III CONGRESSO BRASILEIRO DE HEMATOLOGIA CLÍNICO-LABORATORIAL ON-LINE

A EFICÁCIA TERAPÊUTICA DO ECULIZUMABE NA HEMOGLOBINÚRIA PAROXÍSTICA NOTURNA

ANDRÉ MARINHO DE ANDRADE FIGUEIRA; MARINA PRADO SPÍNOLA; CRISTIANA MACHADO COLARES PINTO

INTRODUÇÃO: A Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) é uma doença extremamente rara definida pela deficiência na expressão de glicosil-fosfatidil-inositol (GPI), uma molécula que serve como âncora para a ligação de proteínas à membrana das células hematopoiéticas, essas proteínas regulam o sistema de complemento, como CD55 e CD59. A HPN é causada por mutações no gene PIGA, responsável pela síntese do GPI. A deficiência de GPI resulta na redução da expressão de proteínas ancoradas à membrana celular, manifestando-se com: hemólise intravascular com hemoglobinúria, trombose de vasos de grande calibre e até anemia aplásica. O tratamento para a HPN era limitado, antes da disponibilidade do eculizumabe, esse anticorpo monoclonal humanizado atua agindo como inibidor terminal do complemento, direcionado à proteína C5, que impede a ativação do C5 e a formação do complexo terminal do complemento, evitando a lise dos eritrócitos. Evidências demonstraram que o tratamento com eculizumabe resultou em menor risco de hemólise e trombose, menos transfusões de hemácias, melhor função renal e aumento da sobrevida. Entretanto, o seu uso aumenta o risco de infecção meningocócica, além de apresentar um custo elevado. **OBJETIVO:** Apresentar a eficácia e indicação do eculizumabe na abordagem terapêutica da hemoglobinúria paroxística noturna. **METODOLOGIA:** Trata-se de uma revisão de literatura, na qual foram utilizadas ferramentas de busca on-line, como PubMed, Scielo e Google Acadêmico, entre os anos de 2018 e 2023, com os seguintes descritores: hemoglobinúria paroxística noturna; eculizumabe; tratamento. **RESULTADOS:** Estudos mostraram que após a introdução do eculizumabe, houve aumento da expectativa de vida, com sobrevida em 5 anos de 96,5%. Ademais, cerca de 90% dos pacientes respondem ao medicamento, e 10% atingem a remissão completa e níveis de hematimétricos normais; 35% a 40% dos pacientes não precisam de transfusões de hemácias, apresentando uma anemia leve; e os outros 30% têm anemia moderada, necessitando de transfusões de hemácias. **CONCLUSÃO:** Como se vê, o uso do eculizumabe no tratamento da HPN demonstra resultados satisfatórios, sendo uma medicação que melhora a qualidade de vida da maioria dos pacientes. Entretanto, é necessário avaliar o custo-benefício da medicação, pois apresenta riscos e custo elevado, sendo necessário judicializar para seu acesso.

Palavras-chave: Hemoglobinúria paroxística noturna, Eculizumabe, Hpn, Anticorpo, Tratamento.

DOI: 10.51161/hematoclil2023/19791