



## **Bibliografía más relevante sobre PTI de noviembre-diciembre 2025**

[ASH Updated Draft Recommendations on Treatment of Adult Immune Thrombocytopenia \(ITP\)](#)  
© 2025 American Society of Hematology

Estas recomendaciones preliminares no son definitivas y, por lo tanto, hay que esperar a que se publiquen las guías definitivas.

### Ianalumab plus Eltrombopag in Immune Thrombocytopenia

Dr. Adam Cuker , Dr. Thomas Stauch , Dr. Nichola Cooper , Dr. Hanny Al – Samkari,  
Marc Michel , MD , Waleed Ghanima , MD, Ph.D. , Patrick Urban , MD, Ph.D.  
DOI: [10.1056/NEJMoa2515168](https://doi.org/10.1056/NEJMoa2515168)

Ianalumab (VAY736) es un nuevo anticuerpo monoclonal completamente humano que se está investigando por su potencial para tratar varias enfermedades autoinmunes impulsadas por células B. Su mecanismo de acción se dirige a las células B de dos maneras, combinando el agotamiento de células B a través de la toxicidad celular dependiente de anticuerpos (CCDA) y la interrupción de las señales mediadas por BAFF-R de la función y supervivencia de las células B.

El estudio evaluó el Ianalumab en adultos con PTI primaria que presentaron una respuesta inadecuada o recaída tras el tratamiento con corticosteroides de primera línea, con o sin IgIV, y requirieron tratamiento de segunda línea. Los participantes con recuentos plaquetarios inferiores a  $30 \times 10^9/L$  fueron aleatorizados en una proporción 1:1:1 para recibir eltrombopag más Ianalumab 9 mg/kg, 3 mg/kg o placebo. Se administró Ianalumab o placebo en 4 infusiones intravenosas mensuales junto con eltrombopag diario durante 16 semanas, seguidas de una reducción gradual de la dosis de eltrombopag durante 8 semanas.

El criterio de valoración principal del estudio fue el tiempo transcurrido hasta el fallo del tratamiento (TTF).

Al actuar sobre la vía BAFF, Ianalumab en combinación con eltrombopag no solo prolongó el tiempo hasta el fracaso del tratamiento y mejoró la respuesta plaquetaria estable a los 6 meses, sino que también favoreció la reducción gradual de la dosis de eltrombopag y redujo la fatiga, sin aumentar el riesgo de infección. Estos hallazgos sugieren que la intervención temprana con Ianalumab podría tener un efecto modificador de la enfermedad, alterar potencialmente la evolución natural de la PTI y ofrecer un avance significativo para los pacientes que necesitan una terapia de segunda línea eficaz.

### The prolong trial: A two Phase randomized placebo-controlled trial to optimize rituximab response with dexamethasone and maintenance therapy with low dose rituximab in immune thrombocytopenia (ITP) patients.

Waleed Ghanima, Doaa Demerdash, Henrik Frederiksen, James Bussel, Galina Tsykunova, Marc Michel, Hoa Tran, Carina Nassar, Bernadette Darne, Eirik Tjønnfjord, Tor Henrik Tvedt, Fehmi M'Sadek, Mervat Mattar, Abderraheem Khelif, Pål Holme.

*Blood*. Volumen 146, Suplemento 1 ,3 de noviembre de 2025, Página 736  
<https://doi.org/10.1182/sangre-2025-1253>

**Métodos** PROLONG fue un estudio prospectivo, multicéntrico, internacional, de dos fases, doblemente aleatorizado (NCT03010202), que comenzó en enero de 2017 y se completó en diciembre de 2024. Los pacientes fueron reclutados de 17 centros en 5 países (Noruega, Túnez, Egipto, Francia, Dinamarca). La 1ª fase (de inducción) fue abierta con aleatorización 1:1 en:



Rituximab (R) 1000 mg los días 1 y 15 frente a rituximab + 2 ciclos de DXM (20 mg diarios durante 4 días) los días 1 y 15. La 2ª fase (de mantenimiento) fue una aleatorización doble ciego, 1:1 de los que respondieron en la fase de inducción, a mantenimiento con rituximab 500 mg o placebo (volumen equivalente de NaCl iv al 0,9 %) en las semanas 0 y 24 después de la aleatorización.

**Conclusiones:** En pacientes con PTI de menos de un año de evolución que presentaron una respuesta inadecuada al tratamiento con CS, la adición de una dosis moderada de DXM a R mejoró sustancialmente la respuesta inicial en comparación con R sola y retrasó el tiempo hasta el primer sangrado.

Los datos preliminares de la fase de mantenimiento se presentaron en este ASH, en resumen:

- Parece eficaz para prevenir recaídas tempranas y prolongar las remisiones
- No se alcanzó la significación estadística, probablemente debido al poder limitado del estudio
- Mostró seguridad y tolerabilidad aceptable
- Se necesitan más datos para instaurar el tratamiento de mantenimiento e identificar el régimen de tratamiento óptimo.

[A multicenter, randomized, open-label study of dexamethasone versus romiplostim plus dexamethasone as first line treatment in patients with newly diagnosed immune thrombocytopenia: Interim results of rodex study.](#)

Maria Eva Mingot , Monica Carpenedo, Mariana Canaro Hinryk , Roberto Trelles, Laura Entrena Ureña, Jose Ramon Gonzalez Porras, Maria Cristina Pascual Izquierdo ...Charlotte Bradbury  
*Blood*. Volumen 146, Suplemento 1 ,3 de noviembre de 2025, Página 1263  
<https://doi.org/10.1182/sangre-2025-733>

**Métodos:** RODEX (ClinicalTrials.gov NCT05723326) es un ensayo clínico aleatorizado (1:1), abierto, de fase 3 que compara dexametasona (DEX) con dexametasona más romiplostim (ROM+DEX) como tratamiento de primera línea en adultos ( $\geq 18$  años) con diagnóstico reciente de PTI primaria y recuento plaquetario  $< 30 \times 10^9/L$ . Los pacientes recibieron dexametasona en monoterapia, 40 mg/día durante 4 días, hasta 3 ciclos, o bien un ciclo único de dexametasona seguido de romiplostim (Rom) subcutáneo semanal. El criterio de valoración principal es la respuesta sostenida sin tratamiento (SROT), definida como un recuento plaquetario  $\geq 50 \times 10^9/L$  sin tratamiento para la PTI ni rescate durante 6 meses. Los objetivos secundarios fueron la respuesta temprana, la tasa de recaídas, la seguridad y la calidad de vida.

**Conclusión:** Estos resultados provisionales sugieren que la combinación ROM+DEX SROT reduce el fracaso del tratamiento en comparación con la DEX como monoterapia como tratamiento de primera línea en la PTI de reciente diagnóstico. El régimen combinado parece seguro y mejor tolerado, posiblemente debido a la estabilización plaquetaria temprana y a la menor exposición a corticosteroides. Los resultados finales aclararán el efecto a largo plazo.

[Switching ITP patients to avatrombopag from other TPO-ras: A real-world experience of the spanish ITP group \(GEPTI\).](#)

Maria Cristina Pascual Izquierdo, Jose Maria Bastida, David Valcarcel, Blanca Sánchez González, Maria Eva Mingot, Mariana Canaro Hirnyk, ...María Teresa Alvarez-Román.  
*Blood*. Volumen 146, Suplemento 1 ,3 de noviembre de 2025, Página 1263  
<https://doi.org/10.1182/sangre-2025-1253>

**Objetivo:** Analizar la seguridad y eficacia del cambio de eltrombopag y romiplostim a avatrombopag (AVA) en una cohorte de pacientes con PTI en la práctica clínica reclutados por el Grupo Español de PTI (GEPTI).

**Conclusión:** Avatrombopag (AVA) es un fármaco seguro y eficaz para reemplazar otros ar-TPO en el tratamiento de la PTI, independientemente de si el cambio se debe a la preferencia del



paciente, a la mala tolerabilidad o a una respuesta inadecuada a alguno de los AR-TPOs previos. El éxito del uso de dosis bajas para mantener la respuesta a largo plazo nos invita a considerar el AVA como una primera opción cuando se programe el tratamiento de la PTI basado en ar-TPO.

[Real-world efficacy and safety of fostamatinib in ITP patients: Italian multicentre experience. GIMEMA ITP1122 study.](#)

Lucchini E, Vianelli N, Consoli U, Carli G, Carrai V, Carpenedo M, De Stefano V, Gaidano G, Palandri F, Auteri G, Rossi E, Patriarca A, Innao V, Marchesini G, Ballerini M, Rossetti MC, Mosini G, Sciancalepore P, Agnelli Giacchello J, Musto P, Rivolti E, Soverini G, Borchiellini A, Clissa C, Pane F, Galimberti S, Pavone V, Poloni A, Buccisano F, Musso M, Fazi P, Paoloni F, Gorreo Renzulli L, Zaja F.

Br J Haematol. 2025 Dec;207(6):2529-2538. doi: 10.1111/bjh.70069. Epub 2025 Aug 25. PMID: 40855761

Este estudio observacional retrospectivo y multicéntrico evaluó los resultados en la práctica clínica real en pacientes con PTI tratados con fostamatinib en Italia. El criterio de valoración principal, que sirve como indicador indirecto tanto de la eficacia como de la seguridad, fue la proporción de pacientes que recibieron fostamatinib durante al menos 6 meses. Se inscribieron 95 pacientes en 20 centros italianos, el 59 % eran mujeres, con una mediana de edad de 64 años (rango 21-86). La mediana de tiempo desde el diagnóstico de PTI hasta el inicio del tratamiento con fostamatinib fue de 7,7 años; la mediana del número de terapias previas fue de 4, incluyendo el 54 % de los pacientes que recibieron más de un agonista del receptor de trombopoyetina (AR-TPO) y el 23 % que se sometieron a esplenectomía. La tasa de respuesta global fue del 73 %, con un 32 % de RC. La mayoría de los pacientes (74%) obtuvieron una respuesta durante el primer mes. Respecto al criterio de valoración principal, el 45% de los pacientes recibieron fostamatinib durante 6 meses; la duración media del tratamiento fue de 7,3 meses. La principal causa de interrupción fue el fracaso del tratamiento (43%). Se notificaron 59 eventos adversos en 38 pacientes, en su mayoría de grado 1-2, lo que llevó a la interrupción del tratamiento con fostamatinib en el 8% de los pacientes. Estos datos de la práctica clínica confirman que fostamatinib es una opción eficaz y segura para la PTI recidivante/refractaria.

[Reduction in corticosteroid use with rilzabrutinib and sustained response in adults with persistent/chronic immune thrombocytopenia in the long-term extension period of the Phase 3 LUNA3 study.](#)

David Kuter, Lei Zhang, Waleed Ghanima, Yoshitaka Miyakawa, Yu Hu, David Gomez-Almaguer, Matias Cordoba, Marek Wardecki, Larissa Mege, Meredith Foster, Ahmed Daak, Howard Liebman

Blood. Volumen 146, Suplemento 1 ,3 de noviembre de 2025, Página 1260  
<https://doi.org/10.1182/sangre-2025-1260>

**Objetivo:** Se presentan los resultados actualizados basados en un seguimiento más prolongado del período de extensión a largo plazo del estudio LUNA3, con especial atención a los cambios en el uso concomitante de corticoides desde el inicio.

**Conclusión:** Rilzabrutinib continuó demostrando una respuesta plaquetaria sostenida y una mejoría en todos los síntomas relacionados con la PTI durante el período de extensión a largo plazo (LTE). La mayoría de los pacientes que recibieron corticoides concomitantes pudieron reducir o suspenderlos, manteniendo la respuesta plaquetaria. Rilzabrutinib continuó demostrando un perfil de seguridad favorable en pacientes con PTI. Estos hallazgos de LTE respaldan la eficacia de rilzabrutinib como terapia con efectos terapéuticos duraderos y



potencial ahorrador de esteroides, y subrayan aún más el potencial modificador de la enfermedad por la modulación inmune en pacientes con PTI.

#### [Immunomodulatory Mechanisms and Therapeutic Potential of Vitamin D in Immune Thrombocytopenia.](#)

Ma Y, Yao W, Lang H, Cheng Y, Ren R, Chen Y, Cheng S, Sun S, Guo Q, Chen S.

J Immunol Res. 2025 Dec 6;2025:5810208. doi: 10.1155/jimr/5810208.

PMCID: PMC12680920

**Objetivo:** Este estudio revisa sistemáticamente el estado actual de la investigación sobre la vitamina D (VD) en la PTI, destacando una estrecha asociación entre la deficiencia de VD y la patogénesis, la actividad de la enfermedad y la respuesta al tratamiento en pacientes con PTI. La deficiencia de VD es prevalente en pacientes con PTI, y los niveles séricos de VD se correlacionaron con la gravedad de los síntomas de sangrado y fatiga, así como con la respuesta al tratamiento. La vitamina D regula las funciones de las células inmunitarias, incluidas las de los linfocitos B, los linfocitos T y las células dendríticas (CD). Además, los polimorfismos del gen VDR parecen influir en la susceptibilidad a la PTI y en los resultados terapéuticos, lo que proporciona una base genética para enfoques de tratamiento personalizados. Sin embargo, existe una heterogeneidad significativa entre los estudios debido a las variaciones en el origen étnico, las exposiciones ambientales y la ubicación geográfica. La investigación actual sobre las intervenciones con VD en la PTI sigue siendo limitada, sin un consenso establecido con respecto a las estrategias de dosificación óptimas o la duración del tratamiento.

En **conclusión**, la VD es un compuesto natural con propiedades inmunomoduladoras y perfiles de seguridad favorables y podría ser un agente terapéutico prometedor para el manejo de la PTI.

#### SÍNDROME DE EVANS:

##### [Evans syndrome revisited.](#)

Jiang D, Kuter DJ.

Blood Rev. 2025 Nov;74:101322. doi: 10.1016/j.blre.2025.101322. Epub 2025 Jul

24.PMID: 40717001 Review.

Esta revisión resume el conocimiento actual sobre la fisiopatología, las características clínicas y las estrategias de manejo del síndrome de Evans, y analiza nuevas terapias que en el futuro podrían ser prometedoras para mejorar los resultados en estos pacientes.

##### [Clinical characteristics, treatment strategies, and response patterns in evans syndrome: Initial analysis from the spanish RESTI cohort](#)

Maria Eva Mingot , Elena Sebastián Pérez , Javier Bañon Soria , Daniel Martinez Carballeira, Isabel González-gascón-y-Marín , Reyes Jimenez Barcenas , Gonzalo Caballero Navarro, David Valcarcel , Maria Cristina Pascual Izquierdo.

Blood. Volumen 146, Suplemento 1 ,3 de noviembre de 2025, Página 1263

<https://doi.org/10.1182/sangre-2025-1260>

**Objetivo:** Describir las características clínicas, las modalidades de tratamiento y las respuestas hematológicas en una cohorte española de pacientes con síndrome de Evans inscritos en el registro nacional de PTI (RESTI).

**Conclusión:** Este análisis de RESTI destaca la heterogeneidad clínica y los desafíos terapéuticos en el síndrome de Evans. Los corticosteroides siguen siendo la primera línea de tratamiento, pero se asocian con respuestas incompletas o transitorias en muchos pacientes. Rituximab demostró una eficacia moderada en todos los linajes, mientras que fostamatinib mostró respuestas rápidas y duraderas tanto en PTI como en AHAI sin toxicidad observada, permitiendo incluso la retirada del tratamiento en algunos casos. La falta de respuesta a los AR-TPO en AHAI subraya la necesidad de estrategias terapéuticas específicas para cada linaje.