



Bibliografía más relevante sobre PTI de enero-febrero 2024

Prednisone vs high-dose dexamethasone in newly diagnosed adult primary Immune Thrombocytopenia: a randomised trial

[Maria Gabriella Gabriella Mazzucconi¹](#), [Francesco Rodeghiero²](#), [Giuseppe Avvisati³](#), [Valerio De Stefano⁴](#), [Luigi Gugliotta⁵](#), [Marco Ruggeri⁶](#), [Nicola Vianelli⁷](#), [Paola Fazi⁸](#), [Francesca Paoloni⁹](#), [Valeria Sargentini¹⁰](#), [Erminia Baldacci¹¹](#), [Antonietta Ferretti¹²](#), [Bruno Martino¹³](#), [Iolanda Donatella Vincelli¹⁴](#), [Giuseppe Carli¹⁵](#), [Stefania Fortuna¹⁶](#), [Mauro Di Ianni¹⁷](#), [Paola Ranalli¹⁸](#), [Francesca Palandri¹⁹](#), [Nicola Polverelli²⁰](#), [Elisabetta Lugli²¹](#), [Elena Rivolti²²](#), [Andrea Patriarca²³](#), [Angela Rago²⁴](#), [Mariella D'Adda²⁵](#), [Massimo Gentile²⁶](#), [Sergio Siragusa²⁷](#), [Silvia Sibilla²⁸](#), [Angelo Michele Carella²⁹](#), [Elena Rossi³⁰](#), [Roberta Battistini³¹](#), [Francesco Zaja³²](#), [Monica Bocchia³³](#), [Nicola Di Renzo³⁴](#), [Pellegrino Musto³⁵](#), [Monica Crugnola³⁶](#), [Anna Chiara Giuffrida³⁷](#), [Mauro Krampera³⁸](#), [Agostino Tafuri³⁹](#), [Cristina Santoro⁴⁰](#) DOI: [10.1182/bloodadvances.2023010975](https://doi.org/10.1182/bloodadvances.2023010975)

Hoy en día persiste el debate sobre qué tipo de corticosteroides [prednisona a dosis estándar (PDN) o dexametasona a dosis altas (HD-DXM)] es el mejor tratamiento de primera línea para pacientes adultos con trombocitopenia inmune primaria (pITP) recién diagnosticada.

Este estudio ad hoc comparó la PDN con la HD-DXM en pacientes adultos con pITP recién diagnosticada (>18<80 años, recuento de plaquetas <20x10⁹/L o >20<50x10⁹/L y puntuación de hemorragia >8). Se aleatorizó a los pacientes para recibir PDN 1 mg/kg/día del día 0 al 28 (RAMA A) o HD-DXM 40 mg/día durante 4 días, cada 14 días, durante 3 ciclos consecutivos (RAMA B). A 59/113 pacientes (52,2%) se les asignó aleatoriamente a la RAMA A, y a 54/113 (47,8%) a la RAMA B. En los pacientes evaluables, las respuestas iniciales totales [Respuesta Completa (RC), Respuesta Parcial (RP), Respuesta Mínima (RM)] fueron 44/56 (78,57%) en la RAMA A, y 46/49 (93,88%) en la RAMA B a los días 42 y 46, respectivamente (P=0,0284). Las respuestas finales totales (RC+PR+RM en el día 180 desde la respuesta inicial) fueron 26/43 (60,47%) RAMA A y 23/39 (58,97%) en la RAMA B (P=0,8907). Las respuestas persistentes (RC+PR+RM, a los 12 meses de la respuesta inicial), fueron 25/31 (80,65%) en la RAMA A y 20/36 (55,56%) en la RAMA B (P=0,0292). Se produjeron siete recaídas: 2 en la RAMA A, 5 en LA RAMA B. La mediana de seguimiento fue de 44,4 meses. La supervivencia global fue del 100% a los 48 meses, la supervivencia global libre de enfermedad fue del 81,11% a los 48 meses desde el día 180. La prednisona y la HD-DXM fueron bien toleradas. Conclusión: la HD-DXM permite respuestas iniciales eficaces, pero menos duraderas que la PDN. El Protocolo GIMEMA ITP 0207-EudraCT número 2008-000417-30, se registró en ClinicalTrials.gov #NCT00657410.



Table 7. Response to therapy

		ARM A Day 42 (56 evaluable pts)	ARM B Day 46 (49 evaluable pts)	P-value
Initial response	<i>CR+PR+MR</i>	44 (78.57%)	46 (93.88%)	0.0284
	<i>NR</i>	12 (21.43%)	3 (6.12%)	
		ARM A Day 180* (43 evaluable pts)	ARM B Day 180** (39 evaluable pts)	
Final response	<i>CR+PR+MR</i>	26 (60.47%)	23 (58.97%)	0.8907
	<i>Loss of response + NR</i>	17 (39.53%)	16 (41.03%)	
		ARM A 12 months* (31 evaluable pts)	ARM B 12 months** (36 evaluable pts)	
Persistent response	<i>CR+PR+MR</i>	25 (80.65%)	20 (55.56%)	0.0292
	<i>NR</i>	6 (19.35%)	16 (44.40%)	

Avatrombopag for adults with early versus chronic immune thrombocytopenia

[Zain M Virk¹](#), [Rebecca K Leaf^{2,3}](#), [David J Kuter^{2,3}](#), [Katayoon Goodarzi^{2,3}](#), [Nathan T Connell^{3,4,5}](#), [Jean M Connors^{3,4,5}](#), [Hanny Al-Samkari^{2,3}](#) DOI: [10.1002/ajh.27080](https://doi.org/10.1002/ajh.27080)

El avatrombopag es un nuevo agonista del receptor de la trombopoyetina (AR-TPO) aprobado para tratar la trombocitopenia inmune (PTI) crónica, definida como una duración de más de 12 meses. Sin embargo, hasta la fecha, no se ha evaluado su seguridad y eficacia en pacientes con PTI recién diagnosticada (menos de 3 meses de duración) o persistente (de 3 a 12 meses de duración). Por lo tanto, su uso en estos grupos de pacientes no está autorizado en todo el mundo.

Se incluyeron 75 pacientes en total, de los cuales 23 tenían PTI recién diagnosticada/persistente (con una duración media de tratamiento con avatrombopag de 17,7 pacientes-año) y 52 tenían PTI crónica (con una duración media de tratamiento con avatrombopag de 65,3 pacientes-año).

Los resultados mostraron que el 91% de los pacientes con PTI recién diagnosticada/persistente y el 96% de los pacientes con PTI crónica alcanzaron una respuesta plaquetaria ($\geq 50 \times 10^9 /L$) con avatrombopag. Además, el 86% y el 81% de los pacientes en estos grupos, respectivamente, alcanzaron una respuesta completa ($\geq 100 \times 10^9 /L$). La mediana del recuento de plaquetas con avatrombopag fue similar en ambos grupos ($165 \times 10^9 /L$ frente a $129 \times 10^9 /L$). La durabilidad de la respuesta fue alta y similar en ambos grupos.

En cuanto a la seguridad, ningún paciente con PTI recién diagnosticada/persistente experimentó un evento hemorrágico grave, un evento tromboembólico o tuvo que interrumpir el tratamiento con avatrombopag debido a eventos adversos, en comparación con 4, 1 y 2 eventos respectivamente, en el grupo de PTI crónica. La incidencia de trombocitosis (plaquetas $\geq 400 \times 10^9 /L$) fue similar en ambos grupos, y no se observaron otros eventos adversos relacionados con el fármaco en ninguno de los dos grupos.



En resumen, avatrombopag demostró ser seguro y eficaz en pacientes con PTI recién diagnosticada y persistente, con resultados numéricos, estadísticos y clínicos similares a los de los pacientes con PTI crónica tratados con avatrombopag.

Sustained response off-treatment in eltrombopag-treated adult patients with ITP who are refractory or relapsed after first-line steroids: Primary, final, and ad-hoc analyses of the Phase II TAPER trial

[Nichola Cooper¹](#), [Waleed Ghanima^{2,3}](#), [Nicola Vianelli⁴](#), [David Valcárcel⁵](#), [İrfan Yavaşoğlu⁶](#), [Anait Melikyan⁷](#), [Eduardo Yañez Ruiz⁸](#), [Jens Haenig⁹](#), [Olivier Somenzi⁹](#), [James Lee¹⁰](#), [Joan Clark⁹](#), [Yifan Zhang¹⁰](#), [Francesco Zaja^{11,12}](#) DOI: [10.1002/ajh.27131](https://doi.org/10.1002/ajh.27131)

El estudio TAPER (NCT03524612) es un estudio de fase II, prospectivo, de un solo brazo, que investigó si eltrombopag puede inducir una respuesta sostenida fuera de tratamiento (SRoT) en pacientes adultos con PTI después del fracaso de los corticosteroides de primera línea. Este estudio define la SRoT como un periodo SIN tratamiento en el que el recuento de plaquetas se mantiene por encima de 30×10^9 /L en ausencia de hemorragia o terapia de rescate. El criterio de valoración primario fue la proporción de pacientes que alcanzaron la TSr hasta el mes 12, que fue del 30,5% (n = 32/105; p < 0,0001 en la prueba de la hipótesis H1: proporción >15%) tras la reducción e interrupción del eltrombopag, y la mediana de la duración de la TSr fue de ~8 meses hasta el mes 12. El recuento de plaquetas aumentó dentro de los tres meses siguientes a la interrupción del eltrombopag. La calidad de vida mejoró y los eventos adversos más frecuentes fueron cefalea (21%). No hubo muertes relacionadas con el tratamiento. Eltrombopag mostró eficacia similar en pacientes recién diagnosticados y en estadios avanzados de PTI. En el seguimiento hasta los 24 meses, la mediana de duración de la PTI fue de ~22 meses y el perfil de seguridad fue consistente en todos los grupos de duración de la PTI.

Thrombosis in patients with immune thrombocytopenia: incidence, risk, and clinical outcomes

[Isaac Goncalves¹](#), [Cameron Lewis¹](#), [Brian Grainger¹](#), [Rebecca Dring¹](#), [Nora Lee^{1,2}](#), [Sant-Rayn Pasricha¹](#), [Jeffrey Szer¹](#), [Kylie Mason¹](#)

- PMID: [PMC10912689](https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/3712689/) DOI: [10.1016/j.rpth.2024.102342](https://doi.org/10.1016/j.rpth.2024.102342)

Este estudio retrospectivo evaluó la incidencia y el impacto de los factores de riesgo de tromboembolismo arterial y venoso (TEV) en pacientes con trombocitopenia inmune (PTI), así como las características clínicas y el tratamiento de estos pacientes. Se observó que un 11,8% de los pacientes presentaron eventos trombóticos, siendo el 78% TEV y el 22% tromboembolismo arterial. La tasa de incidencia de trombosis fue de 2,71 por 100 personas-año, con mayor riesgo asociado a la edad, PTI secundaria, líneas de tratamiento, factores de riesgo de trombosis y tratamiento con agonistas del receptor de la trombopoyetina. La mayoría de los pacientes (96%) tenían buen control de la PTI antes del diagnóstico de trombosis, y el tratamiento antitrombótico fue efectivo y bien tolerado. Estos hallazgos resaltan la importancia del diagnóstico de trombosis en pacientes con PTI, especialmente en aquellos de edad



avanzada con PTI secundaria multitratada y en tratamiento con agonistas de los receptores de la trombopoyetina.

TNF α -308G>A Polymorphism and Susceptibility to Immune Thrombocytopenia Purpura (ITP): Evidence from a Systematic Review and Meta-analysis

[Seyyede Fatemeh Shams¹](#), [Hassan Mehrad-Majd²](#) DOI: [10.1016/j.cyto.2024.156538](https://doi.org/10.1016/j.cyto.2024.156538)

La relación entre la aparición de la PTI y la presencia del polimorfismo TNF- α 308G/A en los individuos implicados ha sido estudiada por investigadores anteriores en diferentes etnias, pero no se obtuvo un resultado definitivo. Este meta-análisis se realizó con el objetivo de encontrar una respuesta absoluta a la pregunta de si el polimorfismo TNF- α -308G/A es un factor de susceptibilidad para la PTI o no.

Resultados: se analizaron 16 estudios con 1470 casos de PTI y 2324 controles sanos. Los resultados indican que el polimorfismo está asociado con un mayor riesgo de PTI en modelos genéticos recesivo, dominante y heterocigoto. Este riesgo es especialmente notable en la población caucásica y en el subtipo crónico de la enfermedad. Se sugiere que este hallazgo puede ser útil en ensayos clínicos para prevenir las consecuencias de la PTI, aunque se necesitan más estudios para tomar decisiones clínicas definitivas.

Efficacy and safety of avatrombopag in Chinese children with persistent and chronic primary immune thrombocytopenia: A multicentre observational retrospective study in China

[Zhifa Wang¹](#), [Aijun Zhang²](#), [Zhongjin Xu³](#), [Nan Wang⁴](#), [Jialu Zhang¹](#), [Jinxi Meng¹](#), [Shuyue Dong¹](#), [Jingyao Ma¹](#), [Yu Hu¹](#), [Juntao Ouyang⁵](#), [Zhenping Chen⁵](#), [Qi An⁶](#), [Xiaoling Cheng⁴](#), [Runhui Wu¹](#)

DOI: [10.1111/bjh.19342](https://doi.org/10.1111/bjh.19342)

Avatrombopag (AVA) es un nuevo agonista del receptor de trombopoyetina (TPO-RA) que ha sido aprobado recientemente como terapia de segunda línea para la trombocitopenia inmune (PTI) en adultos; sin embargo, faltan datos sobre su seguridad y eficacia en niños.

Se trata de un estudio multicéntrico, retrospectivo y observacional en niños con PTI persistente o crónica que no respondieron o tuvieron recaídas con tratamientos anteriores y fueron tratados con AVA durante al menos 12 semanas entre agosto de 2020 y diciembre de 2022. La evaluación de las respuestas fue definida como alcanzar un recuento de plaquetas $\geq 30 \times 10^9 /L$, un aumento en el recuento de plaquetas al menos dos veces mayor que el valor inicial y ausencia de sangrado, incluyendo respuesta rápida dentro de las 4 semanas, respuesta sostenida a las semanas 12 y 24, control del sangrado y eventos adversos (EAs).

Se incluyeron 34 pacientes (18 varones) con una edad media de 6,3 (rango: 1,9-15,3) años. La mediana del número de tipos de tratamiento previos fue de cuatro (rango: 1-6), y el 41,2% de los pacientes cambiaron de otros TPO-RAs. Dentro de las 4 semanas, la respuesta global (OR) se alcanzó en el 79,4% de los pacientes y la respuesta completa (RC, definida como un recuento de plaquetas $\geq 100 \times 10^9 /L$ y ausencia



de sangrado) en el 67,7% de los pacientes con un tiempo de respuesta mediano de 7 (rango: 1-27) días. A las 12 semanas, la OR se logró en el 88,2%, la RC en el 76,5% y la respuesta sostenida en el 44% de los pacientes. A las 24 semanas, se evaluaron 22/34 (64,7%) pacientes que lograron una respuesta y fueron seguidos durante 24 semanas; 12/22 (54,55%) lograron una respuesta sostenida. Durante la terapia con AVA, los recuentos medianos de plaquetas aumentaron en la primera semana y se mantuvieron durante todo el período de tratamiento. La proporción de pacientes con sangrado de grado 1-3 disminuyó del 52,95% en el inicio al 2,94% a las 12 semanas, mientras que los medicamentos concomitantes para la PTI disminuyeron del 36,47% en el inicio al 8,82% a las 12 semanas, con solo 9 (26,47%) pacientes recibiendo terapia de rescate 23 veces dentro de las 12 semanas. Hubo 61,8% de pacientes con 59 EA: 29,8% con grado 1 del Criterio Común de Terminología para Eventos Adversos y el resto con grado 2.

Conclusión: estos hallazgos muestran que AVA podría lograr una respuesta rápida y sostenida en niños con PTI persistente o crónica como tratamiento de segunda línea, con buen control clínico del sangrado y reducción de la terapia concomitante para la PTI, sin EA significativos.