

## Por que os pacientes com doença falciforme encaminhados para transplante de células-tronco hematopoiéticas (TCH) não conseguem realizá-lo? Podemos mudar esta realidade?

Roseane Vasconcelos Gouveia<sup>1,2</sup>; Valéria Cortez Ginani<sup>1,2</sup>; Carla Nolasco Monteiro Breviglieri<sup>2</sup>; Gustavo Zamperlini<sup>1</sup>; Maria Gabriela Alves Dias Matos<sup>1</sup>; Luciana dos Santos Domingues<sup>1</sup>; Paola Azenha Milani Soriano<sup>2</sup>; Carla Maria da Costa Zanchetta Oliveira<sup>2</sup>; Milena Reis Santos de Oliveira<sup>2</sup>; Mariana Massue Komatsu<sup>2</sup>; Gabriella Sayuri de Alencar<sup>2</sup>; Laís Lima Quintino<sup>2</sup>; Maite Freire Cardoso<sup>1</sup>; Marcia Puato Vieira Pupim<sup>2</sup>; Anna Beatriz Willems Batalha<sup>2</sup>; Juliana Francielle Marques<sup>2</sup>; Claudineia de Farias Andrade<sup>2</sup>; Cintia Monteiro Lustosa<sup>1</sup>; Adriane da Silva Santos Ibanez<sup>1</sup>; Camilla Margarida Maria Soares de Sousa Parrode<sup>1</sup>; Vanessa Aparecida do Nascimento Varjao<sup>1</sup>; Aline Ferrari Martins<sup>1</sup>; Ana Carolina Ribeiro Correia<sup>1</sup>; Camila Noronha Santos<sup>2</sup>; Ana Cláudia Ramos Donatelli Bronzoni<sup>1</sup>; Érica Almeida Viana<sup>1</sup>; Adriana Seber<sup>1,2</sup>

1. Instituto De Oncologia Pediátrica – GRAACC/UNIFESP, São Paulo – SP – Brasil

2. Hospital Samaritano Higienópolis, São Paulo - SP – Brasil

e-mail: roseanegouveia@yahoo.com

### Introdução

- Transplante de células-tronco hematopoiéticas (TCH) é a única opção curativa para pacientes com doença falciforme (DF) no nosso país
- Infelizmente, poucos pacientes têm um irmão HLA-idêntico e sem DF como doador
- Doadores haploidênticos são uma opção viável e segura

### Objetivo

- O **objetivo** deste estudo foi compreender as razões pelas quais os pacientes com DF com indicação de TCH não conseguiram realizá-lo

### Métodos

- Avaliação retrospectiva dos motivos pelos quais os pacientes foram encaminhados para TCH, mas não o realizaram
- Pacientes encaminhados por hematologistas ou por conta própria
- Apenas pacientes com complicações relacionadas à DF persistentes apesar da hidroxiureia na dose máxima foram considerados para TCH
- A principal indicação de TCH foi doença cerebrovascular, seguida por eventos venoclusivos persistentes e síndrome torácica aguda
- Apenas doadores ABO compatíveis foram considerados
- Todos os pacientes com anticorpos anti-HLA positivos foram exaustivamente discutidos com especialistas em HLA
- Todos os pacientes submetidos a transplantes haploidênticos, tiveram a tiotepa incluída no regime de condicionamento
- Um período de pré-condicionamento de supressão da medula também foi obrigatório antes de TCH haploidênticos, mantendo hidroxiureia >30 mg/kg/dia e hipertransfusões para manter HbS < 30%, hemoglobina ~ 10 g/dL, contagem de reticulócito < 10%, leucócitos < 10.000/mm<sup>3</sup>
- Em pacientes com AVC, o intervalo mínimo para prosseguir o TCH foi de 6 meses

### Resultados

- 76 pacientes foram encaminhados para TCH entre 2016 e 2024

Tabela 1: Pacientes encaminhados para TCH entre 2016 e maio de 2024

Pacientes (N)	Desfecho	%
9	TCH de doador irmão HLA-idêntico	12
25	TCH doador haploidêntico	33
27	Ainda aguardando TCH	35
15	Não puderam realizar TCH	20

Tabela 2: Razões que justificaram a não realização do TCH

#Pacientes	Razões variáveis e não exclusivas impeditivas para TCH
3	Sem doador ABO compatível aparentado
2	Todos doadores ≥ 50 anos
2	Tentativa de fertilização <i>in vitro</i> sem sucesso
8	Altas títulos de anticorpos específicos contra o HLA do doador apesar da desensibilização (rituximab, bortezomib, daratumomab, plasmaferese e imunoglobulina)
3	Recusa do doador em doar devido a conflitos familiares e razões religiosas
2	Aloimunização grave e incapacidade de encontrar unidades de concentrado de hemácias para transfusão compatíveis

### Conclusões

- 20% dos pacientes não conseguiram realizar o TCH
- Como o TCH é o único tratamento curativo disponível em nosso país, não realizar pode afetar a qualidade de vida e, em última análise, sua sobrevivência
- Nossos dados podem ajudar a entender os problemas enfrentados pelos pacientes e a implementar estratégias que possam mitigar
- A leucorredução universal dos concentrados de hemácias pode reduzir significativamente a aloimunização, como observado em outros países e deve ser considerada em todos os pacientes com DF
- A possibilidade de procurar um doador não aparentado deve ser reconsiderada em nosso país para respeitar um direito universal dos pacientes que necessitam de um TCH alogênico