

tratamento. Assim, ferramentas como a comunicação médico-paciente e médico-família permitem uma melhor abordagem no cuidado da criança e auxiliam na criação de um ambiente capacitador que promova e assegure o acesso do paciente e familiares as informações legais e aos seus direitos.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.1124>

TRANSPLANTE ALOGÊNICO EM PACIENTES COM ANEMIA DE FANCONI: UMA REVISÃO DE LITERATURA

JVM Cunha^a, LER Chaer^a, GO Borges^a,
LD Ferreira^a, RM Silva^a, CCB Silva^a,
MDS Montenegro^a, AA Antunes^b

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

^b Hospital da Criança de Brasília José de Alencar (HCB), Brasília, DF, Brasil

Objetivos: A anemia de Fanconi (AF) é uma condição hematológica marcadamente recessiva ligada a falência progressiva da medula óssea (FMO), e predispondo a neoplasias e anomalias congênitas. Diagnosticada na infância, o tratamento abrange: transfusão de hemocomponentes (manejo das citopenias), fatores estimuladores de colônias, profilaxia contra infecções e o transplante alogênico de células tronco hematopoiéticas (aloTCTH). O aloTCTH é a única modalidade com potencial curativo e as principais complicações associadas são a falha na enxertia e a Doença do Enxerto contra Hospedeiro (DECH). A terapia gênica surgiu mais recentemente como uma opção terapêutica, embora ainda tenha caráter experimental. Tendo isso em vista, a presente revisão estuda a eficácia e a segurança associadas ao uso do aloTCTH na AF. **Material e métodos:** Foi realizada revisão de literatura nas bases Pubmed, Embase e Web of Science, utilizando os termos: “Fanconi Anemia”, “Allogeneic Transplantation” e “Hematopoietic Stem Cell Transplantation”. Foram encontrados 441 artigos nos últimos 10 anos, sendo 9 selecionados após aplicar os critérios de inclusão e exclusão. **Resultados:** O aloTCTH em pacientes com AF apresentou resultados excelentes: sobrevida geral em 5 anos de 90.4% e sobrevida livre de eventos (SLE) de 83.8%. Os principais fatores relacionados ao prognóstico são: idade de transplante, perfil citogenético e compatibilidade HLA. As indicações atuais para aloTCTH são: FMO, evidência de Síndrome Mielodisplásica (SMD) ou evidência de Leucemia Mieloide Aguda (LMA). Em alguns casos com mutações de alto risco, como FANCD1/BRCA2, o aloTCTH preventivo pode ser aplicado, mesmo sem atender aos critérios para transplante. O doador de primeira escolha será um irmão HLA compatível, e a segunda opção, um doador não aparentado HLA compatível. Avanços nos regimes de condicionamento e nos protocolos de transplante, com a redução na dose de agentes alquilantes e de radiação, introdução de fludarabine nos protocolos e técnicas de depleção de células T receptoras, baseadas no uso de ciclofosfamida, foram associados a melhores resultados e prognóstico pós-transplante com redução na taxa de complicações, como falha na enxertia e DECH. Quanto a DECH, o uso de

células tronco coletadas em sangue periférico foi relacionado a maiores taxas de DECH, enquanto o uso de técnicas de depleção de marcadores TCR+/CD19+ apresentou a relação oposta. Em pacientes que já evoluíram a uma SMD ou uma LMA, os resultados pós-transplante são mais heterogêneos e piores, com taxas de sobrevida global em 3 e 5 anos variando entre 33% e 88% em alguns estudos, com as mortes associadas principalmente a infecções e remissões. **Discussão:** O aloTCTH continua sendo a principal opção terapêutica na AF, sendo a única com potencial curativo, embora restrito a casos mais severos, com evidência de FMO severa, SMD ou LMA. Com a melhora dos protocolos de condicionamento e da seleção de doadores, as taxas de sobrevida apresentaram melhora importante, simultâneo à redução nas taxas de complicações e de falha no procedimento. **Conclusão:** Com a melhora dos protocolos de aloTCTH, essa modalidade terapêutica se consolidou como opção com melhor sobrevida geral e melhores resultados a longo prazo, embora ainda restrita a pacientes com quadros mais severos. Por isso, cabe ampliar os estudos de outras modalidades, como a terapia gênica ou o uso de andrógenos, de modo a melhorar o tratamento de pacientes não elegíveis ao aloTCTH.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2024.09.1125>

O DESAFIO NO MANEJO TERAPÊUTICO DA PÚRPURA TROMBOCITOPÊNICA IMUNE PERSISTENTE EM CRIANÇAS MENORES DE 5 ANOS NO BRASIL: RELATO DE CASO

AKF Costa, ALL Moraes, GPG Spohr, MD Costa,
GM Altizani, JE Bernardes, MBFD Reis,
CA Scrideli, ET Valera

Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina de
Ribeirão Preto da Universidade de São Paulo (USP),
São Paulo, SP, Brasil.

Introdução: A Púrpura Trombocitopênica Imune (PTI) persistente é definida por contagem de plaquetas < 100.000/microL por mais de 3 meses e menor que 1 ano. Estudos demonstram que crianças com PTI persistente têm maior chance de cronificação do quadro. Alguns tratamentos são instituídos para PTI, sendo as principais a imunoglobulina humana intravenosa (IVIG), corticoterapia, agonistas de receptor de trombopoetina (romiplostim, eltrombopague), rituximabe e a esplenectomia. **Objetivos:** Relatar caso clínico de um paciente com PTI persistente diagnosticado com um ano de vida, risco elevado de sangramento e refratário às terapias iniciais. **Relato de caso:** Lactente, masculino, 1 ano, diagnóstico de PTI em agosto/2023 com plaquetopenia (1000/microL) isolada, petéquias, sem sangramentos e com história prévia de resfriado. Fez corticoide em serviço externo, não houve resposta, sendo posteriormente encaminhado para o ambulatório de hematologia em outubro/2023 com plaquetopenia de 1000/microL e epistaxes. Iniciou investigação de rotina com análise da lâmina de sangue periférico(sp), ultrassonografia(USG) de abdome e foi optado tratar com IVIG, com cessação do sangramento porém com baixo incremento plaquetário. Após 6 meses foi expandida a investigação com