

hemoglobin levels and no major maternal or infant complications reported. Conclusion: This case highlights that a well-controlled iron burden before conception, strict hemoglobin maintenance during pregnancy, and multidisciplinary follow-up can result in a successful pregnancy and delivery in beta-thalassemia major. It also emphasizes the need for early postpartum reassessment of iron status and timely resumption of chelation therapy to prevent iron-related organ damage.

Referências:

Cappellini MD, Porter JB, Viprakasit V, Taher AT. Guidelines for the management of transfusion dependent thalassaemia (TDT). 4th ed. Nicosia (CY): Thalassaemia International Federation; 2021.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104057>

ID – 16

SYSTEMATIC REVIEW AND META-ANALYSIS OF CROVALIMAB (C5 INHIBITOR) IN THE TREATMENT OF PAROXYSMAL NOCTURNAL HEMOGLOBINURIA: EFFICACY AND SAFETY

MM Corcinio^a, KAM Martins^b, VC Soares^b, AD Américo^c

^a Universidade Tiradentes (UNIT), Aracaju, SE, Brazil

^b Centro Universitário de Belo Horizonte, Belo Horizonte, MG, Brazil

^c Hospital A. Beneficência Portuguesa, São Paulo, SP, Brazil

Introduction: Paroxysmal nocturnal hemoglobinuria (PNH) is a rare, acquired disease of hematopoietic stem cells, characterized by hemolytic anemia caused by the susceptibility of blood cells to complement-mediated lysis. C5 inhibitors work by blocking the C5 protein, preventing complement activation and red blood cell destruction. This study systematically reviews and analyzes the impact of adding C5 inhibitors to standard treatment in patients with PNH. **Objectives:** To evaluate the safety and efficacy of the C5-inhibitor Crovalimab in patients with Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria (PNH). **Material and methods:** PubMed, Scopus, Web of Science, and Cochrane Library were searched for studies on the use of C5-inhibitor crovalimab in patients with PNH (CRD420251026255). Outcomes included hemolysis control (HC) (defined as centrally assessed LDH $\leq 1.5 \times$ ULN), Stabilized Hemoglobin (SH), proportion of patients with Transfusion Avoidance (TA), and safety outcomes, including: Patients with > 1 adverse event (AE) - of any- cause, Serious-Adverse-Events (SAE), or treatment-related AEs; AE leading-to-dose-modification of the study treatment; AE leading-to-treatment- discontinuation; grade 3–5 AEs; and infections. All safety events were evaluated according to the National Cancer Institute Common Terminology Criteria for Adverse Events, version 5.0 (CTCAE v5.0). A comparative analysis between Crovalimab and Eculizumab was also performed regarding efficacy outcomes. Pooled relative risk (RR) and

hazard ratios (HR) with 95% confidence intervals were calculated using a random-effects model, with heterogeneity evaluated via the I^2 statistic. **Results:** Four studies involving 275 patients were included in this study. The pooled prevalence of patients with HC (defined as centrally assessed LDH $\leq 1.5 \times$ ULN) was 83% (95% CI: 0.75–0.91; $I^2 = 60\%$). SH was observed in 61% of patients (95% CI: 0.48–0.75; $I^2 = 76\%$), and TA was achieved in 65% (95% CI: 0.56–0.74; $I^2 = 55\%$). Regarding safety outcomes, the pooled prevalence of patients experiencing ≥ 1 any-grade adverse event (AE) of any cause was 90% (95% CI: 0.78–0.99; $I^2 = 82\%$), and serious adverse events (SAEs) occurred in 14% (95% CI: 0.05–0.23; $I^2 = 68\%$). Treatment-related AEs were observed in 47% of patients (95% CI: 0.18–0.75; $I^2 = 95\%$). AEs leading-to-dose-modification of the study treatment occurred in 2% (95% CI: 0.05–3.75; $I^2 = 0\%$), while treatment-discontinuation due to AEs occurred in only 0.4% (95% CI: 0.01–1.51; $I^2 = 0\%$). Grade 3–5 AEs were reported in 19% of patients (95% CI: 0.14–0.22; $I^2 = 0\%$), and infections were observed in 50% of cases (95% CI: 0.23–0.77; $I^2 = 96\%$). A comparison between Crovalimab and Eculizumab for TA (RR = 0.93; 95% CI: 0.79–1.09; $I^2 = 0.0\%$) and SH (RR = 0.89; 95% CI: 0.63–1.25; $I^2 = 62.6\%$) showed no significant differences between groups. The analysis of HC (RR = 1.01; 95% CI: 0.92–1.12; $I^2 = 0.0\%$) indicated therapeutic equivalence between the drugs. **Discussion and conclusion:** Crovalimab demonstrated promising efficacy in HC, SH levels, and reducing transfusion needs in patients with PNH. Despite a high rate of overall AEs, treatment-related and severe events were relatively infrequent, supporting a favorable safety profile. These findings reinforce its potential as a viable therapeutic option.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104058>

ID - 83

USO DO ÍNDICE DE MENTZER NO AUXÍLIO DO DIAGNÓSTICO DE TALASSEMIA BETA MENOR

PX Maciel

Metodos Laboratório de Análises Clínicas e Hematologia, Pouso Alegre, MG, Brasil

Introdução: As anemias microcíticas e hipocrômicas representam uma parte importante dos achados hematológicos na rotina laboratorial. As principais causas desse tipo de anemia são carência ou deficiência de ferro e as talassemias (1). O diagnóstico diferencial das talassemias se dá pela eletroforese de hemoglobina, em que o nível de Hemoglobina A2 (HbA2) é maior que 3.5% (2). A Talassemia é um tipo de anemia hereditária causada por um desequilíbrio na síntese das cadeias de globinas resultando em uma eritropoiese ineficaz e é considerada a desordem genética mais comum no mundo. Dentre os índices que são usados para auxiliar o diagnóstico, destaca-se o índice de Mentzer que é calculado pela razão entre o volume corpuscular médio e a contagem de hemácias (VCM/RBC). Pacientes que apresentam razão < 13 são sugestivos do diagnóstico de talassemia beta menor enquanto pacientes com razão > 13 são prováveis deficientes de ferro. A

finalidade do uso deste índice é a triagem de pacientes com anemias microcíticas e hipocrômicas, para que possam ser investigadas de forma específica quanto a suspeita de talassemia beta menor. **Objetivos:** Investigar a hipótese do uso do índice de Mentzer na avaliação diagnóstica da Talassemia beta menor, por meio da análise do hemograma de pacientes beta talassêmicos confirmados na eletroforese de hemoglobina. **Material e métodos:** Foram analisadas 140 amostras de sangue total em EDTA, com uso do equipamento Cell Dyn Ruby–ABBOTT para realização do hemograma e posterior cálculo do Índice de Mentzer. As eletroforeses de hemoglobina foram realizadas pelo método de HPLC em laboratório de apoio. Como critério de seleção, foram utilizadas amostras de pacientes que dispunham de pedido médico para ambos os testes. Destaca-se que apenas a base de dados do laboratório foi utilizada. **Resultados:** Das 140 amostras analisadas, 69% (97) apresentaram resultados para Hemograma e Eletroforese de Hemoglobina normais enquanto 31% (43) tiveram alguma alteração nos índices hematimétricos e na eletroforese. Destes, 58% (25) apresentaram elevação de HbA2, sendo que 39,5% (17) expressaram a alteração isolada e 18,5% (8) combinaram a elevação de HbA2 com outras hemoglobinas variantes (HbS e/ou HbC). Dos que apresentaram alteração apenas de HbA2, 76% (13) tiveram o índice de Mentzer < 13. **Discussão e conclusão:** A partir da análise dos dados dessa pesquisa, é possível estimar que 3 entre 4 pacientes (75%) com aumento de HbA2 confirmado e Índice de Mentzer < 13 são pacientes beta talassêmicos. O uso do Índice de Mentzer é simples, rápido e sem custos adicionais ao paciente e pode ser utilizado como método de triagem auxiliando no diagnóstico dos casos de anemias hipocrômicas e microcíticas. Esse diagnóstico diferencial pode evitar que o paciente faça uso de suplementação de ferro sem necessidade, além de conduzir ao tratamento adequado os pacientes beta talassêmicos. Portanto, as anemias podem ser melhor investigadas e diagnosticadas se devidamente interpretadas no hemograma.

Referências:

1. Urrechaga E. Red blood cell microcytosis and hypochromia in the differential diagnosis of iron deficiency and β -thalassaemia trait. *Int Jnl Lab Hem.* 2009;31:528-534.
2. Reis F, Andrade R, Rodrigues C, Barbosa F. Discriminant indexes to simplify the differential diagnosis between iron deficiency anemia and thalassemia minor in individuals with microcytic anemia. *Rev Assoc Med Bras.* 2020;66(9):1277-82.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104059>

ID - 1352

UTILIZAÇÃO DA HIDROXIUREIA PARA PREVENÇÃO DE ACIDENTE VASCULAR CEREBRAL EM PACIENTES PEDIÁTRICOS FALCÊMICOS

G Dias Gomes, H Piovesan, IM de Carli,
ME Palhuk, M Torine Gimenes,
R Renuzza Villas-Bôas

Universidade Positivo, Curitiba, PR, Brasil

Introdução: A anemia falciforme é uma hemoglobinopatia causada por mutação na β -globina, resultando na formação da hemoglobina S (HbS). Sua polimerização leva à falcização eritrocitária, provocando isquemia tecidual e complicações vasculares, como o acidente vascular cerebral (AVC), uma das principais causas de morbimortalidade em pacientes pediátricos falcêmicos. A transfusão crônica é a estratégia padrão para prevenção de AVC, mas está associada a riscos como sobrecarga de ferro, aloimunização e infecções. A hidroxiureia surge como alternativa terapêutica, atuando por meio do aumento da hemoglobina fetal (HbF), inibição da polimerização da HbS e redução da inflamação vascular. **Objetivos:** Este estudo revisou a eficácia da hidroxiureia na prevenção de AVC em crianças com anemia falciforme. **Material e métodos:** A partir de pesquisas nas bases MEDLINE/PubMed e SciELO, entre os anos de 2018 e 2025, e nos ensaios clínicos SWITCH e TWITCH, analisou-se a eficácia da hidroxiureia na prevenção de eventos cerebrovasculares em pacientes infantis. O estudo TWITCH demonstrou não inferioridade da hidroxiureia em relação à transfusão crônica na prevenção primária de AVC em crianças com Doppler transcraniano alterado, reduzindo complicações transfusionais. Em contrapartida, o estudo SWITCH, que avaliou prevenção secundária em pacientes com histórico prévio de AVC, não evidenciou equivalência entre as abordagens, mantendo a transfusão como padrão-ouro nesses casos. Os preceitos de exclusão foram, estudos com evidência animal, provenientes de bases não especificadas e publicados fora do período estabelecido de busca. **Resultados:** Identificaram-se 62 artigos nas bases MEDLINE/PubMed e SciELO. Após a triagem por título e resumo, 45 foram excluídos. Dos 17 avaliados para elegibilidade, 11 foram descartados por não tratarem de hidroxiureia ou AVC, abordarem população adulta, grupo controle ou interações, restando 6 incluídos. **Discussão e conclusão:** Conclui-se que a hidroxiureia é uma alternativa segura e eficaz para prevenção primária de AVC em crianças falcêmicas, especialmente em contextos com limitações ao acesso transfusional ou risco elevado de complicações.

Referências:

- Hafiz TA, et al. Blood transfusion vs. hydroxyurea for stroke prevention in children with sickle cell anemia: a systematic review and meta-analysis. *Cureus.* [S.l.], 22 nov. 2022.
- Aderinto N, Olatunji G, Kokori E, Abdulbasit M. Hydroxyurea for secondary stroke prevention in children with sickle cell anaemia: a systematic review of clinical evidence and outcomes. *Annals of Medicine and Surgery (Lond.).* [S.l.], v. 86, n. 2, p. 1042–1047, 3 jan. 2024.
- Parikh T, et al. Pediatric sickle cell disease and stroke: a literature review. *Cureus.* [S.l.], v. 15, n. 1, p. e34003, 20 jan. 2023.
- Peine BR, et al. Prophylactic hydroxyurea treatment is associated with improved cerebral hemodynamics as a surrogate marker of stroke risk in sickle cell disease: a retrospective comparative analysis. *Journal of Clinical Medicine.* [S.l.], v. 11, n. 12, p. 3491, 17 jun. 2022.
- Fields ME, et al. Hydroxyurea reduces cerebral metabolic stress in patients with sickle cell anemia. *Blood.* [S.l.], v. 133, n. 22, p. 2436–2444, 30 maio 2019.