

azatioprina associada ao desmame gradual do corticoide, aliada ao suporte multidisciplinar, foi decisiva para estabilização clínica e recuperação hematológica, evitando terapias mais invasivas.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104193>

ID - 379

SÍNDROME HEMOLÍTICO-URÊMICA ATÍPICA: DIAGNÓSTICO, MANEJO E DESCONTINUAÇÃO DA TERAPIA

N De Oliveira Maciel, I Ferreira Alves,
AC Pierote Rodrigues Vasconcelos,
A Bernardes Maciel, JV Macedo da Cunha,
M Prisco de Souza, V Cavalcante Monici,
LL Da Rocha Matos, GL de Souza Cordeiro,
LK Alves da Rocha

Universidade de Brasília (UnB), Brasília, DF, Brasil

Introdução: A síndrome hemolítico-urêmica atípica (SHUa) é uma microangiopatia trombótica (MAT) rara, com anemia hemolítica microangiopática, trombocitopenia e lesão renal aguda (LRA). Frequentemente decorre de mutações genéticas que ativam de forma irregular a via alternativa do complemento, gerando lesão endotelial e microtrombos. Devido à gravidade, a SHUa exige terapias específicas, como inibidores do complemento. **Objetivos:** Este trabalho revisa critérios diagnósticos, estratégias terapêuticas e dados sobre descontinuação segura da terapia. **Material e métodos:** Foi realizada uma revisão da literatura sobre o tema na base de dados PubMed a partir de janeiro de 2020. Foram utilizados os descritores “Discontinuation of Treatment in aHUS”. A busca resultou em 40 artigos. Foram excluídos artigos de opinião, relatos ou séries de casos. Foram incluídos 12 artigos que abordaram o diagnóstico, eficácia, e segurança na suspensão do tratamento. **Discussão e conclusão:** O diagnóstico da SHUa deve ser suscitado na presença de LRA com anemia hemolítica microangiopática e trombocitopenia, na ausência de causas secundárias. A avaliação diagnóstica inclui verificar presença de esquizócitos no sangue periférico, além da detecção laboratorial de lactato desidrogenase (DHL) elevada, haptoglobina reduzida, creatinina aumentada e plaquetopenia. É aconselhável a exclusão de SHU típica, por meio da PCR (Reação em Cadeia da Polimerase) para toxina Shiga, e de púrpura trombocitopênica trombótica, por meio da dosagem de ADAMTS13, quando disponíveis, além de realizar genotipagem para variantes do complemento e pesquisa de autoanticorpos antifator H, caso seja viável. Quanto ao tratamento, os dados evidenciam benefícios significativos do eculizumabe. Em uma coorte, a sobrevida livre de doença renal crônica (DRC) em 5 anos foi de 85,5% nos tratados versus 39,5% em não tratados (Razão de Risco (RR)= 4,95; IC95%: 2,75–8,90; p= 0,000; NNT (número necessário para tratar)= 2,17). A estratificação genética indicou que pacientes com mutações em CFH (fator H do complemento) alcançaram sobrevida livre de DRC de 78% com o fármaco (RR= 4,58; p= 0,000). Mutações em CFI (fator de aceleração da conversão do complemento I) e

em C3 também apresentaram benefício, respectivamente p= 0,004 e p= 0,007. Atualmente, existe a discussão sobre a possibilidade de suspensão terapêutica. Por exemplo, em um estudo apresentou taxas de recidiva de 10,5 e de 9,3 casos por 100 pessoas-ano, respectivamente entre pacientes com mutações patogênicas e variantes de significado incerto. Entre os pacientes com recidiva, 83% mantiveram função renal preservada após reintrodução precoce da medicação. Os achados reforçam a eficácia do eculizumabe na prevenção da progressão para DRC em SHUa. No entanto, a resposta clínica variou conforme o genótipo, destacando que a pesquisa genotípica pode ser um componente importante para definir o prognóstico. Tanto é que as evidências científicas atuais indicam que pacientes sem mutações podem ser os candidatos ideais à descontinuação segura do eculizumabe, claro que sob rigoroso monitoramento. A SHUa, apesar de grave, apresenta bom prognóstico diante de um diagnóstico precoce e uso imediato de inibidores do complemento. A inclusão da genotipagem permite decisões mais seguras sobre início, manutenção e até suspensão da terapia. No entanto, o manejo individualizado tem se apresentado cada vez mais necessário para mudar desfechos clínicos e, desta maneira, garantir segurança em longo prazo.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104194>

ID – 2435

STROKE IN PATIENTS WITH SICKLE CELL DISEASE: EPIDEMIOLOGICAL MEASURES FROM A MULTICENTER REAL-WORLD DATA STUDY IN BRAZIL

ICG Moura ^a, CL Dinardo ^b, CS Alencar ^c,
D Teles ^d, C Máximo ^e, AB Proietti ^f, S Kelly ^g,
B Custer ^g, E Sabino ^h

^a Universidade Federal de Minas Gerais (UFMG),
Belo Horizonte, MG, Brazil

^b Fundação Pró-Sangue, São Paulo, SP, Brazil

^c Faculdade de Medicina, Universidade de São Paulo (FMUSP), São Paulo, SP, Brazil

^d Universidade Federal de Pernambuco (UFPE),
Recife, PE, Brasil

^e Fundação HEMORIO, Rio de Janeiro, RJ, Brasil

^f Fundação HEMOMINAS, Belo Horizonte, MG,
Brasil

^g Vitalant Research Institute, United States

^h Universidade de São Paulo (USP), São Paulo, SP,
Brazil

Introduction: Sickle cell disease (SCD) is an inherited hemoglobinopathy affecting millions of people worldwide, particularly in populations of African, Latin American, and Mediterranean descent. Among its most severe complications is stroke, which can be ischemic or hemorrhagic, and is one of the leading causes of morbidity and mortality in individuals with SCD, particularly children and adolescents. The pathophysiology of stroke in SCD involves complex mechanisms such as vaso-occlusion, endothelial dysfunction, chronic