

trombocitopenia, anemia hemolítica microangiopática, disfunção neurológica, febre e comprometimento renal. A forma adquirida é imunomediada e cursa com deficiência funcional da metaloprotease ADAMTS13, geralmente associada à presença de autoanticorpos inibitórios. A implementação da plasmáfereze revolucionou o prognóstico da PTT, mas pacientes com recaídas múltiplas ainda representam um desafio clínico e terapêutico. **Descrição do caso:** Paciente do sexo feminino, 39 anos, teve diagnóstico de PTT adquirida aos 33 anos, em julho de 2019. Apresentou sete episódios documentados até julho de 2025. O primeiro episódio foi caracterizado por anemia grave, trombocitopenia, sinais neurológicos (confusão mental e convulsão) e presença de esquizócitos em esfregaço de sangue periférico (ESP), tratado com plasmáfereze intensiva (21 sessões) e corticoterapia. Evoluiu com recaídas em dezembro de 2020, julho de 2021, outubro de 2022, fevereiro de 2024, setembro de 2024 e junho de 2025, com predomínio de anemia hemolítica microangiopática, trombocitopenia grave ($<20.000 \text{ mm}^3$) e manifestações neurológicas em dois episódios (cefaleia e convulsões). Durante a terceira recaída, a paciente recebeu rituximabe (375 mg/m^2 , 4 doses), com resposta inicial favorável. Ao longo do curso da doença, apresentou intercorrências infecciosas relevantes, o que reflete o aumento do risco associado tanto à própria PTT quanto às terapias imunossupressoras utilizadas, representando fator adicional de complexidade no manejo clínico. O episódio mais recente (junho/2025) iniciou-se com quadro constitucional e sangramentos mucocutâneos (equimoses, petéquias, hipermenorreia), além de cefaleia e astenia. Laboratorialmente, apresentava anemia normocítica (Hb $7,9 \text{ g/dL}$), trombocitopenia (18.000 mm^3), DHL elevado e $6,8\%$ de esquizócitos em ESP. O perfil de ADAMTS13 mostrou atividade $< 0,2\%$ (VR $60\%–160\%$) e inibidor com título Bethesda de $1,7 \text{ U.B.}$ (VR $< 0,4 \text{ U.B.}$), compatíveis com deficiência grave por autoanticorpos. Instituído tratamento com prednisona 1 mg/kg/dia e plasmáfereze diária (11 sessões), com resposta clínica e laboratorial completa. Teve alta hospitalar em 22/07/2025, com normalização das provas de hemólise e plaquetometria sustentada $>150.000 \text{ mm}^3$. Em seguimento ambulatorial, mantém-se clinicamente estável, apresentando apenas equimoses em membros inferiores, atribuídas à fragilidade capilar induzida por corticoterapia. Em uso de prednisona 80 mg/dia e ácido fólico. Segue em monitoramento clínico e laboratorial. **Conclusão:** Este é um caso raro de PTT adquirida recorrente, com sete episódios em seis anos, alguns com manifestações neurológicas e intercorrências infecciosas significativas. Apesar da terapêutica convencional com plasmáfereze e corticosteroides, associada a rituximabe em episódio prévio, a paciente mantém padrão de recidivas frequentes, evidenciando a complexidade do manejo de formas clínicas graves e refratárias. Ressalta-se a necessidade da vigilância clínica e laboratorial contínua e a importância da abordagem individualizada em pacientes com PTT de comportamento recorrente. A consideração de terapias biológicas mais recentes pode ser fundamental para reduzir a frequência das recaídas e melhorar o prognóstico a longo prazo.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104968>

ID – 1415

PÚRPURA TROMBOCITOPÊNICA TROMBÓTICA REFRATÁRIA À PLASMAFÉRESE: RELATO DE CASO

TA Alexandre, M Luz, RcdA Matos, RS de Brito, KCR da Mata, AG Sabarin, LKN Canuto, JFS do Carmo, GA Oliveira, SN Freitas

Hospital Universitário Professor Edgard Santos, Salvador, BA, Brasil

Introdução: A Púrpura Trombocitopênica Trombótica (PTT) adquirida é a principal microangiopatia trombótica em adultos. Trata-se de uma condição rara, potencialmente grave e com risco de vida, cuja mortalidade pode alcançar 90% quando não tratada. A PTT decorre de deficiência qualitativa ou quantitativa da ADAMTS13, resultando na formação e disseminação de trombos plaquetários que podem comprometer órgãos-alvo como coração, cérebro e pulmões. O reconhecimento precoce da doença, associado ao início imediato da terapia durante a fase aguda, reduz a mortalidade de cerca de 90% para menos de 15% . No que se refere ao tratamento, a introdução da plasmáfereze representou um marco terapêutico, por corrigir a deficiência de ADAMTS13 e, simultaneamente, remover autoanticorpos patogênicos e citocinas capazes de ativar o endotélio. Porém, em casos agudos graves, refratários ou com recorrência, pode ser necessário associar terapias imunossupressoras, como corticosteroides, ciclofosfamida e Rituximabe. **Descrição do caso:** Paciente feminina, 20 anos, negra, previamente hígida, apresentou equimoses em membros inferiores há cerca de 5 dias, sendo inicialmente atendida e liberada com encaminhamento para dermatologia. Poucos dias depois, evoluiu com novas lesões em outros segmentos, gengivorragia, melena, inapetência e fadiga intensa, sendo internada e transferida para hospital de referência. Exames iniciais mostraram plaquetopenia grave (4.000 mm^3), hemoglobina $7,3 \text{ g/dL}$ e sinais de hemólise (LDH 2.240 U/L , bilirrubina indireta $1,96 \text{ mg/dL}$, reticulocitose, esquizócitos e Coombs direto negativo). Pelo score PLASMIC, foi classificada como alto risco para Púrpura Trombocitopênica Trombótica (PTT), sendo iniciado tratamento imediato com pulsoterapia de metilprednisolona 1 g/dia por 3 dias, seguida de prednisona oral 1 mg/kg/dia , associada à plasmáfereze diária. Durante o início do manejo, apresentou crise convulsiva generalizada. Realizou um total de 10 sessões de plasmáfereze, mas apresentou resposta apenas parcial, sendo indicado Rituximabe, totalizando 4 doses semanais. No curso da internação, desenvolveu sepse por *Klebsiella aerogenes* multissensível, com boa evolução após retirada de cateter e antibioticoterapia guiada por cultura. O resultado do ADAMTS13 confirmou atividade $<0,2\%$, corroborando o diagnóstico de PTT adquirida. Após a segunda dose de Rituximabe, houve ascensão sustentada das plaquetas, permitindo suspensão da plasmáfereze. Recebeu alta em bom estado geral, com 422.000 plaquetas, mantendo acompanhamento ambulatorial e sem recidiva até o momento do relato. **Conclusão:** Este relato ilustra um quadro típico de PTT refratária à plasmáfereze, condição que ocorre em

aproximadamente 10% a 20% dos pacientes. Nesses casos, o uso precoce de Rituximabe, anticorpo monoclonal anti-CD20, tem sido eficaz, apresentando taxas de resposta clínica entre 74% e 95%. Estudos evidenciam que a combinação do Rituximabe com a terapia padrão aumenta significativamente a recuperação plaquetária, reduz o tempo de hospitalização e diminui a incidência de recidivas, com remissão observada em até 89% dos casos em menos de um mês. Portanto, embora a plasmaférese continue sendo o pilar do tratamento da PTT, é fundamental o reconhecimento precoce da refratariedade para a rápida introdução de terapias imunossupressoras adicionais. O Rituximabe constitui uma opção bem estabelecida para obtenção de resposta clínica sustentada, melhorando o prognóstico e a qualidade de vida dos pacientes.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104969>

ID – 2493

RECENT ADVANCES IN THE FIELD OF HEMOPHILIA DIAGNOSIS AND TREATMENT

APS Correia ^a, RS Leal ^b, ÉJS Freitas ^{c,d},
MMP Luciano ^{c,d}, AP Alcantara ^e, FLO Gomes ^e,
MOO Nascimento ^{c,d}, SRL Albuquerque ^c,
R Ramasawmy ^e, JPM Neto ^{c,d,e,f}

^a Universidade Federal da Bahia (UFBA), Salvador, BA, Brazil

^b Pós-Graduação em Farmácia (PPGFAR),
Universidade Federal da Bahia (UFBA), Salvador, BA, Brazil

^c Programa de Pós-Graduação em Imunologia
Básica e Aplicada (PPGIBA), Universidade Federal
do Amazonas (UFAM), Manaus, AM, Brazil

^d Programa de Pós-Graduação em Ciências
Farmacêuticas (PPGCF), Universidade Federal do
Amazonas (UFAM), Manaus, AM, Brazil

^e Programa de Pós-Graduação em Ciências
Aplicadas à Hematologia (PPGH), Universidade do
Estado do Amazonas (UEA), Manaus, AM, Brazil

^f Universidade Federal de Juiz de Fora (UFJF), Juiz de
Fora, MG, Brazil

Introduction: Hemophilia is a rare hereditary bleeding disorder caused by a deficiency of coagulation factors VIII (hemophilia A) or IX (hemophilia B). It is inherited in an X-linked recessive pattern. This condition has been shown to impair the coagulation cascade, which can lead predisposing patients to spontaneous and recurrent bleeding, particularly in joints and muscles. This was a significant impact on the patient's quality of life. **Objectives:** This study is a literature review with the objective of systematizing the extant knowledge regarding the pathophysiology, clinical manifestations, diagnostic methods, and therapeutic strategies of hemophilia. **Material and methods:** A narrative literature review was conducted through searches in the PubMed, SciELO, Web of Science, Scopus, and Google Scholar databases. Publications from the last five years (2020–2025) were prioritized,

and those in Portuguese, English and Spanish were included. The following descriptors were utilized: The following terms are relevant to the study: “Hemophilia”, “Factor VIII”, “Factor IX”, “Diagnosis”, “Treatment”, “Gene therapy”, and their equivalents in other languages. **Results:** The underlying pathophysiology of hemophilia is characterized by genetic mutations that impair the production of coagulation factors, particularly factor VIII or IX. Hemophilia A, which accounts for 85% of cases, is the most prevalent form of the condition. Common complications associated with hemophilia A include hemarthroses, severe arthropathies, and the development of inhibitors. Diagnostic methods employed to identify these complications include clinical and laboratory tests such as aPTT, OSCA, and CSA, as well as molecular techniques, including Next-Generation Sequencing (NGS). Treatment has evolved with the advent of plasma-derived and recombinant factor VIII/IX concentrates, as well as novel approaches such as emicizumab (a bispecific antibody), bypassing agents (aPCC and rFVIIa), and gene therapy, which enables sustained expression of factors through viral vectors (AAV). **Discussion:** Notwithstanding the strides made in the therapeutic realm, persistent, challenges remain, including the exorbitant cost of treatments, the emergence inhibitors and the paucity of diagnostic resources in regions characterized by inadequate infrastructure. The integration of novel technologies, including gene therapy and monoclonal antibodies, has demonstrated considerable potential. However, the effective implementation of these technologies is contingent upon the establishment of comprehensive public policies that ensure equitable access and utilization. **Conclusion:** Although not prevalent, hemophilia poses significant clinical challenges. Advancements in the domains of diagnosis and treatment, encompassing biotechnology and precision medicine, have led to an augmentation in the potential for efficacious management. However, the overcoming structural, economic, and social barriers remains necessary to ensure comprehensive and equitable patients care.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104970>

ID – 3172

RELATO DE CASO: HEMOFILIA ADQUIRIDA EM PACIENTE COM ARTRITE IDIOPÁTICA JUVENIL

BPd Santos, ICR Diogo, EB Riscarolli, LN Veloso,
JJV Júnior, JdF Tavares, KG Frigotto,
VRGdA Valviessse

Universidade Federal do Estado do Rio de Janeiro,
Rio de Janeiro, RJ, Brasil

Introdução: A hemofilia adquirida consiste em uma coagulopatia rara, caracterizada pela formação de autoanticorpos contra o fator VIII, levando a quadros hemorrágicos potencialmente graves, geralmente em pacientes sem histórico prévio de distúrbios hematológicos. Entre os fatores predisponentes, destacam-se doenças autoimunes, neoplasias, infecções e o período pós-parto. Dada à elevada morbimortalidade, o reconhecimento clínico e laboratorial precoce é fundamental,