

entanto, a expectativa de vida de cerca de 35% dos pacientes era de até 5 anos após o diagnóstico, sendo as causas mais frequentes os eventos trombóticos ou insuficiência renal. Com o desenvolvimento de anticorpos monoclonais terapêuticos, houve melhora no prognóstico da doença. O eculizumabe foi o primeiro inibidor do fator de complemento aprovado em 2007. Trata-se de um anticorpo monoclonal anti-C5 humanizado (mAb) que previne a clivagem de C5 em C5a e C5b. O medicamento é altamente eficaz na hemólise intravascular, mas a maioria dos pacientes em uso do eculizumabe continua apresentando hemólise extravascular leve a moderada, devido à deposição de C3d. Considerando os benefícios da estratégia de inibição do complemento, novos medicamentos (inibidores terminais e proximais) contra o C5 foram desenvolvidos com o objetivo de aprimorar ainda mais o tratamento. Pegcetacoplan e ravulizumabe foram dois outros inibidores do complemento aprovados pelas agências reguladoras internacionais que previnem também a hemólise extravascular por C3. Ao longo dos anos foi possível aprimorar os conhecimentos sobre os fundamentos moleculares e celulares da HPN, o que resultou em maior compreensão da biologia e da história natural da doença. Novos inibidores estão ampliando o arsenal terapêutico para melhorar as respostas imunológicas, controle da hemólise residual e de escape, e a qualidade de vida dos pacientes.

Referências:

Bravo-Perez C, Guarnera L, Williams ND, Visconde V. Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria: Biology and Treatment. *Medicina* 2023, 59, 1612. <https://doi.org/10.3390/medicina59091612>.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104032>

ID - 44

HEMOGLOBINÚRIA PAROXÍSTICA NOTURNA: UM RELATO DE CASO

PX Maciel

*Methodos Laboratório de Análises Clínicas e
Hematologia, Pouso Alegre, MG, Brasil*

Introdução: A hemoglobinúria paroxística noturna (HPN) é uma doença hematológica rara, de origem clonal, que se desenvolve a partir de células tronco-hematopoiéticas caracterizada pela mutação somática no gene da fosfatidilinositol glicano classe A (PIG-A). Essa mutação compromete a biossíntese do lipídeo glicosilfosfatidilinositol (GPI) responsável pela fixação de proteínas à membrana celular. Devido a essa mutação, há uma deficiência das proteínas inibidoras do complemento, CD55 e CD59, que tem como consequência o desencadeamento de quadros de hemólise intravascular e o aumento de risco de eventos trombóticos. Atualmente o tratamento é feito principalmente com os anticorpos monoclonais Eculizumabe ou Ravulizumabe, ambos inibidores do componente C5 do complemento, administrados por via

intravenosa com intervalos de 15 dias e 8 semanas, respectivamente. Estudos recentes mostraram que Iptacopan, um inibidor oral, tem se mostrado uma alternativa promissora, apresentando resultados positivos tanto em parâmetros hematólogicos quanto clínicos, representando uma alternativa viável de tratamento. **Descrição do caso:** Paciente do sexo feminino, 59 anos, foi encaminhada ao serviço de Hematologia do Methodos Laboratório, em Pouso Alegre– MG, em 2009 com histórico de transfusões sanguíneas de concentrado de hemácias. Foram solicitados exames com resultados de DHL de 2.663g/dL, reticulocitose de 280.800/mm³ e vitamina B12 de 72,8ng/L. Foi prescrito reposição de vitamina B12 e sal ferroso. Após três meses a paciente retornou ao serviço sem melhora significativa, queixando-se de fadiga intensa. Novos exames foram realizados mostrando hemoglobina 8,5g/dL, bilirrubina total de 1,57 mg/dL, com aumento de bilirrubina indireta de 1,5 mg/dL, teste de Coombs direto negativo, eletroforese de hemoglobina normal e presença de hematúria. Solicitado o teste de HPN por citometria de fluxo e confirmado diagnóstico. O tratamento com Eculizumabe foi iniciado apenas em 2015 mantendo a paciente estável por alguns anos. Em 2024, a paciente relatou atraso no tratamento por dois meses por dificuldades na liberação do medicamento pelo sistema público de saúde. Neste intervalo, apresentou descompensação do quadro clínico com anemia hemolítica severa e necessidade de internação. A paciente segue em uso contínuo de Eculizumabe, administrado por via intravenosa a cada 15 dias o que requer seu deslocamento até um centro de referência em outro município. **Conclusão:** O manejo das complicações associadas a HPN, como a necessidade de transfusões e o risco de eventos trombóticos, está entre os desafios dos pacientes. Além das manifestações clínicas, a burocracia para liberação do medicamento e o deslocamento até o centro de referência, acabam tornando o tratamento ainda mais difícil. O Iptacopan, um medicamento oral tem mostrado eficácia no controle da anemia persistente em pacientes com HPN. Recentemente, a ANVISA aprovou o uso no Brasil, sendo uma opção que pode tornar o tratamento mais acessível – principalmente se disponibilizado pelo SUS – contribuindo para a qualidade de vida dos pacientes.

Referências:

1. Silva J, et al. Relato de caso: hemoglobinúria paroxística noturna. *Revista Científica UNIFAGOC*, Volume I | 2020. Disponível em: <https://revista.unifagoc.edu.br/saude/article/view/662/608>
2. Latour RP, et al. Oral iptacopan monotherapy in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. *N Engl J Med*. 2024;390:994-1008. doi: 10.1056/NEJMoa2308695. Disponível em: <https://www.nejm.org/doi/pdf/10.1056/NEJMoa2308695>. Acesso em: 15/06/2024

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104033>