e melhorar a hemostasia, há escassez de comparações diretas entre seus desfechos e os da terapia padrão. Objetivos: Comparar terapias avançadas (gênica, não-fatorial, FIX EHL) com convencionais (FIX SHL), reunindo dados sobre segurança, eficácia e desfechos clínicos. Material e métodos: Revisão sistemática em bases de dados, com artigos publicados nos últimos 5 anos. A extração de dados focou nas intervenções, comparadores, segurança, eficácia e desfechos. Resultados e discussão: As novas terapias melhoram o controle hemostático e a qualidade de vida (QoL), com maior conveniência, eficácia e potencial "cura". Terapias gênicas reduziram a Taxa Anualizada de Sangramento (ABR): scAAV2/8-LP1-hFIXco de 14,0 para 1,51; etranacogene de 4,19 para 1,516; fidanacogene de 4,4 para 1,34. A scAAV2/8-LP1- hFIXco manteve FIX estável e controle hemostático por 13 anos com dose única. Com etranacogene, 96% suspenderam profilaxia após 18 meses, mesmo com anticorpos pré-existentes. Há relatos de remissão sem inibidores, trombose ou hepatotoxicidade, embora com elevação transitória de aminotransferases. Agentes não-fator são úteis em pacientes com inibidores ou que evitam administração IV, por aplicação subcutânea, que melhora adesão e QoL. Todos reduziram ABR: concizumab de 14,9 para 1,68; marstacimab de 38 para 3,18 sob demanda e de 7,9 para 5,1 em profilaxia; fitusiran com mediana de 0,877. Houve relatos de risco trombótico com concizumab e fitusiran, manejados com ajustes de dose e monitoramento. FIX EHL mostrou redução na ABR (1,29 vs. 3,12 com FIX SHL) e maior proporção sem sangramentos (0,53 vs. 0,24). Menor frequência de infusão aumentou adesão e QoL. Os desfechos clínicos são profundos: QoL aprimorada, ABR reduzida, saúde articular e funcionalidade melhoradas. Terapias não-fator se mostraram cruciais para pacientes com inibidores. Entretanto, os estudos ainda têm limitações: fases iniciais, amostras pequenas, tempo de seguimento curto, viés em não-randomizados. A ausência de ensaios comparativos diretos e sub-representação feminina limitam a generalização. Conclusão: As terapias inovadoras em HB mostram avanços relevantes em segurança, eficácia e desfechos, superando a abordagem padrão. Apesar do potencial de conveniência, superior eficácia e até remissão, faltam estudos comparativos amplos e de longo prazo.

https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104974

ID - 383

THE ROLE OF INTERLEUKIN-10 GENE VARIANTS IN INHIBITOR DEVELOPMENT IN HEMOPHILIA: A SYSTEMATIC REVIEW AND META-ANALYSIS

AfdC Bezerra, YK Batista-Rodrigues, SM Rezende, RP de Souza

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

Introduction: A major therapeutic challenge in hemophilia is the development of inhibitors that neutralize replacement therapies. Interleukin-10 (IL-10), an anti-inflammatory cytokine, regulates immune responses and influences antibody production, suggesting a potential role in inhibitor formation. Objectives: This systematic review aimed to investigate the association of IL-10 polymorphism with inhibitor formation in patients with hemophilia. Material and methods: Following PRISMA guidelines, the study was registered in PROSPERO (CRD42024590045). Genetic studies on IL-10 polymorphisms and inhibitors were included, while case reports, reviews, and animal studies were excluded. A comprehensive search was conducted in PubMed and Scielo, covering records up to June 16, 2025. Methodological quality was assessed using Q-genie, and a meta-analysis was performed for polymorphisms with data from at least three studies, using the Mantel-Haenszel method. Discussion and Conclusion: Of 107 screened studies, 19 were included in the systematic review and 12 in the metaanalysis. Fifteen studies referred to hemophilia A patients only, with sample sizes ranging from 15 to 935, and inhibitor development rates varying from 6/50 (12%) to 130/260 (50%). High variability was observed among the studies, particularly regarding sampling locations, which included Europe (n = 6), Asia (n = 6), the Americas (n = 4), Africa (n = 1), and two multicentric studies spanning Europe and North America. All included studies investigated at least one IL-10 polymorphism potentially associated with the risk of inhibitor development. The most frequently studied variants were rs1800896 (n = 9 studies), rs1800871 (n = 7), and rs1800872 (n=6), all located in the regulatory region of the IL-10 gene. No significant association was found between IL- 10 polymorphisms and inhibitor formation. To assess the impact of hemophilia type on the findings, studies involving hemophilia A and B were analyzed separately leading to the same results. In a subgroup analysis, the T-rs1800871 and Ars1800872 recessive models were associated with protection against inhibitor development in subjects with severe hemophilia A. Although IL-10 polymorphisms do not appear to play a central role in inhibitor development across all hemophilia populations, protective associations identified in patients with severe hemophilia A suggest a potential immunomodulatory role in specific subgroups. These findings underscore the importance of further studies exploring IL-10-mediated mechanisms in immune tolerance and their implications for personalized treatment strategies in hemophilia.

https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.104975

ID - 374

TRADUZINDO A HEMOFILIA PARA LEIGOS: EXTENSÃO UNIVERSITÁRIA PARA EDUCAÇÃO EM SAÚDE E COMBATE À DESINFORMAÇÃO

MD Faleiro <sup>a</sup>, GS de Albuquerque <sup>a</sup>, YML Barros <sup>a</sup>, PVM da Silva <sup>a</sup>, AA Lacerda <sup>b</sup>, JO Melo <sup>b</sup>, LMP Leite <sup>a</sup>, ML Battazza <sup>c</sup>, ITRM Galhardo <sup>c</sup>, RM Camelo <sup>d</sup>

- <sup>a</sup> Universidade Federal de Minas Gerais (UFMG), Belo Horizonte, MG, Brasil
- <sup>b</sup> Faculdade Ciências Médicas de Minas Gerais, Belo Horizonte, MG, Brasil
- <sup>c</sup> Associação Brasileira de Pessoas com Hemofilia (ABRAPHEM), São Paulo, SP, Brasil

<sup>d</sup> Faculdade de Medicina da Universidade Federal de Minas Gerais (UFMG), Belo Horizonte, MG, Brasil

Introdução: A hemofilia é uma coagulopatia hereditária rara caracterizada por sangramentos espontâneos ou após traumas leves. Os sangramentos são principalmente articulares, provocando artropatia e síndrome de imobilidade, mas também podem ocorrer em outros sítios, resultando até mesmo em morte. O tratamento consiste na administração parenteral de pró-coagulantes para tratar (tratamento episódico) ou evitar sangramentos (profilaxia). A clínica e a terapia podem resultar em sobrecargas física e emocional, com impactos sociais para a pessoa com hemofilia (PcH) e seus pares. O suporte atualmente preconizado envolve a atenção integrada de médicos, enfermeiros, fisioterapeutas, educadores físicos, psicólogos, dentistas, farmacêuticos e assistentes sociais. A peça-chave para o sucesso do tratamento é a compreensão da doença e a postura proativa pela PcH e seus pares, mediante esses cuidados. No entanto, há desafios relevantes, especialmente fora dos centros de referência, onde a escassez de conhecimento sobre a doença pode levar a condutas inadequadas. Simultaneamente, PcH e seus pares enfrentam dificuldades no acesso a informações confiáveis, atualizadas e compreensíveis sobre a hemofilia, principalmente nos últimos anos frente ao avanço das opções terapêuticas. Objetivos: O objetivo do Projeto DivulgHEMOs é produzir conteúdo digital para mídia social em linguagem acessível a partir de material científico, ampliando a educação em saúde. Material e métodos: O projeto de extensão foi iniciado em abril/2025, promovido pela Associação Brasileira de Pessoas com Hemofilia (ABRAPHEM) e a Faculdade de Medicina da Universidade Federal de Minas Gerais. As etapas incluem (1) mapeamento com a ABRAPHEM das principais dúvidas e necessidades informacionais pela PcH e seus tutores; (2) busca ativa de evidências científicas em bases indexadas (PubMed e Scielo); (3) elaboração de resumos críticos e revisões sobre temas como fisiopatologia, suporte interdisciplinar, tratamentos, novas terapias, adesão, atividade física e desfechos clínicos; (4) tradução dos conteúdos para linguagem acessível ao público-alvo; (5) validação final dos materiais pela ABRA-PHEM; (6) divulgação nas mídias sociais da instituição (site, Instagram e Facebook); e (7) avaliação de métricas de alcance e engajamento. O acompanhamento do impacto é feito por meio da quantificação do material gerado e análise de alcance digital. Resultados: Até o momento, foram produzidos três materiais educativo, estando dois já disponibilizados publicamente. O primeiro material foi o post "Hemofilia: quando suspeitar e como diagnosticar?" (14/07/2025), seguido pelo post "O que leva uma pessoa com hemofilia à urgência?" (16/07/2025), ambos divulgados no Instagram da ABRAPHEM. Os materiais alcançaram a comunidade no entorno da hemofilia em múltiplas plataformas e marcaram o início da análise de impacto em educação em saúde. Discussão e Conclusão: A tradução do conhecimento científico em linguagem acessível divulgada através de mídias sociais é uma estratégia de educação em saúde que promove autonomia das PcH e seus pares, podendo melhorar o cuidado e contribuir para o uso eficiente dos recursos em doenças raras como a hemofilia.

ID - 20

USO DE ECMO EM PACIENTE PEDIÁTRICO: MANEJO DE CHOQUE SÉPTICO POR DENGUE – UM RELATO DE CASO

GC Ramos Alvarenga, A Cassiano de Sousa Carvalho, L Lima Marques, MC Devita, PC Massucatto Colbachini, A Bisinotto Catanant, JA Victoriano de Michel, F Antoniali, F Maia

Pontifícia Universidade Católica de Campinas (PUC-Campinas), Campinas, SP, Brasil

Introdução: A dengue é uma arbovirose endêmica em regiões tropicais e subtropicais, podendo variar de quadros leves a complicações graves como choque séptico e falência multissistêmica. Quando o tratamento convencional não é eficaz, a oxigenação por membrana extracorpórea (ECMO) emerge como uma alternativa terapêutica. Estudos apontam que a ECMO pode melhorar a sobrevida em casos graves de choque séptico pediátrico, embora sua aplicação exija avaliação criteriosa devido aos riscos, como hemorragias associadas à coagulopatia provocada pela dengue. Descrição do caso: Paciente do sexo masculino, 3 anos, admitido com quadro clínico de febre, vômitos, rash cutâneo e rebaixamento do nível de consciência. Realizado teste de dengue para o antígeno NS1, positivo. Evolui com choque séptico, necessidade de transferência para Unidade de Terapia Intensiva Pediátrica (UTIP), iniciadas medidas de ressuscitação volêmica, intubação orotraqueal, antibioticoterapia e drogas vasoativas. Hemoculturas revelaram presença de Staphylococcus aureus sensível à oxacilina. Após sete dias, paciente evoluiu para síndrome do desconforto respiratório agudo grave, instabilidade hemodinâmica e oligúria. Diante da refratariedade ao tratamento convencional, foi optado pela ECMO. A canulação foi realizada pela equipe de cirurgia cardíaca com a instalação da ECMO venoarterial. Após instalação da ECMO, paciente apresentou melhora na estabilidade hemodinâmica, titulação e eventual suspensão das drogas vasoativas. A ventilação mecânica foi mantida com parâmetros mínimos para garantir oxigenação coronariana. Com a estabilização clínica, após seis dias em ECMO ecocardiograma mostrou melhora no débito cardíaco e o suporte foi descontinuado, o paciente manteve-se estável evoluindo com melhora e alta da UTIP, demonstrando a eficácia do tratamento em um quadro grave. Discussão: Este caso demonstra a eficácia da ECMO como opção terapêutica para crianças com choque séptico refratário, uma vez que as alternativas convencionais falharam. Embora estudos indiquem taxas de sobrevida de até 70% para recém-nascidos e 40% para crianças maiores com o uso de ECMO, esta terapia é geralmente considerada quando tratamentos como reposição volêmica e inotrópicos são insuficientes. As diretrizes, como a Surviving Sepsis Campaign, recomendam a ECMO, embora a evidência disponível seja limitada. A eficácia do tratamento depende da experiência da equipe, do tipo de tecnologia utilizada e do momento de sua implementação. Conclusão: Este relato contribui para a compreensão do uso da ECMO como