** Analisar internações por doença hemolítica do feto e do recém-nascido ocorridos em Santa Catarina em 2023. **Material e métodos:** Trata-se de um estudo ecológico, descritivo e quantitativo realizado em junho de 2024, utilizando dados do Sistema de Informações Hospitalares do SUS (SIH/SUS) disponíveis no TABNET/DATASUS e do Departamento de Análise Epidemiológica e Vigilância de Doenças Não Transmissíveis (DAENT). A pesquisa abrangeu as variáveis do ano de processamento; faixa etária; caráter de atendimento; sexo e óbitos ocorridos entre o período de janeiro de 2023 a dezembro de 2023 em Santa Catarina. **Resultados:** No estado de Santa Catarina, tivemos um total de 39 internações devido à doença hemolítica do recém-nascido em 2023. Ao analisar o gênero, houve 23 internações, todas de caráter urgente, da população masculina com destaque em Florianópolis e Timbó com 4 internações cada, os outros municípios apresentaram 1 ou nenhuma internação. Apenas 2 evoluíram para óbito, 1 no Vale do Itajaí e 1 no meio oeste e na serra catarinense. Em relação ao sexo feminino, representam 16 internações, 100% de caráter urgente, dos municípios afetados tivemos o destaque de Florianópolis e Criciúma com 2 internações cada, os outros contaram com apenas 1 ou nenhuma internação, e nenhum evoluiu para óbito. **Discussão:** Este estudo mostra a importância de realizar o diagnóstico precocemente e o tratamento eficaz, a fim de diminuir as internações e óbitos por DHRN, principalmente, em cidades como Florianópolis, Timbó e Criciúma que se destacaram com 6, 4 e 2 internações no ano de 2023, respectivamente. Ao explorar outros estudos é notável a carência do conhecimento por parte das gestantes e o atendimento ineficaz por parte dos profissionais da saúde. Outrossim, o custo de aproximadamente 603,31 reais por internação. Além disso, é indispensável a compreensão da incidência em locais que possuem destaque nas internações de DHRN, por meio da promoção de políticas públicas e distribuição recursos suficientes, com objetivo de evitar novos casos. **Conclusão:** A análise do número de internações por doença hemolítica do recém-nascido nesse intervalo de tempo revela que todos os casos foram em caráter de urgência. O predomínio encontra-se no sexo masculino, com maior concentração em Florianópolis e Timbó. O resultado demonstra que os casos de óbitos foram somente no sexo masculino. Recomenda-se a realização de novos estudos que abordem outras variáveis sobre essa problemática, no sentido de contribuir e potencializar o diagnóstico e tratamento precoce, evitando uma internação de urgência caracterizada com maior gravidade.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.048>