

Introduction: The decision to participate in clinical trials for Sickle Cell Disease (SCD) involves considerations that may impact individual routines and health, and by consequence, influence aspects of a trial, like recruitment and adequate completion of the study. Understanding the barriers and motivators to participation among people with SCD (PwSCD) is crucial for the success of clinical trials, ultimately enhancing health outcomes. The Learnings and Insights into Sickle Cell Trial Experiences (LISTEN) Survey was developed to provide a comprehensive understanding of the barriers and motivators to participation in clinical trials for PwSCD as well as health care professionals (HCPs) involved in their care. The survey collected responses from individuals from 17 different countries. The LISTEN Survey is a real-word data study that was funded by Novo Nordisk Health Care AG and designed with input from Global SCD HCPs as well as PAG representatives and individuals living with SCD, and performed by Madano (London, UK). **Aim:** This study presents findings from the LISTEN Survey, focusing on the Brazilian subsample. The focus of this work is to describe and compare perspectives of people with SCD and their HCPs on barriers and motivations to participate in clinical trials. **Methods:** Between October 6, 2022, and June 22, 2023, 82 PwSCD and 36 HCPs from Brazil completed quantitative surveys, rating the importance of various factors influencing their decision to participate in clinical trials. Answers were measured by a 7-point scale, that ranged from “not important at all” to “extremely important”, which the participants chose from to classify each topic. The surveys covered impact on daily life, trial treatment impact, and wider clinical trial outcomes. **Results:** The survey revealed that individuals with SCD prioritize factors such as increased access to specialist care and the potential for improved symptom management when considering trial participation. Conversely, HCPs placed high importance on issues like travel requirements and potential work or income disruption. Both groups valued supporting new treatments but differed notably on knowledge enhancement and data access. **Discussion:** The results indicate that PwSCD are motivated to participate in trials to improve their future and the lives of others with SCD. They seek symptom amelioration and closer monitoring by specialists. However, disparities were observed between patient and HCP perspectives, particularly regarding the impact on daily life. Their concerns about disrupting routines were less pronounced than perceived by HCPs, indicating willingness to participate. **Conclusion:** Insights from the LISTEN Survey offer valuable understanding of participation motivators and barriers for individuals with SCD, informing strategies to enhance trial completion and potentially improve health outcomes in SCD.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.111>

PANCITOPENIA ASSOCIADA AO USO DE TRIPTOFANO: RELATO DE CASO

MAS Dias ^a, AMS Ariza ^a, JLS Pereira ^a,
NL Oliveira ^a, RV Moreira ^a, PC Gontijo ^{a,b}

^a Faculdade Ciências Médicas de Minas Gerais (FCM-MG), Belo Horizonte, MG, Brasil

^b Cetus Oncologia, Belo Horizonte, MG, Brasil

Introdução: A anemia hemolítica é uma condição caracterizada pela destruição prematura das hemácias, reduzindo a capacidade de transporte de oxigênio, ocasionando sintomas como fadiga e icterícia. Já o Triptofano é um aminoácido essencial, precursor da serotonina e melatonina, encontrado na dieta e em suplementos. Embora geralmente seguro, o uso de triptofano pode estar associado a reações hematológicas adversas, como a anemia hemolítica. O metabolismo do Triptofano pode influenciar processos imunológicos e metabólicos que afetam a estabilidade das hemácias, contribuindo para a sua destruição. **Objetivo:** Relatar um caso de pancitopenia associada ao uso de Triptofano secundária a uma anemia hemolítica. **Material e métodos:** A pesquisa foi realizada com base em dados fornecidos pela participante da pesquisa e em revisões em prontuários fornecidos pela Instituição envolvida. O tempo necessário foi durante a internação até a alta, tendo sido realizado contato com a participante quando necessário. **Relato de caso:** Uma mulher de 52 anos com histórico de hipotireoidismo, ansiedade generalizada e HAS, apresentou fraqueza generalizada, colúria, hêmese e icterícia. A paciente relatou na admissão que estava no quinto dia de sintomas após realização de soroterapia injetável, visando uma melhora da sua disposição cotidiana. Os sinais vitais eram normais e o exame físico foi indicativo de icterícia, mas não havia hepatomegalia ou esplenomegalia. Os exames laboratoriais acusavam uma bilirrubina total de 2,77 mg/dL, direta de 0,47 mg/dL e indireta de 2,30 mg/dL, hemácias de 1,450,000/m³ com hemoglobina de 5,7 g/dL e desidrogenase láctica de 3209 U/L, indicando quadro de anemia hemolítica. Na história clínica a paciente alegou que a soroterapia realizada foi composta por uma solução de Complexo B sem B1, L taurina, Inositol, Aminoácidos essenciais (Leucina, Lisina, Valina, Isoleucina, Treonina, Fenilalanina, Metionina e Triptofano), Metilfolato, Vitamina C e 5-hidroxitriptofano. **Discussão:** Foram investigadas causas alternativas para o quadro de hemólise, porém foram descartadas hipóteses relacionadas a deficiências nutricionais e condições hematológicas ou autoimunes que poderiam explicar o quadro de anemia. O Triptofano foi escolhido como hipótese principal para a causa da pancitopenia referida por exclusão, uma vez que os demais componentes da soroterapia já foram amplamente estudados e não demonstraram relação significativa com a indução de hemólise severa em pacientes, especialmente nas doses administradas. O tratamento com infusão sanguínea, administrado para corrigir a anemia, resultou em uma melhora significativa tanto clínica quanto laboratorial, evidenciada pela recuperação dos níveis de hemoglobina e pela redução dos marcadores de hemólise. Esses achados sugerem uma correlação provável entre o uso de triptofano e a anemia hemolítica, corroborando a hipótese de que o Triptofano pode ter um papel importante no desenvolvimento da anemia hemolítica nesta situação específica. **Conclusão:** O caso destaca a necessidade de cautela no uso de terapias injetáveis e reforça a importância de validar a real necessidade desses procedimentos. Ademais, é essencial uma maior investigação dos possíveis efeitos adversos dos suplementos nutricionais. A conscientização sobre os riscos associados a essas terapias pode ajudar a prevenir situações semelhantes e garantir a segurança dos pacientes.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.112>