

cópia funcional do gene HBB modificado por vetor lentiviral. Os pacientes apresentaram aumento sustentado de Hb funcional e independência transfusional em mais de 80% dos casos. **Discussão e conclusão:** Essas terapias representam marcos históricos na abordagem curativa da AF. Embora promissoras, ainda enfrentam desafios: Alto custo (cerca de 2 a 3 milhões de dólares por paciente); Infraestrutura laboratorial complexa; Questões éticas sobre modificação genética; Acesso desigual em países de baixa renda, onde a AF é mais prevalente. A terapia gênica oferece perspectivas reais de cura para a anemia falciforme. A implementação em larga escala depende de políticas públicas, redução de custos e avanços na logística laboratorial. A edição genética, especialmente com CRISPR, sinaliza uma nova era para a hematologia translacional.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.105459>

ID – 3338

TERAPIA MOLECULAR APLICADA AO TRATAMENTO DE ANEMIA APLÁSICA

MEP Vasconcelos^a, ATT Montalvão^a,
MES Tahim^a, LAL Frota^a, GA Barreto^b,
AKA Arcanjo^a, AMLR Portela^a

^a Centro Universitário Inta (UNINTA), Sobral, CE, Brasil

^b Centro Universitário Christus (UNICHRISTUS), Fortaleza, CE, Brasil

Introdução: A anemia aplástica é uma doença caracterizada pela falência da medula óssea, levando à redução da produção de células sanguíneas. Apesar das terapias convencionais, como a imunossupressão, ainda há desafios significativos, como toxicidade e resistência ao tratamento. Estudos recentes têm explorado mecanismos moleculares e alternativas terapêuticas, ampliando o entendimento sobre a doença e abrindo caminho para tratamentos mais eficazes e personalizados. **Objetivos:** Analisar mecanismos moleculares, efeitos terapêuticos e implicações clínicas no tratamento da anemia aplástica, revisando evidências recentes sobre estratégias de terapia molecular aplicadas à doença. **Material e métodos:** A busca bibliográfica foi realizada na base de dados da PubMed utilizando os descritores “aplastic anemia” e “molecular therapy”. Após a aplicação dos critérios de inclusão, artigos em inglês e português, dos últimos 5 anos e disponíveis na íntegra, e de exclusão, monografias e editoriais e o não encaixe na temática, foram selecionados 5 trabalhos os quais levaram a realização de uma análise qualitativa. **Discussão e conclusão:** Um estudo experimental usando modelo murino demonstrou que a dioscina exerce efeito protetor em células-tronco hematopoéticas, reduzindo dano oxidativo. Um trabalho de coorte multicêntrico evidenciou que a evolução clonal impacta o prognóstico e orienta escolhas terapêuticas. Um artigo explorando uma série de transplantes, reforçou o HSCT como tratamento curativo em casos graves, com boa taxa de sobrevida em longo prazo. Em um estudo pediátrico, a análise de

telômeros e TERRA revelou associação com instabilidade cromossômica e progressão da doença. Por fim, uma comparação retrospectiva entre pALG e rATG apontou diferenças na resposta terapêutica e no perfil de complicações, sugerindo que a escolha do agente pode ser individualizada conforme características do paciente. Dessa forma, após uma análise de cada artigo individualmente, a pesquisa com terapia molecular se mostrou extremamente promissora no tratamento de anemia aplástica. Os achados confirmam que a anemia aplástica envolve múltiplos processos moleculares, como apoptose e disfunção telomérica, que impactam diretamente o curso da doença. A dioscina surge como uma alternativa promissora para reduzir efeitos tóxicos da imunossupressão convencional. A identificação e monitoramento da evolução clonal são essenciais para ajuste precoce da terapia, minimizando complicações. O transplante de células-tronco permanece como a melhor opção curativa, mas requer estratégias para reduzir a mortalidade associada ao procedimento. A investigação de biomarcadores moleculares, como telômeros e TERRA, amplia o conhecimento sobre formas hereditárias e refratárias, contribuindo para o desenvolvimento de tratamentos personalizados. Além disso, a escolha entre diferentes globulinas antilinfocitárias pode ser feita conforme o perfil do paciente, visando otimizar eficácia e segurança. As pesquisas analisadas apontam para avanços importantes no entendimento dos mecanismos moleculares da anemia aplástica e indicam caminhos para tratamentos mais eficazes e personalizados. A integração entre abordagens pré-clínicas e clínicas é fundamental para o desenvolvimento de terapias que superem limitações atuais e melhorem o prognóstico dos pacientes.

Referências:

Ding L, et al. Clonal evolution and clinical outcomes in aplastic anemia and paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: A multicenter study. *Blood*, v. 141, n. 8, p. 896-909, 2023.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.105460>

ID – 2061

TERAPIAS ANTI-BCMA NO MIELOMA MÚLTIPLO RECIDIVADO/REFRATÁRIO: REVISÃO SISTEMÁTICA DE CILTACABTAGENE AUTOLEUCEL E TECLISTAMAB

EB Baesso^a, VdN Ladeira^a, JLM Machado^b,
PRC Utsch^b

^a Universidade Federal de Juiz de Fora (UFJF), Juiz de Fora, MG, Brasil

^b Centro Universitário Presidente Antônio Carlos, Juiz de Fora, MG, Brasil

Introdução: O Mieloma Múltiplo Recidivado/Refratário (MMRR) representa um desafio em pacientes expostos às três principais classes terapêuticas: imunomoduladores, inibidores de proteassoma e anticorpos anti-CD38. As terapias anti-BCMA, como ciltacabtagene autoleucl (cilta-cel) e Teclistamab (TEC), são abordagens inovadoras com