

ID - 2653

ANÁLISE DA ENXERTIA DE CÉLULAS CD34+ PROVENIENTES DE PACIENTES COM ANEMIA FALCIFORME EM CAMUNDONGOS NBSGW: ESTUDO PILOTO SOBRE O PERFIL DE HEMOGLOBINAS

RA Ataíde^a, JS Yen^b, MS Figueiredo^a^a EPM/Unifesp, São Paulo, SP, Brasil^b ST Jude Children's Research Hospital, United States

Introdução: A anemia falciforme (AF) é uma hemoglobinopatia hereditária, descrita como a primeira doença de base molecular e fundamentada pela produção de hemoglobina S, causando rigidez eritrocitária. O uso de células-tronco hematopoéticas (HSPCs), especificamente células CD34+, como terapia gênica, tem se mostrado promissor e requer modelos pré-clínicos adequados. Camundongos NBSGW representam uma plataforma satisfatória para avaliação funcional de CD34+, uma vez que são imunodeficientes e não necessitam de condicionamento prévio à enxertia das células humanas. Entretanto, são escassos os dados sobre o comportamento das CD34+ de pacientes falciformes (CD34+_SS), sem edição gênica, no modelo murino. **Objetivos:** Avaliar a capacidade de enxertia e longevidade das células CD34+_SS sem edição gênica, isoladas de pacientes com o diagnóstico de AF, em camundongos NBSGW sem mieloablação prévia. **Material e métodos:** Células mononucleares foram isoladas a partir do sangue total de paciente AF (sem mobilização prévia) por gradiente de densidade (Ficoll-paque), e selecionadas por separação imunomagnética para a fração CD34+. Dois camundongos NBSGW foram utilizados: um para a infusão de 38.500 células CD34+ (99% viabilidade); outro para a infusão de PBS, como controle. A via de administração foi a retro orbital, com os animais sob anestesia inalatória (isoflurano). Os animais foram acompanhados por 74 dias, tendo seu sangue coletado por via submandibular nos dias (time points) 0, 14, 42 e 72, para avaliação do perfil de hemoglobinas por HPLC. **Resultados:** A quantidade de células CD34+_SS infundidas foi modesta, como esperado para a fase piloto, mas suficiente para validar o protocolo de manejo e transplante no animal, bem como a detecção pelo método cromatográfico. Não houve sinais de toxicidade ou mortalidade no modelo murino devido às células. A análise revelou alteração na composição das hemoglobinas no decorrer dos 74 dias de acompanhamento, com aparecimento de hemoglobina anômala no intervalo de retenção 1.73-1.97 e maior pico no D42. **Discussão e conclusão:** Os dados preliminares demonstram que células CD34+_SS são capazes de sobreviver no organismo do modelo murino NBSGW, após o enxerto, sem qualquer pré-modificação genética, prévio condicionamento mieloablativo do animal ou estímulo à liberação celular do paciente. Apesar do uso de apenas um animal, os achados estabelecem um baseline funcional relevante, sugerindo a viabilidade do modelo. Futuros ensaios com maior número de animais e células editadas geneticamente permitirão comparações mais robustas sobre o impacto da mutação falciforme e os desdobramentos da edição gênica. Este estudo piloto confirma a viabilidade da

enxertia de células CD34+_SS e o acompanhamento das possíveis alterações provocadas em camundongo NBSGW. Com isso, iniciamos uma base metodológica sólida para experimentos subsequentes, aí sim com células progenitoras hematopoéticas geneticamente modificadas e a avaliação de impactos sistêmicos. O autor principal é bolsista da Coordenação de Aperfeiçoamento de Pessoal de Nível Superior (CAPES). Este estudo foi financiado pela CAPES (processo 332608/2020-9).

<https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.105473>

ID - 219

ANÁLISE DA IDADE E SEXO NA DISTRIBUIÇÃO DE LEUCEMIAS AGUDAS LINFOBLÁSTICA E MIELOIDE EM RECEPTORES DE TRANSPLANTE DE MEDULA ÓSSEA NO PARÁ (2022–2025)

RC Oliveira, NA Azevedo, PS Silva, SDB Pacheco, EAP Ramos, PJSM Mattos

Fundação Centro de Hemoterapia e Hematologia do Pará, Belém, PA, Brasil

Introdução: As leucemias agudas linfoblástica e mieloide apresentam diferenças clínicas e epidemiológicas importantes que influenciam o sucesso de terapias avançadas, como o transplante de medula óssea (TMO). O laboratório de imunogenética da Fundação Centro de Hemoterapia e Hematologia do Pará (HEMOPA) é responsável por realizar os testes de compatibilidade dos candidatos a transplante no estado. A compreensão dos padrões de ocorrência por faixa etária, sexo e sua variação ao longo do tempo é fundamental para analisar as necessidades dessa população. **Objetivos:** Investigar a associação entre faixa etária, sexo e tipo de leucemia aguda — linfoblástica/mieloide — estimar a incidência interna anual em receptores de TMO com dados do HEMOPA, 2022 até abril/2025. **Material e métodos:** Foram incluídos retrospectivamente 245 pacientes com diagnóstico confirmado de leucemia aguda linfoblástica (n=123) e mieloide (n=86), cujos dados de faixa etária e sexo estavam completos. As faixas foram categorizadas em cinco grupos (1–9; 10–19; 20–39; 40–59; 60–79 anos). Avaliou-se a independência entre faixa etária e tipo de leucemia pelo teste do qui-quadrado e entre sexo e tipo de leucemia pelo teste exato de Fisher bilateral, considerando o nível de significância de $p < 0,05$. A incidência interna anual foi calculada como proporção de casos novos sobre total de candidatos a transplante em cada ano. O projeto foi aprovado pelo Comitê de Ética em Pesquisa sob o número de CAE 25781119.8.0000.5634. **Resultados:** Observou-se associação estatisticamente significativa entre faixa etária e tipo de leucemia ($\chi^2 = 17,084$; $p = 0,0019$), com predomínio de leucemia aguda linfoblástica em crianças de 1 a 9 anos (30,9% dos casos) e de leucemia aguda mieloide em adultos de 20 a 39 anos (31,4% dos casos). A distribuição por sexo não apresentou associação significativa (OR = 1,624; IC95%: 0,90-2,93; $p = 0,0927$), embora houvesse leve predomínio masculino na leucemia linfoblástica (58,5%) e feminino na mieloide (53,4%). A incidência anual em candidatos a transplante variou de