

32,3% em 2022 para 40,6% em 2023, 52,7% em 2024 e alcançou 63,6% no primeiro quadrimestre de 2025. **Discussão e conclusão:** O aumento da incidência anual de 32,3% em 2022 para 63,6% em 2025 reflete o crescimento do número de candidatos encaminhados para transplante de medula óssea e possível ampliação dos critérios de inclusão. A ausência de associação com o sexo reforça que variáveis biológicas inerentes ao gênero têm menor peso nessa população, ao contrário da faixa etária, que permanece um preditor consistente do tipo de leucemia. Entre os receptores de TMO do HEMOPA, a idade destacou-se como fator relevante na incidência de LLA e LMA, enquanto o sexo não apresentou influência estatisticamente significativa. O aumento contínuo da incidência anual até abril de 2025 reforça a necessidade de monitoramento dessa população.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.105474>

ID - 2422

ANÁLISE DE NOVOS VETORES PARA EXPRESSÃO DO CAR-ANTI-BCMA PARA TRATAMENTO DO MIELOMA MÚLTIPLO

T Matoso, V Pereira, V Silva, TC Reis, SCF Couto, V Rocha

Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina da Universidade de São Paulo (HCFMUSP), São Paulo, SP, Brasil

Introdução: O mieloma múltiplo (MM) é uma neoplasia de plasmócitos que acomete cerca de 2,1 a cada 100.000 pessoas no mundo e conta cerca de 10% dos tumores hematológicos. Apesar do avanço em terapias para MM, os pacientes ainda apresentam recidivas, sendo assim, o MM se mantém incurável. A terapia celular com células CAR-T específicas para BCMA, um receptor expresso exclusivamente por células B maduras cuja expressão se mantém no MM, são capazes de melhorar a sobrevida dos pacientes e atrasar as recidivas do câncer. Dois produtos com células CAR-T já foram aprovados pela Food and Drug Administration (FDA) e um deles também foi aprovado pela ANVISA o Carvikty®. **Objetivos:** Apesar da boa resposta dos pacientes, os tratamentos disponíveis apresentam baixa duração, com a mediana das recidivas sendo 8º mês pós-infusão de células. Por conta disso, nosso objetivo foi avaliar a eficácia de novas construções de receptores CAR no combate às células de MM. **Material e métodos:** Nós iniciamos uma coorte de pacientes com mieloma múltiplo (MM) recém-diagnosticados (RD), que ainda não iniciaram nenhum tratamento para doença, e pacientes que estão em período de mobilização para tratamento com autotransplante. Separamos linfócitos T por seleção negativa em coluna magnética, e expandimos as células utilizando dois protocolos testamos dois protocolos de expansão, utilizando apenas baixas concentrações de IL-2 (30 U/mL), ou utilizando um coquetel de IL-2 (30 U/mL) e IL-7 (2,4 ng/mL). As células foram plaqueadas com as citocinas citadas acima, e com uma matriz com anti-CD3 e anti-CD28. No dia seguinte, as células foram transduzidas com a multiplicidade de infecção (MOI) de 5. A expansão

seguir até o dia 10-14, com trocas de meio regulares nesse período. Por fim, as células foram marcadas para análise de citometria de fluxo quanto a expressão do CAR, aos subtipos de linfócitos gerados (CD4, CD8, naive, efetora, memória central e efetora de memória). Adicionalmente, também realizamos um ensaio de citotoxicidade. Para isso, as células CAR-T geradas foram incubadas na proporção de 1:1 com células de linhagens de mieloma múltiplo que expressam luciferase por 24 horas. Após esse período, adicionamos luciferina às culturas e aferimos a emissão de luminescência. **Resultados:** Com relação a expansão de células, Obtivemos cerca de 10x de expansão em placas de cultura convencionais e até 35x no biorreator G-REX. Em relação a transdução celular, apesar da variação intra-experimental, observamos a expressão de CAR em todas as condições, sem diferença entre os diferentes protocolos de expansão. As células geradas com o protocolo de expansão foram principalmente células T de memória efetora e células T de memória central. Observamos ainda uma tendência de maior percentagem de células T de memória central utilizando o protocolo de expansão com coquetel de IL-2 e IL-7. Por fim, avaliamos o potencial de citotóxico das células CAR-T in vitro, por meio do cocultivo das células CAR-T com linhagens de MM, MM1.S e U266. as células apresentaram grande potencial citotóxico, levando a lise acima de 80% na maior parte das condições. **Discussão e conclusão:** Com esses dados, nós demonstramos potencial de expansão de células proveniente do sangue periférico de pacientes com MM em diferentes momentos de tratamento. Além disso, geramos principalmente células de memória com grande potencial de antitumoral in vitro.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.105475>

ID - 3130

ANÁLISE PROGNÓSTICA DE TRANSPLANTE DE CÉLULAS HEMATOPOIÉTICAS EM PACIENTES COM LEUCEMIA MIELOIDE AGUDA: COMPARAÇÃO ENTRE TRANSPLANTES HAPLOIDÊNTICOS E NÃO APARENTADOS DURANTE 10 ANOS EM CENTRO DE REFERÊNCIA DE TRANSPLANTE DE MEDULA ÓSSEA

IS Barbosa, G Augusto, YMB Volpato, ABC Souza, CF Mascarenhas, ERP Dellate, FR Barbieri, I Colturato

Hospital Amaral Carvalho, Jaú, SP, Brasil

Introdução: O transplante de células hematopoiéticas (TCTH) alogênico continua sendo considerado terapia potencialmente curativa para leucemia mieloide aguda (LMA) de risco intermediário e alto. Avanços recentes resultam na maior disponibilidade de doadores alternativos, possibilitando a um número maior de pacientes acesso ao TCTH alogênico. **Objetivos:** Avaliar perfil epidemiológico de pacientes submetidos a TCTH alogênico para LMA com doador haploidêntico e não aparentado (compatível e com mismatch), e pontuar divergências prognósticas entre esses grupos. **Material e**

métodos: Estudo retrospectivo, analítico e observacional realizado por meio de registro de dados de um único centro. Foram incluídos pacientes com mais de 18 anos submetidos a primeiro TCTH para LMA com doador haploidentico e não aparentado, apresentando compatibilidade HLA 10/10 ou 9/10, no período de 2015 a 2024, no Hospital Amaral Carvalho. **Resultados:** Em nosso serviço, no período determinado foram realizados 394 TCTH para LMA, dos quais, 142 pacientes foram incluídos no estudo, sendo: 76 haploidentico, enquanto 48 e 18, tiveram doadores NAP compatível e com mismatch, respectivamente. Nesta análise o grupo NAP compatível apresentou melhores taxas de sobrevida global (72,4%), quando comparado ao NAP com mismatch (49,5%) e haploidentico (59,6%), essa mesma tendência foi observada quando avaliada mortalidade não relacionada à recaída (MNR): Haploidentico 26,8%; NAP compatível 18,8%; NAP com mismatch 36,8%, ambas sem diferença estatística. A incidência de doença do enxerto contra o hospedeiro (DECH) crônica e aguda foi maior no grupo com compatibilidade HLA 9/10, sendo que, a análise de DECH aguda (grau III-IV) apresenta significância estatística entre os grupos ($p=0,0165$). Ademais, observamos também tendência estatística ao investigar a sobrevida livre de eventos, com as modalidades de TCTH NAP compatível, NAP com mismatch e haploidentico apresentando as respectivas taxas, 57%, 28,1% e 44,8% ($p=0,0814$). A ciclofosfamida pós transplante (PTCy) foi utilizada como profilaxia de DECH em um terço dos pacientes NAP com mismatch. Examinando apenas este grupo, aqueles que utilizaram PTCy, comparados aos que receberam metotrexato e inibidores de calcineurina, apresentaram melhores taxas de sobrevida livre de eventos (66,7%; 12,5%, $p=0,075$), além de menor incidência de DECH aguda (16,7% vs 50%; $p=0,162$) e DECH crônica (0% vs 41,7%; $p=0,0985$). **Discussão e conclusão:** Nosso estudo evidenciou melhores desfechos em TCTH realizados com doadores NAP compatível, fato que reforça a importância da compatibilidade HLA doador-receptor como fator determinante nos resultados após TCTH. Uma estratégia cada vez mais adotada para mitigar possíveis complicações secundárias a incompatibilidades HLA é o uso de PTCy. Verificamos que pacientes com doadores NAP com mismatch submetidos a essa plataforma de profilaxia de DECH apresentaram melhores respostas, inclusive apresentando uma tendência estatística em sobrevida livre de eventos e DECH crônica. Cabe frisar que uma limitação do nosso estudo se dá no tempo de acompanhamento, 12 meses no grupo NAP que realizou PTCy, assim como no número reduzido de pacientes que participaram do grupo NAP com mismatch. Na ausência de doadores familiares compatíveis, em TCTH de pacientes com LMA, o uso de PTCy ganha cada vez mais espaço como estratégia de profilaxia de DECH para doadores NAP, sobretudo os com mismatch, por apresentar bons resultados, assim como demonstra este estudo.

ID - 3171

ANÁLISE RETROSPECTIVA DO USO DE TOPOTECANO EM PACIENTES PEDIÁTRICOS COM LEUCEMIA LINFOBLÁSTICA AGUDA SUBMETIDOS A TRANSPLANTE DE CÉLULAS-TRONCO HEMATOPOÉTICAS

AA Zanette, ALM Rodrigues, MF Caleffi, MLLC Brito, AFR Taborta, TT Barros, JPGM Biasi

Hospital Erastinho, Curitiba, PR, Brasil

Introdução: O tratamento da leucemia linoide aguda (LLA) refratária é um desafio, principalmente quando tratamentos com drogas alvos e Car-T cel não são facilmente acessível. O topotecano, um inibidor da topoisomerase I, surgiu como uma opção terapêutica para neoplasias hematológicas refratárias ou recidivantes antes do TCTH. Por ser um tratamento reservado à falha do uso de protocolo padrão para recidiva, há poucos dados sobre seu uso na população brasileira. **Objetivos:** Foram avaliados retrospectivamente dados de 57 pacientes pediátricos com LLA submetidos a TCTH em um único centro transplantador no Brasil, entre janeiro de 2020 e março de 2025. A análise incluiu dados demográficos, parâmetros clínicos e laboratoriais, protocolos de tratamento, complicações do TCTH e desfecho. **Material e métodos:** Dos 57 pacientes com LLA submetidos a TCTH, 5 receberam previamente protocolo com Topotecano. Destes pacientes 4 de 5 pacientes (80%) alcançaram remissão pré-transplante. No entanto, apenas 1 paciente (20%) sobreviveu após o TCTH, As causas de óbito foram: complicações relacionadas ao TCTH ($n=2$) e recidiva da doença ($n=2$). Dois pacientes receberam Topotecano como terapia de resgate após um ciclo de Blinatumomabe, ambos evoluíram a óbito. Em relação aos pacientes que não foram submetido a esquema com topotecano ($n=52$), 16 receberam Blinatumomabe (6 receberam dois ciclos, 10 receberam um). Desta amostra, 35 pacientes (67,3%) persistem vivos sem recidiva. Dos 17 pacientes (32,7%) que morreram, 12 (70,6%) tiveram óbitos relacionados a complicações do TCTH. **Discussão e conclusão:** Embora com uma amostra pequena, os pacientes que receberam Topotecano mesmo conseguido entrar em remissão com o protocolo, não tiveram boa evolução. Provavelmente, por serem pacientes já de alto risco, refratários a outras linhas de resgate o que demonstra a agressividade da LLA em alguns pacientes pediátricos e a soma de toxicidade quimioterápica. Uma avaliação maior incluindo também os pacientes que não foram submetidos ao TCTH pode melhorar o contexto de resposta e se há impacto com o uso de topotecano, principalmente nos pacientes com falha de remissão e que não conseguem ter acesso à terapias de drogas alvos (como blinatumomabe e inotuzumabe) e ao Car-T cell.