

mecanismos distintos – CAR-T e anticorpo biespecífico, respectivamente – que prometem melhorar os desfechos clínicos. **Objetivos:** Comparar as terapias anti-BCMA cilta-cel e TEC quanto à eficácia e segurança no tratamento do MMRR. **Material e métodos:** Foi realizada uma revisão sistemática conforme as diretrizes PRISMA 2020 nas bases PubMed e CENTRAL até agosto/2025. Utilizou-se os descritores ("Relapsed multiple myeloma" OR "refractory multiple myeloma" OR RRMM) AND ("ciltacabtagene autoleucel" OR "teclistamab"), resultando 250 artigos. Foram incluídos ensaios clínicos fases 2 e 3 com desfechos clínicos primários, como taxa de resposta global (ORR), sobrevida livre de progressão (PFS) ou eventos adversos. Foram excluídos estudos fase 1, modelagens farmacocinéticas, análises econômicas isoladas, desfechos laboratoriais e subjetivos sem dados clínicos primários, publicações duplicadas ou parciais de estudos já representados em versões completas e estudos com terapias combinadas envolvendo TEC ou cilta-cel. A revisão foi registrada na PROSPERO (CRD420251119223). **Discussão e conclusão:** Foram analisados seis estudos, totalizando 493 pacientes com MMRR: 276 incluídos nas análises por intenção de tratamento com cilta-cel e 217 tratados com TEC. A ORR com cilta-cel variou entre 84,6% e 97%, com $\geq$ Resposta Completa (CR) em até 73,1%. No CARTITUDE-4, cilta-cel reduziu em 74% o risco de progressão ou morte em comparação ao cuidado padrão (Hazard Ratio: 0,26), com PFS estimada em 75,9% aos 12 meses e mediana ainda não alcançada. Para TEC, a ORR variou de 63% a 76,9%, com $\geq$ CR em até 65,4% e duração mediana de PFS de 11,3 meses no estudo MajesTEC-1. Cilta-cel apresentou Síndrome de Liberação de Citocinas (SLC) em 76,1% dos pacientes (grau ≥ 3 em até 1,1%), neurotoxicidade em até 20,5% (grau ≥ 3 em 2,8%) e neutropenia grau ≥ 3 em 89,9%. TEC teve SLC em 72,1% (grau ≥ 3 em 0,6%), neurotoxicidade em até 14,5% (grau ≥ 3 em 0,6%) e neutropenia grau ≥ 3 em 64,2% dos pacientes. A descontinuação por eventos adversos foi rara. Nesse contexto, ambas as terapias promoveram respostas clínicas relevantes em pacientes com MMRR. Cilta-cel promoveu respostas mais profundas e sustentadas, sugerindo maior capacidade de erradicação tumoral, enquanto TEC apresentou vantagem como terapia *off-the-shelf*, com início mais rápido e aplicabilidade ampliada em ambientes com menor infraestrutura. Dado o rápido debulking tumoral alcançado com TEC, há a possibilidade de seu uso como terapia ponte antes da infusão de CAR-T, sobretudo em cenários de progressão da doença enquanto se aguarda a fabricação de células CAR-T autólogas. Em termos de segurança, cilta-cel associa-se a maior frequência de SLC e neurotoxicidade, eventos esperados em CAR-T. Ambos os agentes provocam citopenias relevantes, exigindo monitoramento hematológico intensivo. A escolha terapêutica deve equilibrar potência antitumoral, perfil de toxicidade e viabilidade logística. Portanto, as evidências reforçam o papel das terapias anti-BCMA no manejo do MMRR, oferecendo novas perspectivas para um grupo de pacientes com poucas opções. Cilta-cel e TEC ampliam o arsenal terapêutico com benefícios clínicos comprovados, marcando uma nova era no tratamento da doença.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.105461>

ID – 2055

TERAPIAS GÊNICAS NA HEMOFILIA B: UMA REVISÃO SISTEMÁTICA COMPARANDO FIDANACOGENE ELAPARVOVEC E ETRANACOGENE DEZAPARVOVEC

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: A hemofilia B é uma coagulopatia hereditária causada por mutações no gene F9, resultando em deficiência funcional do Fator IX (FIX). Embora as terapias profiláticas com FIX recombinante tenham melhorado o manejo da doença, a necessidade de infusões frequentes ainda representa um desafio clínico e social. Assim, terapias gênicas, como Fidanacogene Elaparvovec (FE) e Etranacogene Dezaparvovec (ED), emergem como alternativas promissoras com potencial curativo. **Objetivos:** Comparar as terapias gênicas FE e ED quanto à eficácia e segurança terapêutica no tratamento da hemofilia B grave ou moderadamente grave. **Material e métodos:** Foi realizada uma revisão sistemática conforme as diretrizes PRISMA 2020 nas bases PubMed e CENTRAL até agosto/2025. Utilizou-se os descritores ("Hemophilia B" OR "Haemophilia B" OR "factor IX deficiency") AND ("Fidanacogene elaparvovec" OR "SPK-9001" OR "Etranacogene dezaparvovec" OR "AMT-061"), resultando 66 artigos. Foram incluídos ensaios clínicos fase 2b ou 3 com seguimento ≥ 12 meses, envolvendo pacientes com hemofilia B grave ou moderadamente grave (FIX $\leq 2\%$) e ao menos um desfecho clínico primário: atividade plasmática de FIX, taxa anualizada de sangramentos (ABR), interrupção da profilaxia ou eventos adversos clínicos. Excluíram-se estudos fase 1/2a, análises laboratoriais ou de desfechos secundários subjetivos sem dados clínicos primários e publicações duplicadas ou parciais de estudos já representados em versões completas. A revisão foi registrada na PROSPERO (CRD420251118685). **Discussão e conclusão:** Foram analisados seis estudos, totalizando 116 participantes com hemofilia B grave ou moderadamente grave. Destes, 57 foram tratados com ED e 59 com FE. Todos os participantes receberam infusão única do vetor AAV codificante do FIX Padua (R338L). Aos 24 meses, os níveis médios de FIX foram de $26,6\% \pm 24,9$ com FE e de $36,7\% \pm 19,0$ com ED, compatíveis com conversão para hemofilia leve ou atividade normal. A ABR reduziu de forma consistente em ambos os grupos: no estudo HOPE-B, que analisou ED, a mediana caiu de 4,18 para 1,51 em 24 meses; no BENEGENE-2, referente a FE, caiu de 4,42 para 1,28 em 12 meses. Após a terapia gênica, foi possível a descontinuidade da profilaxia contínua em 89,8% dos participantes tratados com FE e 96,5% com ED. Eventos adversos foram leves ou moderados, com elevação transitória de transaminases manejada com corticosteróides. Não houve eventos tromboembólicos ou óbitos relacionados à terapia. Nesse contexto, ambas as terapias promovem conversão clínica

duradoura da hemofilia B grave para formas leves ou quase assintomáticas, com melhora substancial do controle hemostático. O maior nível médio de FIX com ED sugere expressão gênica mais eficiente, o que pode traduzir-se em maior proteção contra sangramentos à longo prazo. A expressiva redução da ABR e a elevada taxa de suspensão da profilaxia reforçam o impacto funcional dessas terapias na qualidade de vida e na adesão terapêutica. A ausência de eventos graves contribui para consolidar o perfil de segurança dessas abordagens. Ambas as terapias representam um avanço no manejo da hemofilia B, com tendência favorável a ED em termos de eficácia sustentada. Portanto, FE e ED demonstram eficácia duradoura e segurança no tratamento da hemofilia B, com melhora clínica relevante. Embora promissoras, ED apresenta vantagem discreta em expressão do FIX e potencial impacto funcional prolongado. Estudos comparativos diretos e com maior diversidade populacional são necessários para validação definitiva.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.105462>

ID – 2048

TRANSFUSÃO DE SANGUE EM CASOS DE ANEMIA FALCIFORME NO BRASIL: PERFIL EPIDEMIOLÓGICO

MC de Almeida Granjeiro ^a,
PP Cruz de Oliveira Silva ^a, J Belo Santos Silva ^a,
L Bevilaqua Sampaio Contreiras ^a,
G Costa Barreto ^a, MG de Souza Moura ^a,
I Serpa Andrade Borges ^a, AP Monteiro Paiva ^a,
M Zaidan Rodrigues ^a, G Caixeta Vieira ^b

^a Universidade Católica de Brasília (UCB), Brasília, DF, Brasil

^b Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo (HC-FMUSP), São Paulo, SP, Brasil

Introdução: A Anemia Falciforme (AF) é uma doença genética prevalente no Brasil, estimada em 80 mil pessoas acometidas. Pela hemólise acelerada das hemácias falcizadas, a Transfusão Sanguínea (TS) é um tratamento chave utilizado em crises agudas, prevenção de complicações e em cirurgias. **Objetivos:** Analisar o perfil epidemiológico das TS em pacientes com AF no Brasil, identificando características do tratamento e desafios que impactam a saúde pública. **Materiais e métodos:** Revisão de literatura nas bases Biblioteca Virtual em Saúde e Google Acadêmico, com os descritores “anemia falciforme”, “transfusão de sangue” e “Brasil”. Incluídos artigos de 2021–2025, em português ou inglês, sobre o perfil epidemiológico das TS no SUS; excluídos duplicados e textos apenas clínicos/terapêuticos sem foco epidemiológico. **Discussão e conclusão:** Entre 60 a 100 mil brasileiros vivem com AF. A incidência neonatal é de 3,75/10.000 nascidos vivos, com cerca de 1.087 diagnósticos/ano. O genótipo mais comum é o HbSS (70,7%), seguido por HbSC (23%) e variantes talassêmicas (6%). Em um hemocentro do Nordeste, 79,8% dos 263

pacientes haviam recebido TS; os tipos sanguíneos mais frequentes foram O+ (47,6%) e A+ (21,9%). Contudo, 20,1% não tinham registros transfusionais, indicando falhas na assistência ou documentação. Apenas 29,7% tinham acompanhamento adequado e 45,6% estavam há mais de dois anos sem comparecimento. Na região Amazônica, estudo com 44 pacientes poli-transfundidos revelou aloimunização em 20,5%, com anticorpos anti-RhD, anti-E, anti-K e outros; reações hemolíticas tardias ocorreram em 54,4% e autoanticorpos em 44,4% dos aloimunizados. De 2008 a 2022, houve 151.535 internações por AF no Brasil, 69,9% associadas a crises vaso-oclusivas. Média anual: 6.883 hospitalizações com crise e 2.221 sem. Faixa etária mais afetada: 15–35 anos, pico entre 15–20. O Sudeste concentrou o maior número de internações, mais de 53.800 com crise. Mortalidade média anual: 76 óbitos com crise e 21 sem. Os dados evidenciam a alta prevalência da AF e o predomínio do genótipo HbSS. TS são amplamente usadas, sobretudo em crises, mas devem considerar a clínica, não apenas hemoglobina, já que a anemia é crônica na AF. Apesar do uso elevado de TS, a ausência de registros transfusionais em 20,1% dos pacientes em um hemocentro do nordeste, reforça o acompanhamento irregular de grande parte desses centros e apontam fragilidades na assistência. A aloimunização, presente em 20,5% dos poli-transfundidos em estudo na região amazônica, é uma complicação relevante, gerando reações hemolíticas e autoanticorpos, com impacto na qualidade de vida. O grande número de internações por crises vaso-oclusivas e a mortalidade associada reforçam a gravidade do cenário. O estudo mostrou maior prevalência do genótipo HbSS e maior número de pacientes transfundidos O+/A+ no Nordeste; pico de internação por AF em jovens de 15–35 anos e predomínio de crises no Sudeste. A TS enfrenta falhas de registro, exigindo estratégias como lembretes automatizados e educação contínua para melhor adesão. A aloimunização foi a principal reação adversa, reforçando a necessidade de protocolos seguros.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.105463>

ID – 2168

TRANSPLANTE DE MEDULA ÓSSEA E DOENÇA FALCIFORME: DESAFIOS E PERSPECTIVAS EM TERRITÓRIO BRASILEIRO

GM Santos ^a, MEF dos Santos ^a, CCVF da Silva ^a,
IS Calegari ^a, GdS Ferreira ^a, MC Fonseca ^a,
MN Portes ^a, TCC Fonseca ^b

^a Universidade Estadual de Santa Cruz (UESC), Ilhéus, BA, Brasil

^b Grupo de Apoio à Criança com Câncer - Sul da Bahia, Itabuna, BA, Brasil

Introdução: A Doença Falciforme (DF) é uma condição genética hereditária, com produção de hemoglobinas mutantes e disfuncionais. É prevalente em território brasileiro, especialmente na Bahia, cuja população majoritariamente negra tem risco genético aumentado de desenvolver a doença.