studies, and informing public health and precision medicine policies.

https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.105519

ID - 161

IMUNOTERAPIA COM USO DE CÉLULAS CARTTEM PACIENTES DIAGNOSTICADOS COM LEUCEMIA LINFOBLÁSTICA AGUDA PEDIÁTRICA

RH Ramos, GB Miranda, DFA Lopes, NKU Nogueira, NC Trovo

Universidade Nove de Julho, São Paulo, SP, Brasil

Introdução: A leucemia linfoblástica aguda de células B (LLA-B) é a neoplasia hematológica mais comum na infância. Apesar dos avanços terapêuticos, casos recidivantes/refratários ainda representam desafio clínico significativo, com prognóstico reservado e poucas opções terapêuticas. Nos últimos anos, a imunoterapia com células T geneticamente modificadas para expressar receptores quiméricos de antígeno (CAR-T cells), especialmente direcionadas contra o antígeno CD19, tem emergido como alternativa promissora. Essa tecnologia vem demonstrando resultados encorajadores quanto às taxas de remissão, sobrevida e controle da doença residual sobretudo em faixas etárias mais vulneráveis. Objetivos: Este trabalho objetiva revisar e sintetizar as evidências científicas disponíveis sobre a eficácia clínica da terapia com células CAR-T em pacientes pediátricos com LLA-B, com foco na população prevalente e nos principais fatores prognósticos associados aos desfechos terapêuticos. Material e métodos: Foi realizada uma revisão integrativa da literatura acerca da eficácia da terapia com células CAR-T em pacientes pediátricos com LLA-B. A estratégia de busca foi conduzida na base de dados PubMed utilizando os descritores em inglês "immunotherapy", "CAR-T cell" e "pediatric leukemia". Aplicaram-se filtros para apenas artigos disponíveis na íntegra, publicados entre 2017 e 2025, redigidos em inglês. Como critérios de inclusão, adotou-se a necessidade dos estudos abordarem eficácia clínica e as taxas de remissão da doença em pacientes pediátricos com idade entre 2 e 5 anos, faixa etária de maior prevalência da LLA-B. Discussão e conclusão: A análise de estudos clínicos sobre pacientes pediátricos com LLA-B recidivante/refratária demonstrou alta eficácia da terapia CAR-T anti-CD19. As taxas de remissão completa variaram entre 83% e 100% (KATO et al., 2025; WANG et al., 2024; MYERS et al., 2025; NCT 03827343), com negativação de doença residual mínima (MRD) em até 96,5% dos casos (WANG et al., 2024). A sobrevida global (OS) em 1 ano foi de até 82% (KATO et al., 2025), e a sobrevida livre de eventos (EFS) variou conforme a carga tumoral — 80% para pacientes com < 5% de blastos e 24% nos com doença avançada (KATO et al., 2025). A toxicidade mais comum foi a síndrome de liberação de citocinas (SRC) presente em até 77% dos pacientes (ELIANA STUDY, 2017), seguida de neurotoxicidade (ICANS), controlada com medidas como dexametasona intratecal precoce (JI et al., 2024). A terapia mostrou-se viável em crianças menores de 3

anos (com peso < 10 kg) com sucesso na produção e infusão do produto em 94% dos casos (ESTUDO MULTINACIONAL, 2023). Fatores como carga tumoral elevada, mutação TP53 e ausência de transplante alogênico pós-CAR-T foram associados a pior prognóstico (ZHANG et al., 2021). Isoformas alternativas de CD19 já presentes no diagnóstico foram identificadas como possíveis mecanismos de resistência, reforçando a necessidade de terapias combinadas ou multialvo (FISCHER et al., 2017; MYERS et al., 2025).

Referências: ELIANA Study. N Engl J Med, 2017. FISCHER, U. et al. Nature, 2017. KATO, M. et al. Prognostic factors in CAR-T for B-ALL. 2025. WANG, H. et al. One-year CAR-T outcomes in pediatric B-ALL. 2024. MYERS, D. R. et al. Resistance mechanisms to CD19 CAR-T. 2025. JI, Y. et al. Dexamethasone for ICANS prevention. 2024. Zhang, C. et al. TP53 and tumor burden in CAR-T. 2021. ClinicalTrials.gov: NCT03827343. Multinational Study. Feasibility in infants. 2023.

https://doi.org/10.1016/j.htct.2025.105520

ID - 3187

INFLUENCE OF CONDITIONING, DONOR AGE, AND TRANSPLANT PERIOD ON ALLOGENEIC TRANSPLANT OUTCOMES IN ACUTE LYMPHOBLASTIC LEUKEMIA: A LATIN AMERICAN COHORT OF 748 PATIENTS

WF Silva ^a, A Gómez de León ^b, ME Zelada ^c, MN Kerbauy ^d, ME Mas ^e, DN Cysne ^a, I Colturato ^f, AC Cordeiro ^g, LLA Luna ^h, AA WU ^a, VRCV Sampaio ^a, GG Salas ^b, AEG Lozano ^b, I Domínguez ⁱ, J Rojas ^j, JEC Pedraza ^b, N Quinteros ^k, VIU Ceniceros ^l, E Zapata ^m, J Schmidt-Filho ^g, L Tucunduva ⁿ, G Navarro ^o, VA Colturato ^f, N Hamerschlak ^d, AL Basquiera ^e, V Rocha ^a

- ^a Hospital das Clínicas, Faculdade de Medicina, Universidade de São Paulo (HCFMUSP), São Paulo, SP, Brazil
- ^b Universidad Autónoma de Nuevo León, Mexico
- ^c Clínica Dávila, Chile
- ^d Hospital Israelita Albert Einstein, São Paulo, SP, Brazil
- ^e Hospital Privado Universitario de Cordoba, Argentina
- ^f Hospital Amaral Carvalho, Jaú, SP, Brazil
- ^g A.C. Camargo Cancer Center, São Paulo, SP, Brazil
- ^h Centro Medico Nacional 20 de Noviembre, Mexico
- ⁱ Hospital Sótero del Río, Chile
- ^j Hospital Regional de Talca, Chile
- ^k Hospital San Borja de Arriarán, Chile
- ¹ Instituto Nacional de Cancerología, Mexico
- ^m Fundación Arturo López Pérez, Chile
- ⁿ Hospital Sírio-Libanês, São Paulo, SP, Brazil
- ° Hospital de Amor, Barretos, SP, Brazil

Introduction: Allogeneic hematopoietic stem-cell transplantation (HCT) remains a key component of consolidation