

evento. Curvas de Kaplan-Meier foram geradas no RStudio (pacotes Survival e Survminer) e comparadas pelo teste de log-rank. As análises foram estratificadas por sexo, faixa etária e realização de TMO. **Resultados:** A coorte incluiu 4.458 pacientes com LMA, sendo 2.206 homens e 2.252 mulheres, com idade mediana de 46 anos (18-65 anos). A sobrevida global mediana foi de 11,56 meses (IC 95%: 10,32–12,71). Pacientes de 18-44 anos ($n = 2.081$) apresentaram maior sobrevida mediana: 23,62 meses (IC 95%: 19,35–28,62). Dentre eles, os 369 transplantados não atingiram mediana, com 50,06% de sobrevida em 15 anos; os não transplantados tiveram sobrevida mediana de 14,62 meses (IC 95%: 11,93–19,32). Nos 2.377 pacientes de 45–65 anos, a mediana foi de 7,06 meses (IC 95%: 5,88– 8,18); os 256 transplantados atingiram 52,11 meses (IC 95%: 31,38–151,03), e os demais, 4,67 meses (IC 95%: 3,94–5,29). No total, os 625 pacientes que realizaram TMO alcançaram 87,23 meses de sobrevida mediana, contra 7,74 meses (IC 95%: 6,51–8,71) nos 3.833 não transplantados. **Discussão e conclusão:** No presente estudo, o TMO aumentou a sobrevida global de pacientes com LMA. Pacientes de 18–44 anos apresentaram sobrevida superior aos de 45– 65 anos. Não houve diferença significativa entre os sexos. Nossos dados se assemelham aos apresentados por Tabak, 2000. O TMO é medida essencial para consolidar pacientes com LMA que atingiram respostas à quimioterapia inicial e são elegíveis ao procedimento, elevando em muito a sobrevida e as chances de cura definitiva.

Referências:

1. Hoffbrand AV, Moss H. Fundamentos em hematologia de Hoffbrand. Porto Alegre: Artmed; 2018.
2. Tabak DG. Transplante de medula óssea em leucemias agudas. Medicina (Ribeirão Preto). 2000;33(4):390-404.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104664>

ID - 881

TERAPIA CAR-T CELL EM PACIENTES PEDIÁTRICOS COM LLA: UMA REVISÃO DA EFICÁCIA E SEGURANÇA A LONGO PRAZO

M Moura, ES de Medeiros, VHM Costa, NC de Araújo, LSDM Lopes

Pontifícia Universidade Católica do Paraná (PUC-PR), Londrina, PR, Brasil

Introdução: A Leucemia Linfoblástica Aguda (LLA) é a neoplasia mais comum na infância. Em casos refratários ou recidivantes, o prognóstico é desfavorável frente à terapia quimioterápica de resgate. A terapia com células T receptoras de antígeno quimérico (CAR-T Cell) mostra-se promissora e revolucionária no tratamento pela sua eficácia inicial, mas ainda são necessárias análises robustas sobre segurança e durabilidade de resposta a longo prazo. **Objetivos:** Revisar as evidências atuais sobre a eficácia e a segurança da terapia com células CAR-T a longo prazo em paciente pediátricos com LLA. **Material e métodos:** Trata-se de uma revisão de literatura baseada em artigos da base de dados do PubMed e PMC. Foram usados os descritores: “Acute Lymphoblastic

Leukemia”, “Leukemia, Lymphocytic, Acute, Childhood”, “CAR-T Cells”, “Chimeric Antigen Receptor T-Cell Therapy”, “Safety”, “Treatment Outcome”, “Complications” e “Pediatrics”. Foram selecionado artigos publicados até 2025 que abordassem eficácia e segurança da terapia CAR-T em paciente pediátricos com LLA. Critérios de inclusão priorizaram estudos com dados sobre desfechos a longo prazo, eventos adversos e resposta clínica. **Discussão e Conclusão:** Os estudos analisados destacam o impacto da terapia CAR-T anti-CD19 na LLA-B refratária ou recidivante, com altas taxas de remissão completa e respostas sustentadas mesmo em pacientes com múltiplas recaídas. As terapias com células CAR-T, em destaque o tisagenlecleucel, apresentam elevadas taxas de remissão completa em pacientes pediátricos e jovens adultos com LLA-B refratária ou recidivante. Foi observada a persistência das células CAR-T por até 20 meses após sua infusão, o que caracteriza a manutenção da remissão em longo prazo. As taxas de sobrevida livre de evento e sobrevida global após 6 meses foram superiores a 65% e 75%, respectivamente, com seguimento que indica respostas consistentes em muitos casos. Apesar dos resultados promissores, discutem-se os desafios relacionados à perda do CD19 e a necessidade do desenvolvimento de terapias direcionadas a novos alvos, em especial o CD22. A recidiva da doença pode ocorrer, e a maioria dos casos estão relacionados com a perda do antígeno CD19, o que requer terapias-alvo adicionais. As toxicidades agudas, como a síndrome de liberação de citocinas e neurotoxicidades, são reversíveis e manejáveis, enquanto a aplasia de células B é persistente e requer reposição imunoglobulínica contínua. Os autores também destacam as limitações relacionadas ao alto custo, à necessidade de centros especializados e à importância de um segmento prolongado para avaliar a segurança da terapia a longo prazo. A terapia com células CAR-T anti-CD19 representa um avanço relevante no tratamento da LLA-B, com altas taxas de remissão. Contudo, o manejo adequado das toxicidades crônicas e o monitoramento cuidadoso desses pacientes são essenciais para otimizar os resultados terapêuticos visando a manutenção da remissão e impedindo novas recidivas. No entanto, permanecem desafios como o escape antigênico, a aplasia de células B e o acesso limitado ao tratamento. Estudos de seguimento e novas abordagens são essenciais para ampliar sua eficácia e segurança.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104665>

ID - 293

TERAPIA COM CÉLULAS CAR T NO TRATAMENTO DE DOENÇAS ONCO-HEMATOLÓGICAS: DESAFIOS E PERSPECTIVAS FUTURAS

BV Vilhena Gomes, EL Garcêz Reis, RL Salomão, V Viana Furtado, B Pedroso Tamegão Lopes Cavaleiro de Macedo

Centro Universitário Metropolitano da Amazônia (UNIFAMAZ), Belém, PA, Brasil

Introdução: As doenças onco-hematológicas são malignidades que afetam o sangue, caracterizadas por uma proliferação excessiva destas células, diminuindo a produção de células saudáveis. Entre as principais, destacam-se as leucemias, os linfomas e o mieloma múltiplo. Embora os tratamentos tradicionais, como a quimioterapia, a cirurgia e a radioterapia apresentem eficácia, muitos pacientes possuem resistência a múltiplos quimioterápicos e/ou apresentam recaídas, o que motiva a busca por tratamentos mais eficazes e direcionados. A terapia com células CAR T (CAR-T cells, do inglês: Chimeric Antigen Receptor T cells) surge nesse contexto como uma nova modalidade terapêutica alternativa. Apesar da eficácia já descrita, existe a possibilidade de ocorrência de eventos adversos associados à terapia. **Objetivos:** Realizar uma revisão narrativa para explorar os fundamentos; as evidências clínicas; os desafios atuais e as perspectivas futuras desta terapêutica. **Material e métodos:** Realizou-se uma revisão narrativa da literatura, utilizando os descritores: “CAR-T therapy”, “Cancer”, “Onco-hematological” and “Neoplasms” para a busca de artigos nas plataformas: PubMed, SciELO e Science Direct, incluindo estudos do período de 2021 a 2024. Foram descartados textos que abordassem o uso de células CAR T como terapêutica de tumores sólidos. **Discussão e conclusão:** A terapia com células CAR T utiliza linfócitos T do próprio paciente, modificados para expressar receptores quiméricos capazes de reconhecer antígenos tumorais. Após coleta por leucaférese, estas células são expandidas e reprogramadas ex-vivo, reinfundidas ao organismo para eliminar células malignas por meio da ativação imunológica. A terapia tem se mostrado eficaz em neoplasias hematológicas, com taxas de remissão completa de aproximadamente 90% na LLA; mais de 50% na LLC; e entre 40% e 58% nos casos de LNH. No entanto, alguns eventos adversos são comuns, como: a síndrome de liberação de citocinas (CRS), que pode variar de sintomas leves à falência de órgãos, exigindo tratamento imediato com tocilizumabe, já aprovado pela Food and Drug Administration (FDA); e a neurotoxicidade (ICANS), que pode causar distúrbios neurológicos (encefalopatia, delírios, e em casos graves, edema cerebral). A bioengenharia tem contribuído para tornar as células CAR T mais eficientes, facilitando a infiltração tumoral; reduzindo a exaustão das células T; e permitindo o desenvolvimento de CAR T com dupla especificidade antigênica simultânea. Adicionalmente, tem possibilitado a inserção de genes inibitórios, visando diminuir a toxicidade; melhorar a precisão do alvo; e reduzir a ocorrência da síndrome de liberação de citocinas. Embora as terapias tradicionais continuem sendo fundamentais no tratamento das doenças onco-hematológicas, a terapia com células CAR T representa um importante avanço, especialmente, no tratamento de leucemias e de linfomas, oferecendo respostas clínicas prolongadas para muitos pacientes. Contudo, essa abordagem ainda enfrenta desafios relevantes, o que inclui a ocorrência de eventos adversos. Há uma demanda contínua por pesquisas, investimentos e ensaios clínicos que visem o aprimoramento desta tecnologia, com foco na otimização da eficácia terapêutica e na redução de eventos adversos, a fim de garantir maior segurança e qualidade de vida aos pacientes.

ID - 2899

TERAPIA COM DOSE DE VENETOCLAX AJUSTADA A AZÓLICOS NA LEUCEMIA MIELOIDE AGUDA: DADOS DE VIDA REAL EM CENTRO PÚBLICO BRASILEIRO

RCR Queiroz, PS Perez, MLBF Dourado, AD Américo, VC Molla, GG Cunha, CAR Silva, FR Kerbauy, AF Sandes

Universidade Federal de São Paulo (UNIFESP), São Paulo, SP, Brasil

Introdução: O Venetoclax, associado a agentes hipometilantes ou citarabina em baixa dose, é considerado tratamento padrão para pacientes com Leucemia Mieloide Aguda (LMA) inelegíveis à quimioterapia intensiva. Em centros com recursos limitados, o elevado custo dessa terapia representa um desafio, levando à adoção de estratégias de otimização, como o uso do Venetoclax com dose ajustada associada a antifúngicos azólicos. Contudo, evidências sobre a efetividade e segurança dessa abordagem permanecem limitadas. **Objetivos:** Avaliar a eficácia e segurança do uso de Venetoclax com dose ajustada a antifúngicos azólicos em pacientes com LMA inelegíveis à quimioterapia intensiva, em comparação a esquemas convencionais utilizados em um serviço público de saúde. **Material e métodos:** Estudo retrospectivo realizado em hospital público de São Paulo, incluindo 230 pacientes com LMA recém-diagnosticada entre 2014 e 2025, identificados por registros eletrônicos. Cento e dezenove foram classificados como inelegíveis para quimioterapia intensiva segundo critérios clínicos. Até 2019, os pacientes receberam citarabina 20 mg/m²/dia SC por 10 dias (LoDAC) ou suporte otimizado. A partir de 2020, introduziu-se Venetoclax ajustado a azólicos (voriconazol ou fluconazol), associado a azacitidina 75 mg/m²/dia SC por 7 dias (AZA-VEN) ou LoDAC (LoDAC-VEN). O desfecho primário foi a mediana de sobrevida global (SG) desde o início do tratamento. Desfechos secundários incluíram taxa de resposta global (CR, CRh ou CRi) após 1–2 ciclos, doença residual mensurável (DRM) por citometria de fluxo nos respondedores, toxicidades, número de ciclos, duração do Venetoclax e motivos de descontinuação. **Resultados:** Entre os 119 pacientes inelegíveis, a mediana de idade foi 68 anos (61–75), 50,9% eram homens e 77,4% apresentavam índice de comorbidades de Charlson ≥ 3 . Segundo ELN 2022, 40,7% eram de risco desfavorável. Cinquenta e quatro (45,3%) receberam Venetoclax ajustado a azólicos e 65 (54,6%) receberam LoDAC ou suporte otimizado. A mediana de SG foi de 156 dias (IC95% 121–242) no grupo Venetoclax versus 29 dias (IC95% 24–54) no grupo LoDAC/suporte. No grupo Venetoclax, 62,9% receberam 100 mg/dia + voriconazol (200 mg 12/12h) e 37,1% receberam 200 mg/dia + fluconazol (300 mg/dia); a mediana de ciclos foi 2 (1–4) e a duração por ciclo foi de 28 dias (11–28). As toxicidades mais frequentes foram neutropenia grau III/IV com infecção bacteriana (29,9%) e eventos hemorrágicos graves (7,4%). A mortalidade precoce foi de 12,9% em 30 dias e 24,9% em 60 dias. A taxa de resposta global foi de 54%, com refratariedade em 21% e ausência de avaliação em 25% por óbito precoce ou perda de seguimento; entre os respondedores, 77% apresentaram DRM negativa. **Discussão e**