

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.

Atualmente, existem técnicas para melhoria do quadro clínico dos pacientes, como transfusões sanguíneas e o uso de hidroxiureia, além do uso de Transplante de Medula Óssea (TMO) para a cura da hemoglobinopatia. Esta última ainda não se encontra amplamente difundida em território brasileiro e no Sistema Único de Saúde (SUS), devido a exigência da compatibilidade genética entre doador e receptor, baixa disponibilidade de doadores e desigualdades regionais. **Objetivos:** Este estudo visa evidenciar os entraves enfrentados para realização do TMO em pacientes com DF no contexto do sistema público de saúde, considerando os avanços clínicos recentes dessa terapêutica. **Material e métodos:** Foi realizada uma revisão de literatura nas bases PubMed, SciELO, LILACS e Google Scholar, utilizando os descritores "bone marrow transplant", "sickle cell disease" e "Brazil" entre os anos de 2010 a 2024. Foram selecionados 18 artigos que abordavam o TMO na doença falciforme no contexto brasileiro, com ênfase em aspectos clínicos, desafios de acesso e políticas públicas. Estudos que não contemplavam a realidade brasileira ou focavam exclusivamente em terapias experimentais foram excluídos. **Discussão e conclusão:** Dos 18 artigos encontrados, 10 foram selecionados após aplicação dos critérios de elegibilidade. Desses, 2 são estudos de coorte com pacientes submetidos ao TMO; 2 são estudos transversais, sobre barreiras de acesso; 3 revisões (sistemática, integrativa e narrativa); 2 estudos qualitativos e 1 publicação institucional. Os benefícios da terapia são reconhecidos: 1 estudo apontou sobrevida global de 92% e falência do enxerto em 15%, enquanto outro indicou idade média entre 10 e 16 anos, reforçando a importância da indicação precoce. As principais barreiras identificadas incluem o desconhecimento da população (68%), escassez de centros especializados e concentração dos serviços no Sudeste, além da baixa articulação entre os níveis de atenção. Estudos internacionais apontam que colaborações multicêntricas e protocolos padronizados contribuem para melhores resultados, embora ainda pouco difundidos no Brasil. Apesar do seu potencial curativo, o TMO para DF permanece subutilizado no Brasil, com menos de 1% dos pacientes elegíveis realizando o procedimento. O acesso é limitado por desigualdade regional na distribuição dos centros, escassez de doadores compatíveis e encaminhamento tardio. O impacto é maior nas populações negras, que apresentam maior diversidade genética no sistema HLA, dificultando a compatibilidade, e ainda são sub-representadas no REDOME. Barreiras socioeconômicas e regionais também acentuam a inequidade. A literatura aponta que para avançar, é necessário descentralizar os serviços, ampliar o registro de doadores e fortalecer políticas públicas que integrem a rede de atenção à DF no SUS. O TMO é uma abordagem curativa para a DF, mas ainda inacessível à maioria dos pacientes brasileiros. A superação dos entraves logísticos e estruturais demanda investimento em centros de referência, aumento da base de doadores, qualificação de profissionais e implementação de políticas públicas integradas que assegurem o acesso equitativo pelo SUS.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.105464>

ID – 2822

TROMBOCITEMIA ESSENCIAL DE LONGA EVOLUÇÃO ASSOCIADA A GAMOPATIA MONOCLONAL: RELATO DE CASO COM 15 ANOS DE ACOMPANHAMENTO

CM Lucini^a, MFGM Fernandes^a, LM Pinheiro^a, IM Almeida^a, CP Aguiar^a, BLM Pereira^a, JWO Romanov^b

^a Pontifícia Universidade Católica do Rio Grande do Sul (PUCRS), Porto Alegre, RS, Brasil

^b Hospital São Lucas da Pontifícia Universidade Católica do Rio Grande do Sul (HSL-PUCRS), Porto Alegre, RS, Brasil

Introdução: A Trombocitemia Essencial (TE) é neoplasia mieloproliferativa crônica marcada por mielofibrose ou leucemia aguda. A Gamopatia Monoclonal de Significado Indeterminado (GMSI) é discrasia plasmocitária assintomática, definida por pico monoclonal <3 g/dL, infiltração plasmocitária medular <10% e ausência de critérios CRAB, com risco anual de progressão para mieloma múltiplo de 1%–2%. A coexistência de TE e GMSI é rara e requer vigilância laboratorial e clínica rigorosa. Esse trabalho é uma revisão retrospectiva de prontuário eletrônico, com coleta de dados clínicos, laboratoriais e anatomopatológicos obtidos durante acompanhamento ambulatorial e internações. **Descrição do caso:** Homem, 71 anos, diagnóstico de TE em 2009, confirmado por Biópsia de Medula Óssea (BMO) com megacariocitose típica. Desde então, uso contínuo de hidroxiureia 500 mg/dia e AAS 100 mg/dia, mantendo plaquetas entre 240–370 mil/mm³. Comorbidades: hipertensão arterial sistêmica, osteopenia e hiperplasia prostática benigna. Em outubro/2019, proteinograma revelou pico monoclonal (gama 2,11 g/dL); imunofixação identificou componente IgG kappa. IgA e IgM normais. Radiografia de esqueleto axial: osteopenia difusa, sem lesões líticas. BMO (2021) mostrou celularidade preservada para idade, megacariocitose típica de TE e 1,5% de plasmócitos maduros, sem displasia ou fibrose significativa. Entre 2019–2023, pico monoclonal variou entre 1,25 e 1,51 g/dL, hemoglobina entre 10,5–11,5 g/dL, leucócitos estáveis e plaquetas controladas. Intercorrências: herpes zoster (2021), sinusite bacteriana com reação a amoxicilina (2022) e deficiência de vitamina B12 corrigida (2023). No início de 2024, referiu dor óssea noturna; ressonância de coluna evidenciou lesão óssea focal. Sem anemia grave, hipercalcemia ou disfunção renal. Iniciada dexametasona oral e acompanhamento ortopédico. Em novembro/2024, internado por confusão mental e hipercalcemia, tratado com medidas de suporte. Atualmente, segue em hidroxiureia dias alternados, com controle plaquetário (240–260 mil/mm³) e investigação ativa para descartar progressão de GMSI para mieloma múltiplo. A associação TE–GMSI é rara e levanta hipóteses sobre instabilidade genômica e alterações no microambiente medular predisponentes a múltiplas neoplasias hematológicas. A investigação de pico monoclonal em paciente com TE deve incluir imunofixação, quantificação de imunoglobulinas, BMO e avaliação radiológica, visando