

sobretudo em pacientes com comorbidades prévias e histórico de imunossupressão. **Descrição do caso:** Paciente do sexo feminino, 51 anos, com Artrite Idiopática Juvenil (diagnosticada aos 2 anos), Diabetes Mellitus tipo 2 (DM2) e dislipidemia, em uso contínuo de Metotrexato e Etanercepte, restrita ao leito. Iniciou atendimento por dor intensa e edema súbito em joelho direito, associados a desconforto abdominal progressivo e hematoma. Ao exame físico, apresentava mau estado geral, fácies de dor, hipocorada, além de perfusão capilar periférica prejudicada. Abdome rígido e doloroso à palpação superficial, com hematoma em fossa ilíaca esquerda e hipogástrio. Joelho direito com edema, sinais de hemartrose e dor intensa à mobilização. Perda de mobilidade distal nos quatro membros e atrofia muscular secundária à AIJ. Os exames evidenciaram anemia grave (5,5 g/dL), normocítica (VCM 80 fL), com reticulocitose (15%), leucocitose (20.000 mm³), colestase laboratorial (GGT de 80 mg/dL e FA de 150 mg/dL) sem elevação de transaminases, função renal discretamente comprometida (Cr 1,5 mg/dL) e cinética do ferro compatível com deficiência grave (Ferritina de 4 mcg/dL e Sat. transferrina de 5%). O coagulograma mostrou prolongamento importante do PTT (50 segundos), ausência de correção no teste da mistura e redução acentuada do fator VIII (3%), compatível com inibidor adquirido de fator VIII. Foi iniciado fator VII recombinante (agente de bypass) com melhora do sangramento e parcial normalização do coagulograma. Introduzido antibiótico de amplo espectro, Vancomicina e Cefepime, por suspeita de foco cutâneo/partes moles. Realizadas três transfusões de concentrado de hemácias com melhora da anemia. Apesar da estabilização da coagulopatia e controle do sangramento, evoluiu com piora infecciosa, insuficiência renal e insuficiência respiratória, culminando em óbito. **Conclusão:** O caso ilustra a gravidade da hemofilia adquirida associada a doença autoimune em paciente imunossuprimida, com apresentação clínica exuberante e evolução fulminante. O reconhecimento rápido do distúrbio, a partir do prolongamento isolado do PTT, do teste da mistura sem correção e da dosagem reduzida do fator VIII, permitiu instituição precoce do tratamento com agente de bypass para o controle hemostático. Apesar da resposta inicial favorável, complicações infecciosas e falência orgânica múltipla foram determinantes para o desfecho desfavorável, ressaltando a necessidade de abordagem multidisciplinar e vigilância intensiva nesses casos raros.

Referências:

Zuner E, Désage S, Rezigue H, Dargaud Y, Lienhart A, Nougier C. Current trends and advances in the management of acquired Hemophilia A. *Blood Rev.* 2025 Jul 12:101320. doi: 10.1016/j.blre.2025.101320. Epub ahead of print. PMID: 40683780.

Pai M. Acquired Hemophilia A. *Hematol Oncol Clin North Am.* 2021;35(6):1131-1142. doi: 10.1016/j.hoc.2021.07.007. Epub 2021 Sep 15. PMID: 34535289.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104971>

ID – 1358

SANGRAMENTO GRAVE EM PACIENTE COM DEFICIÊNCIA LEVE DE FATOR VII E LMMC EM VIGÊNCIA DE PLAQUETOPENIA

RCR Queiroz, ACR Marques, MM Garcia, CLN Gomes, CC Justino, CMDS Pinto, L Miloni, FR Kerbauy, SV Antunes

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

Introdução: A deficiência de Fator VII (FVII) é coagulopatia hereditária rara, com prevalência de 1:500.000 na população geral, caracterizada pela ausência de correlação direta entre os níveis plasmáticos do fator e a gravidade das manifestações hemorrágicas. Devido à sua heterogeneidade clínica, o manejo dessa condição é desafiador e tenta-se identificar possíveis preditores de risco para sangramento. Este caso descreve paciente diagnosticada com Leucemia Mielomonocítica Crônica (LMMC) que, durante o condicionamento para Transplante de Medula Óssea (TMO), apresentou sangramento grave, recebendo o diagnóstico de deficiência hereditária leve de FVII. **Descrição do caso:** Sexo feminino, 72 anos, previamente hipertensa e portadora de insuficiência cardíaca com fração de ejeção preservada, teve diagnóstico de LMMC tipo 1, alto risco, em julho/2024, confirmado pelo estudo medular. No diagnóstico, apresentava sintomas há cerca de 6 meses, caracterizados por fraqueza e petéquias, além de exames laboratoriais evidenciando anemia, leucocitose e plaquetopenia. Pela progressão das citopenias, necessidade contínua de suporte transfusional com ausência de incremento plaquetário e falha terapêutica com o uso de hidroxiuréia, foi encaminhada para TMO alogênico em maio/2025. Durante internação para realização de condicionamento de intensidade reduzida (FluBu2), foi realizada punção única da veia jugular interna direita, para passagem de cateter venoso central guiada por ultrassonografia. Nos dias subsequentes, evoluiu com extenso hematoma cervical, estendendo até região torácica. Exames laboratoriais: contagem plaquetária: 15.000 mm³; TTPa R: 0,98; RNI: 1,79, com correção após teste da mistura. Diante do sangramento desproporcional e alteração do RNI, foi dosado FVII, que revelou 22%, confirmando o diagnóstico de Deficiência Hereditária Leve de FVII. Até este diagnóstico, apesar dos diversos desafios hemostáticos ao longo da vida como extrações dentárias, partos cesáreos e histerectomia, nunca havia apresentado sangramentos anormais. Após a identificação da deficiência, foi iniciado tratamento com concentrado de FVII ativado recombinante (rFVIIa), com melhora parcial do hematoma pós-punção. Entretanto, surgiram novos sangramentos ao longo do período de TMO alogênico, como hematoma em língua e hematuria, mantendo-se até hoje (D+60) com plaquetopenia persistente e uso de rFVIIa, se sangramentos. **Conclusão:** A ampla heterogeneidade das manifestações hemorrágicas em

portadores de deficiência hereditária de FVII dificulta a abordagem terapêutica adequada com reposição de rFVIIa. Este caso corrobora o conceito de ausência de correlação direta entre níveis plasmáticos do FVII e gravidade das manifestações clínicas, mas também levanta a discussão sobre o papel da plaquetopenia como potencial cofator hemorrágico em coagulopatias subjacentes. Convém salientar que a paciente, embora submetida a diversos desafios hemostáticos ao longo da vida, apresentou sangramento grave apenas na vigência de plaquetopenia. Por ser condição rara, a descrição de casos semelhantes pode ser útil para a melhor compreensão de potenciais preditores de risco de sangramento, auxiliando na condução individualizada desses pacientes.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104972>

ID – 1960

SPLEEN TYROSINE KINASE INHIBITORS FOR IMMUNE THROMBOCYTOPENIA: A META-ANALYSIS OF RANDOMIZED CONTROLLED TRIALS

NLC Pereira ^a, LOS Santos ^a, FBDO Torres ^a, LSUX Rodrigues ^a, MV Costa ^a, A Saldanha ^b

^a Universidade Estadual de Ciências da Saúde de Alagoas (UNCISAL), Maceio, AL, Brazil

^b Hemocentro de Alagoas (HEMOAL), Maceio, AL, Brazil

Introduction: Immune thrombocytopenia (ITP) is an autoimmune disorder, characterized by decrease of the platelet count and increased risk of bleeding. Although spleen tyrosine kinase (SYK) inhibitors have shown promise in treating ITP, no meta-analysis has yet synthesized the evidence from randomized controlled trials (RCTs) across the entire class. Therefore, there is no consolidated evaluation of the efficacy and safety of SYK inhibitors as a group, nor comparisons among different agents, limiting guidance for clinical practice and research. **Objectives:** This paper aims to synthesize the evidence from RCTs for SYK inhibitors in adults with chronic ITP and to compare the effects of different agents, conditional on the availability of data. **Material and methods:** Eligible studies were phase III RCTs comparing SYK inhibitors to placebo in ITP patients and reporting at least one relevant clinical outcome. Studies with overlapping populations, duplicate reports, or secondary ITP were excluded. Data were extracted from published reports on PubMed, Embase, and Cochrane. Risk Ratios (RR) with 95% Confidence Interval (95% CI) were pooled across trials. The primary efficacy outcome was the stable response rate (defined as ≥ 4 platelet count $\geq 50 \times 10^9/L$ in 14-24 weeks). Secondary efficacy endpoints included other platelet count improvements and the need for rescue therapy. Safety outcomes comprised any Adverse Events (AEs) and other AEs. **Results:** Four trials ($n=372$) were included. Syk inhibitors were given to 249 patients (66.9%): 123 (49.3%) received Fostamatinib and 126 (50.6%) Sovlepenib. SYK inhibitors significantly increased stable and overall platelet

responses compared to placebo (RR = 17.77; 95% CI 5.13–61.61; $p < 0.00001$ and RR 4.17; 95% CI 2.63–6.61; $p < 0.00001$). Among individuals presenting with more pronounced thrombocytopenia at baseline ($< 15 \times 10^9/L$), SYK inhibitors were favored in the increase of platelet count of $\geq 30 \times 10^9/L$ and $\geq 20 \times 10^9/L$ from baseline at weeks 12 and 24 (RR = 3.53; 95% CI 1.96–6.37; $p < 0.0001$, and RR = 3.67; 95% CI 2.00–6.71; $p < 0.001$). SYK inhibitor use reduced rescue treatment need but increased AEs, particularly hypertension, while severe AEs were not significantly different. Subgroup analyses comparing different SYK inhibitors were exploratory, due to the low number of studies involved, and none of the outcomes demonstrated a statistically significant difference between subgroups. **Discussion and Conclusion:** The present study is the first systematic review with meta-analysis to specifically evaluate the class of SYK inhibitors for the treatment of chronic ITP based solely on data from RCTs. Compared to the previous meta-analysis restricted to fostamatinib, in their subgroup analysis of RCTs, our findings suggest a stronger treatment effect for SYK inhibitors overall, particularly for stable response (RR 17.77 vs. 6.43) and overall response (RR 4.17 vs. 3.04), while the direction of benefit remained consistent across studies. In conclusion, this study provides evidence supporting SYK inhibitors as viable options in the treatment of chronic ITP. Given the small number of contributing studies, these results should be interpreted cautiously. Large-scale multicenter RCTs are needed to assess the safety and effectiveness of different SYK inhibitors in order to guide clinical decisions and optimize ITP management.

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104973>

ID – 1562

TERAPIAS EM HEMOFILIA B: PADRÃO vs. INOVADORAS – REVISÃO DE LITERATURA SOBRE SEGURANÇA, EFICÁCIA E DESFECHOS

DM Lobert ^a, CM Duarte ^a, MM Mantovani ^a, RO Coelho ^b

^a Faculdade de Medicina de Botucatu, Universidade Estadual Paulista (FMB-UNESP), Botucatu, São Paulo, Brasil

^b Hospital das Clínicas da Faculdade de Medicina de Botucatu, Universidade Estadual Paulista (HCFMB-UNESP), Botucatu, São Paulo, Brasil

Introdução: A Hemofilia B (HB) é uma coagulopatia rara, ligada ao X, que levam à produção deficiente do Fator IX (FIX). Pacientes com HB grave apresentam sangramentos espontâneos frequentes, com risco de artropatia crônica e hemorragias fatais. O tratamento padrão é a profilaxia com concentrados de FIX de meia-vida padrão (SHL). Apesar de eficazes, infusões Intravenosas (IV) frequentes comprometem adesão e controle ideal. Novas abordagens incluem FIX de meia-vida estendida (EHL), terapias gênicas (scaAV2/8-LP1-hFIXco, etranacogene dezaparvovec e fidanacogene elaparovect) e agentes não-fatoriais (concizumab, marstacimab, fitusiran). Apesar de promissoras em reduzir a carga terapêutica