HEMOGLOBINÚRIA PAROXÍSTICA NOTURNA: BUSCA POR NOVAS ALTERNATIVAS DE TRATAMENTO

Autor(res)

Fernando Licio Tamiarana Dias
Jaianny De Sousa Camilo

Categoria do Trabalho

Pesquisa

Instituição

FACULDADE ANHANGUERA DE VALPARAÍSO DE GOIÁS

Resumo

A Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) é uma doença hematológica clonal rara e não maligna resultante da deficiência de proteínas ancoradas ao glicosilfosfatidilinositol (GPI-APs) do complemento devido às somáticas mutações no gene PIGA. A ausência dessas proteínas na membrana das células hematopoiética torna essas células vulneráveis à hemólise intravascular mediada por complemento. As manifestações clínicas da HPN são anemia hemolítica, insuficiência da medula óssea e tendência à trombose, combinadas essas manifestações contribuem para a alta mortalidade e morbidade associadas à doença. O tratamento da HPN é baseado no eculizumabe e o navulizumabe, anticorpos monoclonais (AM) que atuam na inibição da proteína C5 do complemento. Mesmo eficazes alguns pacientes necessitam de a transfusão sanguínea ou suplementação de vitaminas ou ferro. O objetivo deste estudo é analisar aspectos importantes da HPN com foco nas novas alternativas e perspectivas terapêuticas de tratamento. Trata-se de uma revisão bibliográfica realizada no banco de dados científicos, PUBMED, com artigos científicos publicados entre 2020 a 2025 em português ou inglês. Os AM com atuação na inibição do complemento revolucionaram o tratamento da HPN. Com sua eficácia na redução de hemólise intravascular e eventos trombóticos, o eculizumabe foi o primeiro anti-C5 aprovado, porém a sua curta meia-vida e posologia frequente motivaram o desenvolvimento de novos fármacos, como o Ravulizumabe. Este atua prolongando a ação anti-C3 com esquemas mais convenientes, entretanto a hemólise extravascular mediada por C3 permanece sendo uma limitação, levando ao surgimento de inibidores proximais. Na busca por novas terapias eficazes surgem novos nomes como Pegcetacoplan (anti-C3) mostrando-se superior ao eculizumabe em ensaios clínicos. Inibidores da via alternativa, como danicopan, vemircopan e iptacopan, demonstraram eficácia em monoterapia ou combinados a anti-C5, com potencial para controle mais amplo da hemólise e melhora hematológica. Essas novas alternativas podem transformar a terapêutica da HPN e torná-la mais ampla. Por fim, o desenvolvimento de novas terapias para HPN, como os inibidores da via alternativa do complemento e de C3 podem ampliar as opções além dos anti-C5, podendo oferecer, desta maneira, um melhor controle da hemólise e uma maior eficácia clínica.