

Transplante de células-tronco hematopoiéticas: pilar terapêutico nos Erros Inatos da Imunidade

Gabriela Martins de Queiroz Campos¹; Silvia Naomi Eto¹; Paula Pozzolo Ogeda¹; Julia Chaves Cabral¹; Leonardo Mendes da Silva¹; Bruno William Lopes Almeida¹; Mariana Gouveia Pereira Pimentel¹; Rafaela Leite Guimarães¹; Dirceu Solé¹; Carolina Sanchez Aranda¹

Introdução: Os Erros Inatos da Imunidade (EII) constituem um grupo heterogêneo de doenças genéticas caracterizadas por disfunções no sistema imunológico. Em determinadas formas, especialmente nas imunodeficiências combinadas graves, o transplante de células-tronco hematopoiéticas (TCTH) é a única intervenção potencialmente curativa, decisiva para a sobrevida e a qualidade de vida. Este estudo teve como objetivo descrever o perfil epidemiológico de pacientes com EII e indicação de TCTH acompanhados em um centro de referência. **Métodos:** Estudo retrospectivo, observacional, baseado em registros eletrônicos hospitalares e no banco nacional de receptores de medula óssea (REREME), envolvendo pacientes acompanhados entre 2011 e 2025 (14 anos) com indicação formal de TCTH. **Resultados:** Foram incluídos 42 pacientes, 76% do sexo masculino, mediana de idade de 1 ano (0–16). Desses, 57% (24) realizaram TCTH, sendo 71% (17) meninos, com mediana de idade ao procedimento de 0,7 anos (0–11) e tempo mediano de espera de 135 dias (22–1.571). As principais indicações foram SCID (17) — mutações ADA, JAK3, NOD2, ILR7 —, Síndrome de Wiskott-Aldrich (3), doença granulomatosa crônica (1), deficiência de receptor de IL-10 (1), deficiência de NFkB (1) e outras imunodeficiências combinadas (1). A mortalidade foi de 26% (6), principalmente por VOD e infecção por CMV. Entre os 43% (18) não transplantados, 5 perderam seguimento e 5 evoluíram a óbito antes da realização. Oito permaneciam em busca de doador compatível ou fora da faixa etária, com mediana de espera de 1.769 dias (67–1.862), período anterior à ampla adoção dos transplantes haploidentícos (2018) e à implantação da triagem neonatal (2021) no país. **Conclusão:** O TCTH é pilar terapêutico nos EII graves. O atraso diagnóstico e a escassez de doadores compatíveis comprometem a sobrevida. Medidas para detecção precoce e ampliação do acesso a centros especializados são cruciais para melhores desfechos.

1. UNIFESP - São Paulo - SP - Brasil.

* Trabalho finalista do Prêmio de Incentivo à Pesquisa - Imunologia.