



Bibliografía más relevante sobre PTI de noviembre-diciembre 2023

1.- Zhou H, Han S, Jin J, Huang R, Guo X, Shen X, Wang B, Wang X, Yao H, Du X, Huang M, Ran X, Wang W, Yang T, Zhang F, Zheng C, Zuo X, Fu R, Gao D, Ge Z, Han Y, Li Y, Kang X, Shi Y, Hou M. **Efficacy and safety of QL0911 in adult patients with chronic primary immunethrombocytopenia: A multicenter, randomized, double-blind, placebo-controlled, phase III trial.** *J Transl Int Med.* 2023 Dec 20;11(4):423-432. doi: 10.2478/jtim-2023-0106. eCollection 2023 Dec. PMID: 38130645

Objetivo: QL0911, es un biosimilar de romiplostim (Nplate®) utilizado para tratar la trombocitopenia inmune primaria (PTI). Este estudio de fase III tuvo como objetivo evaluar la eficacia y seguridad de QL0911 en pacientes adultos con PTI primaria crónica durante un período de tratamiento de 24 semanas.

Conclusión: QL0911 fue bien tolerado y aumentó y mantuvo los recuentos plaquetarios en adultos con PTI. Puede ser una nueva opción de tratamiento para los pacientes con PTI que han fracasado o han recaído del tratamiento de primera línea en China.

2.- Lambert C, Maitland H, Ghanima W. **Risk-based and individualised management of bleeding and thrombotic events in adults with primary immune thrombocytopenia (ITP).** *Eur J Haematol.* 2023 Dec 13. doi: 10.1111/ejh.14154. Online ahead of print. PMID: 38088207 Review.

Artículo de revisión del riesgo de sangrado y trombosis en los pacientes con PTI y los factores que intervienen: cifra de plaquetas, edad, comorbilidades..... para recalcar que:

- Se necesita más investigación para aumentar la concienciación y desarrollar directrices estandarizadas basadas en la evidencia.
- Es esencial perfilar el riesgo individual de un paciente, utilizando un enfoque personalizado y centrado en el paciente.
- La educación integral del paciente también debe formar parte del manejo del paciente para garantizar que los pacientes sean conscientes de los síntomas de hemorragia y trombosis, y que se sientan capacitados para hablar sobre su propio tratamiento y atención con sus profesionales de la salud.
- Las mujeres con PTI pueden requerir una atención específica a sus riesgos de sangrado y trombosis

3.- Virk ZM, Leaf RK, Kuter DJ, Goodarzi K, Connell NT, Connors JM, Al-Samkari H. **Am J Avatrombopag for adults with early versus chronic immune thrombocytopenia.**

Hematol. 2023 Dec 8. doi: 10.1002/ajh.27080. Online ahead of print. PMID: 38063420

Objetivo: estudio observacional multicéntrico de cohorte de adultos con PTI tratados con avatrombopag, comparando los resultados de los pacientes por fase de la enfermedad (recién diagnosticada/persistente versus crónica).



Conclusión: Avatrombopag fue seguro y eficaz en pacientes con PTI persistente y recién diagnosticada, con resultados numérica, estadística y clínicamente similares a los pacientes que recibieron avatrombopag para PTI crónica.

4.- [Rottenstreich A, Bussel JB. Treatment of immune thrombocytopenia during pregnancy with thrombopoietin receptor agonists. Br J Haematol. 2023 Dec; 203\(5\):872-885. doi: 10.1111/bjh.19161. Epub 2023 Oct 13.PMID: 37830251 Review.](#)

Artículo de revisión:

- Los TPO-RA no están aprobados para su uso durante el embarazo debido a la ausencia de evidencia y a la preocupación por los posibles efectos en el feto.
- Esta revisión exhaustiva examina la seguridad y eficacia de la TPO-AR en 45 embarazos de mujeres con PTI (romiplostim n = 22; eltrombopag n = 21; ambos en el mismo embarazo n = 2).
- Se observó una respuesta plaquetaria ($>30 \times 10^9 /L$) en el 86,7% de los casos (incluyendo una respuesta completa $>100 \times 10^9/L$ en el 66,7%) y fue similar entre eltrombopag y romiplostim (87,0% y 83,3%, $p = 0,99$).
- El perfil de seguridad materna fue favorable, sin eventos tromboembólicos. Se observó trombocitopenia neonatal en un tercio de los casos, con un caso de ICH grado 3, y trombocitosis neonatal en tres casos. No se observaron otros eventos adversos neonatales atribuibles a los AR-TPO.
- Esta revisión indica que el uso de TPO-AR durante el embarazo se asocia con una alta tasa de respuesta y parece seguro. Sin embargo, la TPO-AR no debe utilizarse de forma rutinaria durante el embarazo y debe evitarse en el primer trimestre hasta que se acumulen más pruebas

5.- [Barlassina A, González-López TJ, Cooper N, Zaja F. European Delphi panel to build consensus on tapering and discontinuing thrombopoietin receptor agonists in immune thrombocytopenia. Platelets. 2023 Dec;34\(1\):2170999. doi: 10.1080/09537104.2023.2170999. Epub 2023 Feb 21.PMID: 36803535. Review.](#)

Artículo de revisión con la metodología Delphi respecto a la reducción gradual y discontinuación de los TPO-AR, se centran en 3 categorías:

- Selección de pacientes.
- Estrategias de reducción gradual y discontinuación.
- Manejo posterior a la interrupción.

6.- [Muluken Walle, Mesay Arkew, Haftu Asmerom, Addisu Tesfaye, Fasil Getu F. The diagnostic accuracy of mean platelet volume in differentiating immune thrombocytopenic purpura from hypo-productive thrombocytopenia: A systematic review and meta-analysis. PLoS One. 2023 Nov 30;18\(11\):e0295011. doi: 10.1371/journal.pone.0295011. eCollection 2023.PMID: 38033118](#)

Objetivo: investigar el valor del VPM como diagnóstico diferencial entre la PTI y la trombocitopenia de origen central.

Métodos y Resultados: Un total de 14 artículos fueron incluidos en esta revisión sistemática y meta-análisis. El VPM aumenta significativamente en los pacientes con



PTI en comparación con los pacientes con trombocitopenia de origen central. La sensibilidad y la especificidad del VPM para diferenciar la PTI de la trombocitopenia de origen central fueron del 76,0% y del 79,0%, respectivamente

Conclusión: El VPM puede ser útil para discriminar la PTI de la trombocitopenia de origen central.

7.- Kashiwagi H, Kuwana M, Murata M, Shimada N, Takafuta T, Yamanouchi J, Kato H, Hato T, Tomiyama Y; Committee for Reference Guide for diagnosis of adult ITP Research Team for Coagulopathy and Other Intractable Diseases supported by the Ministry of Health, Labor and Welfare Science Research Grant Project: Research on Health Care Policy for Intractable Diseases. **Reference guide for the diagnosis of adult primary immune thrombocytopenia, 2023 edition.** *Int J Hematol.* 2023 Nov 13. doi: 10.1007/s12185-023-03672-1. Online ahead of print. PMID: 37957517

Guías Japonesas sobre el diagnóstico en la PTI.

Ya no se habla de diagnóstico de exclusión sino ya de unos criterios diagnósticos.

Destacaría este artículo si se confirma su utilidad diagnóstica

Table 1 Diagnostic criteria

1. ALL of the following* ¹ Thrombocytopenia (<100,000/ μ L) Absence of anemia (excluding anemia due to bleeding and/or iron deficiency) Normal leukocyte count (but may present with mild abnormal leukocyte count) No morphological evidence of dysplasia in any blood cell type in a blood smear
2. Normal or slightly increased plasma TPO level (< cutoff)** ²
3. Elevated percentage of immature platelet fraction (RP% or IPP%); > ULN
4. Absence of other conditions that potentially cause thrombocytopenia including secondary ITP** ³
ULN upper limit of normal
A diagnosis of ITP is made if conditions 1–4 above are all met
Cases in which criterion 2 or 3 is not met or unavailable are defined as “possible ITP”. A diagnosis of ITP can be made if the patient is a glycoprotein (GP)-specific platelet-antibody positive, increased GP-specific platelet antibody-producing B cells, or typical clinical course

Bibliografía más relevante sobre PTI en el congreso de ASH-diciembre 2023

A.- Sesiones orales

Zain Virk, MD, Rebecca Karp Leaf, MD, David J Kuter, MD, DPhil, Katayoon Goodarzi, MD, Nathan T. Connell, MD, MPH, Jean M. Connors, MD and Hanny Al-Samkari, MD
392 Avatrombopag for Adults with Early Versus Chronic Immune Thrombocytopenia
Resumen: es el poster de un artículo anterior ya comentado: *Hematol.* 2023 (ver nº 3)

Elizabeth King, PharmD, Uzo Abajue, PharmD, Amanda Pawlenty, PharmD, Huong Lan Truong, PharmD, Sabrina Fischer, PharmD, Alexandra P. Wolanskyj-Spinner, MD⁴ Rajiv



K. Pruthi, M.B.B.S., Carl C. Hook, MD, Animesh D. Pardanani, MBBS, PhD, Aneel Ashrani, MBBS, MSc, Ewa Wysokinska, MD, Surbhi Shah, MD and Ronald S. Go, MD

393 High Patient Outcomes after Initial High Dose Versus Low Dose Romiplostim for Inpatient Management of Immune Thrombocytopenia

Resumen: Hubo un aumento significativo de la incidencia de trombosis en los pacientes ingresados con PTI que recibieron dosis iniciales de romiplostim ≥ 5 mcg/kg, sin diferencias en el tiempo hasta la respuesta plaquetaria. Se debe considerar cuidadosamente los riesgos frente a los beneficios antes de iniciar el tratamiento con romiplostim a dosis superiores a las dosis recomendadas.

Catherine M. Broome, MD, Vickie McDonald, MD, PhD, FRPATH, MRCP, Yoshitaka Miyakawa, MD, Monica Carpenedo, MD, David J Kuter, MD, DPhil, Hanny Al-Samkari, MD⁷, James B. Bussel, MD, Anna Hultberg, PhD, Filip Matthijssens, PhD, Jaume Ayguasanosa, MD, Kristof De Beuf, PhD, Francesco Rodeghiero, MD, Marc Michel and Adrian Newland, FRCP.

689 Time to Achieve Platelet Count Response after Intravenous Efgartigimod in Adults with Primary Immune Thrombocytopenia: A Phase 3, Multicenter, Double-Blinded, Placebo-Controlled, Randomized Clinical Trial (ADVANCE IV)

Resumen: Ensayo multicéntrico doble ciego: ADVANCE IV, donde se asignó a 131 pacientes adultos (con PTI persistente o crónica) 2:1 a recibir efgartigimod o placebo (NCT04188379) durante 26 semanas. Los datos de este estudio demuestran respuestas tempranas y sostenidas con Efgartigimod (EFG) en la PTI.

Taylor Olmsted Kim, MD, Brandon Lucari, MD, Derek Macmath, MD and Amanda B. Grimes, MD.

804 High Titer ANA at Pediatric ITP Presentation Associated with Progression to Systemic Lupus Erytematosus

Resumen: Los títulos altos de ANA se asocian con el desarrollo de LES en pacientes pediátricos con PTI. Los pacientes con un título alto de ANA al diagnóstico de la PTI pueden justificar un seguimiento más estrecho para controlar la progresión a una enfermedad autoinmune sistémica. Este subgrupo de pacientes con PTI podría beneficiarse de una utilización más temprana de terapia dirigida al LES, como la hidroxicloroquina.

B.- 2023 Annual Meeting: Poster Bundle - Thrombosis and Coagulation

311. DISORDERS OF PLATELET NUMBER OR FUNCTION: CLINICAL AND EPIDEMIOLOGICAL: POSTER I

1214. Presenter: Hirokazu Kashiwagi, MD. Proposal of new diagnostic criteria for primary immune thrombocytopenia



Resumen: es el poster de un artículo anterior ya comentado: Int J Hematol. 2023 (ver nº 7)

311. DISORDERS OF PLATELET NUMBER OR FUNCTION: CLINICAL AND EPIDEMIOLOGICAL: POSTER II

2596. Presenter: Maria Eva Mingot Castellano, MD, PhD. Avatrombopag plus fostamatinib combination efficacy and safety in patients with immune thrombocytopenia.

Resumen: Estudio retrospectivo, multicéntrico, internacional, observacional, no intervencionista en pacientes diagnosticados de PTI primaria. Se incluyeron pacientes que no habían alcanzado las plaquetas $>30 \times 10^9/L$ después de al menos dos semanas de tratamiento con 40 mg diarios de Avatrombopag, y se prescribió Fostamatinib en combinación en estas circunstancias. Esta combinación ha demostrado ser efectiva y segura en los pacientes que no responden de forma adecuada a los TPO-RA

311. DISORDERS OF PLATELET NUMBER OR FUNCTION: CLINICAL AND EPIDEMIOLOGICAL: POSTER III

3956. Presenter: Analy Mora. Should we screen all the immune thrombocytopenia patients for helicobacter pylori infection in high-prevalence countries?.

Resumen: No encuentran relación con la presencia de H. pylori y el recuento de plaquetas o síntomas gastrointestinales, por lo que el cribado debe considerarse independientemente de estos aspectos. No se puede evaluar el impacto del tratamiento de H. pylori en las respuestas de la PTI porque todos los pacientes reciben tratamiento de erradicación, pero la estrategia de cribado y tratamiento si es positivo se asocia con tasas de recaída más bajas.