

CASO CLINICO:
La nostra esperienza nella
gestione delle
piastrinopenie autoimmuni

Caterina Labanca
U.O.C. di Ematologia
A.O. Annunziata
Cosenza



RENDE (CS)

23-24 MAGGIO 2025

Highlights in
EMATOLOGIA

CASO CLINICO: piastrinopenie autoimmuni

LA STORIA di G.

Settembre 2023

G.S. (1997)



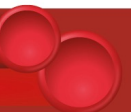
PRESA IN CARICO

c/o il nostro reparto da P.S :

- Petecchie arti inferiori e emorragie gengivali
- PLT: 9.000/mmc

ANAMNESI FAMILIARE: negativa

ANAMNESI PERSONALE: in apparente buona salute. Nessuna patologia degna di nota.



CASO CLINICO: piastrinopenie autoimmuni

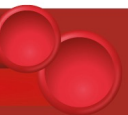
LA STORIA di G.

G.S. (1997)



DIAGNOSI

- **TNFSarsCov19:** negativo
- **Emocromo in citrato:** PLT 13.000/mmc.
- **Esame morfologico del svp:** piastrinopenia; modeste atipie dei linfociti con elementi basofili e nucleo irregolare
- **Test di Coombs dir/indir:** negativo
- **Sierologie virali d'ingresso:** HBcAb e HBsAb pos, negative le restanti. HBV DNA negativo
- **Folati e vit B12:** nella norma
- **Autoimmunità:** ANA pos, RIPETUTO negativo; negative le restanti
- **CMV DNA, EBV DNA, Parvovirus B19-DNA:** negativi.
- **H.pylori su feci:** negativo



CASO CLINICO: piastrinopenie autoimmuni

LA STORIA di G.

G.S. (1997)



DIAGNOSI

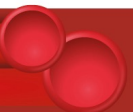
- **×AM** : quadro midollare di iperplasia megacariocitaria. Quota linfoide nella norma.
- **×BOM**: Linea megacariocitaria polimorfa con alcune figure ipolobate.
- **TC TB con e senza MDC** : Negativa per processi patologici in atto. Milza nei limiti.

La nostra esperienza

CASO CLINICO



PIASTRINOPENIA IMMUNE



CASO CLINICO: piastrinopenie autoimmuni

LA STORIA di G.

La nostra esperienza

CASO CLINICO

G.S. (1997)

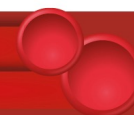


TRATTAMENTO di I LINEA

- Trasfusione di 1 UPLT
- Metilprednisolone 1 mg/kg/die
- IgEV 1g/kg/die per 2 giorni consecutivi.



PLT ALLA DIMISSIONE 197.000/mmc



CASO CLINICO: piastrinopenie autoimmuni

LA STORIA di G.

25 Settembre 2023 –
20 Novembre 2023

La nostra esperienza

CASO CLINICO

G.S. (1997)



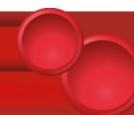
PLT ALLA DIMISSIONE 197.000/mmc

In trattamento con
PREDNISONE 1 mg/kg/die

TAPERING IN 8 SETTIMANE

PLTs al termine:
150.000/mmc

AVVIA FOLLOW-UP



CASO CLINICO: piastrinopenie autoimmuni

LA STORIA di G.

30 Settembre 2024

La nostra esperienza

+ 12 mesi

CASO CLINICO

G.S. (1997)

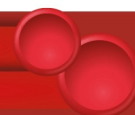


PRESA IN CARICO

c/o il nostro DH:

- Petecchie ed epistassi
- PLT: 12.000/mmc

Avvia terapia con
PREDNISONONE 1 mg/kg/die



CASO CLINICO: piastrinopenie autoimmuni

LA STORIA di G.

14 Ottobre 2024

La nostra esperienza

G.S. (1997)



+ 2 SETTIMANE DA AVVIO
STEROIDE

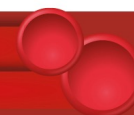
CASO CLINICO

- PLT: 250.000/mmc

Prosegue
PREDNISONE 1 mg/kg/die

EFFETTI COLLATERALI:

- Ritenzione idrica
- Insonnia
- Stato ansioso



CASO CLINICO: piastrinopenie autoimmuni LA STORIA di G.

28 Ottobre 2024

La nostra esperienza

G.S. (1997)



+ 4 SETTIMANE DA AVVIO
STEROIDE

CASO CLINICO

- PLT: 15.000/mmc

a con
ONE 1 mg/kg/die

DECI
QUALE E' C



ZIONE ?

Highlights in EMATOLOGIA

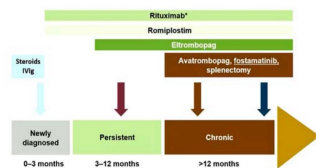
RENDE (CS)
23-24 MAGGIO 2025

CASO CLINICO: piastrinopenie autoimmuni

LA STORIA di G.

DECISIONE TERAPEUTICA
QUALE E' OGGI LA MIGLIORE
OPZIONE ?

TPO-MIMETICO



Provan et al, Blood Adv 2019

ELTROMBOPAG

ROMIPLOSTIM

AVATROBOPAG

Study	Patient number (n)	Location	Study population	Major results (compared with placebo)
Busse ²²	Eltrombopag n = 76 Placebo n = 38	Worldwide (63 sites)	Adults with ITP for ≥6 months and a pretreatment Plt <30 × 10 ⁹ /l 39% splenectomized	Significantly higher rate of platelet response ^a Significantly less bleeding
Cheng ²	Eltrombopag n = 135 Placebo n = 62	Worldwide (75 sites)	Adults with ITP for ≥6 months and a pretreatment Plt <30 × 10 ⁹ /l 36% splenectomized	Significantly higher rate of platelet response ^a Reduced use of concomitant ITP medications Reduced need for rescue therapy
Tomiya ²⁶	Eltrombopag n = 15 Placebo n = 8	Japan	Adults ≥20 years old with ITP for ≥6 months and a pretreatment Plt <30 × 10 ⁹ /l 70% splenectomized	Significantly higher rate of platelet response ^a Significantly less bleeding Lower doses of eltrombopag were effective in Japanese patients
Yang ²⁷	Eltrombopag n = 104 Placebo n = 51	China	Adults with ITP for ≥12 months and a pretreatment Plt <30 × 10 ⁹ /l 16% splenectomized	Significantly higher rate of platelet response ^a
Kuter ²¹	Romiplostim n = 83 Placebo n = 42 (patients from two parallel studies)	United States and Europe	Adults with ITP for ≥12 months and a screening mean Plt <30 × 10 ⁹ /l 50% splenectomized	Significantly higher rate of platelet response ^a Reduced use of concomitant ITP medications
Kuter ¹	Romiplostim n = 157 Standard of care n = 77	North America, Europe, and Australia	Adults with ITP for ≥12 months and a pretreatment Plt <50 × 10 ⁹ /l 0% splenectomized	Significantly higher rate of platelet response ^a Reduced use of concomitant ITP medications Lower rate of treatment failure Lower rate of splenectomy Significantly less bleeding and transfusions Significantly improved quality of life
Shirasugi ²⁸	Romiplostim n = 22 Placebo n = 12	Japan	Adults ≥20 years old with ITP for ≥6 months and a screening Plt <30 × 10 ⁹ /l 44% splenectomized	Significantly higher rate of platelet response ^a Reduced need for rescue therapy
Jurczak ¹¹	Avetrombopag n = 32 Placebo n = 17	Europe, Asia, and Australia	Adults with ITP for ≥12 months and a screening mean Plt <30 × 10 ⁹ /l 33% splenectomized	Significantly higher rate of platelet response ^a Reduced use of concomitant ITP medications

^aPlatelet response defined as a platelet count ≥50 × 10⁹/l at a given assessment on treatment with TPO-RA or placebo.
ITP, immune thrombocytopenia; Plt, platelet; TPO-RA, thrombopoietin receptor agonist.

Hanny Al-Samkari and David J. Kuter, 2019

Highlights in **EMATOLOGIA**

RENDE (CS)
23-24 MAGGIO 2025

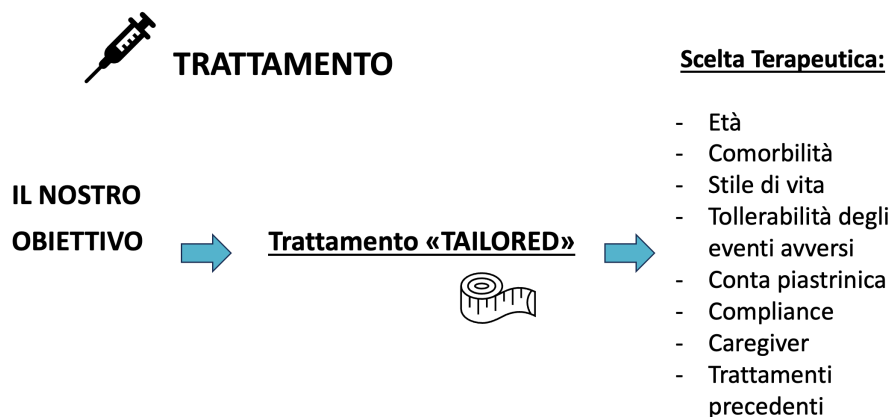
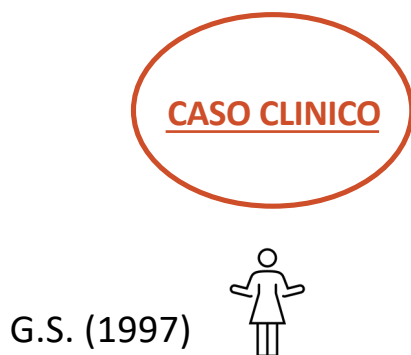
CASO CLINICO: piastrinopenie autoimmuni

LA STORIA di G.

DECISIONE TERAPEUTICA
QUALE E' OGGI LA MIGLIORE OPZIONE



La nostra esperienza



CASO CLINICO: piastrinopenie autoimmuni

LA STORIA di G.

DECISIONE TERAPEUTICA
QUALE E' OGGI LA MIGLIORE OPZIONE



La nostra esperienza

CASO CLINICO

G.S. (1997)



Paziente giovane

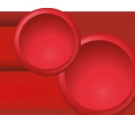
Funzionalità epatica e renale nella norma

Stile di vita attivo

Nessuna altre patologia nota in anamnesi

«ITP CRONICA
REFRATTARIA A TERAPIA
CORTICOSTEROIDEA»

AVATROMBOPAG



CASO CLINICO: piastrinopenie autoimmuni

LA STORIA di G.

La nostra esperienza

CASO CLINICO

G.S. (1997)



PIVOTAL TRIAL (Amendment 02 Trial)

Caratteristiche della popolazione

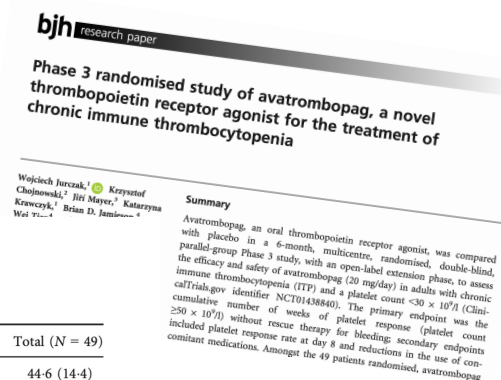
W. Jurczak et al

Table I. Baseline demographics and patient characteristics (FAS).

	Placebo (N = 17)	Avatrombopag (N = 32)	Total (N = 49)
Age (years), mean (SD)	41.2 (14.7)	46.4 (14.2)	44.6 (14.4)
<65 years, N (%)	10 (59.1)	29 (90.6)	45 (91.8)
Female, N (%)	8 (47.1)	23 (71.9)	31 (63.3)
Race, N (%)			
White	15 (88.2)	31 (96.9)	46 (93.9)
Black or African American	1 (5.9)	0	1 (2.0)
Asian	1 (5.9)	1 (3.1)	2 (4.1)
Weight (kg), mean (SD)	84.97 (20.48)	81.90 (22.71)	82.97 (21.79)
Height (cm), mean (SD)	170.53 (7.46)	167.89 (8.00)	168.81 (7.84)
BMI (kg/m ²), mean (SD)	29.24 (6.64)	28.99 (7.32)	29.08 (7.02)
Baseline platelet count, N (%)			
≤15 × 10 ⁹ /l	10 (58.8)	18 (56.3)	28 (57.1)
15–30 × 10 ⁹ /l	7 (41.2)	15 (46.9)	20 (40.8)
≥30 × 10 ⁹ /l	0	1 (3.1)	1 (2.0)
Splenectomy, N (%)	5 (29.4)	11 (34.4)	16 (32.7)
Use of concomitant ITP medication at baseline, N (%)	7 (41.2)	15 (46.9)	22 (44.9)

BMI, body mass index; FAS, full analysis set; ITP, immune thrombocytopenia; N, number of patients; SD, standard deviation.

W. Jurczak et al. 2018



Highlights in EMATOLOGIA

RENDE (CS)
23-24 MAGGIO 2025

CASO CLINICO: piastrinopenie autoimmuni

LA STORIA di G.

La nostra esperienza

CASO CLINICO

G.S. (1997)



PIVOTAL TRIAL (Amendment 02 Trial)

I dati di efficacia

Table II. Summary of core study efficacy endpoints (FAS).

	Placebo (N = 17)	Avatrombopag (N = 32)
Cumulative number of weeks of platelet response*		
Mean (SD)	0.1 (0.49)	12.0 (8.75)
Median	0.0	12.4
Min, max	0, 2	0, 25
P-value of Wilcoxon rank sum test		<0.0001
Platelet count $\geq 50 \times 10^9/l$ at day 8†		
Yes (%; 95% CI)	0.0 (-,-)	65.6 (49.17, 82.08)
No (%)	100.0	34.4
Difference of response rate (95% CI)‡		65.63 (49.17, 82.08)
P-value of Fisher's exact test		<0.0001
Reduction in use of concomitant ITP medications from baseline§		
	Placebo (N = 7)	Avatrombopag (N = 15)
Yes (%; 95% CI)	0.0 (-,-)	33.3 (9.48, 57.19)
No (%)	100.0	66.7
Difference of rate of reduction (95% CI)¶		33.33 (9.48, 57.19)
P-value of Fisher's exact test		0.1348

W. Jurczak et al. 2018

CASO CLINICO: piastrinopenie autoimmuni

LA STORIA di G.

28 Ottobre 2024

+ 4 SETTIMANE DA
AVVIO STEROIDE

La nostra esperienza

CASO CLINICO

G.S. (1997)



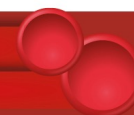
- PLT: 15.000/mmc

DECISIONE TERAPEUTICA:

Avatrombopag 20 mg cp: 1 cp/die

Prosegue

PREDNISONONE 1 mg/kg/die



CASO CLINICO: piastrinopenie autoimmuni

LA STORIA di G.

4 Novembre 2024

La nostra esperienza

G.S. (1997)



+ 1 SETTIMANA
da avvio TPO-mimetico

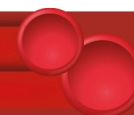
CASO CLINICO

- PLT: 240.000/mmc

In terapia con
PREDNISONE 1 mg/kg/die

Avatrombopag 20 mg cp:
1 cp x 3 volte a settimana

AVVIA TAPERING STEROIDE



ESPERIENZA CLINICO-ORGANIZZATIVA CALABRESE

23 Dicembre 2024

La nostra esperienza

+ 8 SETTIMANE
da avvio TPO-mimetico

CASO CLINICO

G.S. (1997)

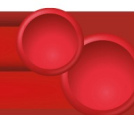


- PLT: 210.000/mmc

PROSEGUE AVATROMBOPAG 20 MG 1 CP/SETTIMANA
CON MONITORAGGIO AMBULATORIALE OGNI 2 SETTIMANE



SOSPESO STEROIDE IN DATA 25 Novembre 2024
(+ 4 settimane da avvio terapia con Avatrombopag)



CASO CLINICO: piastrinopenie autoimmuni

LA STORIA di G.

La nostra esperienza

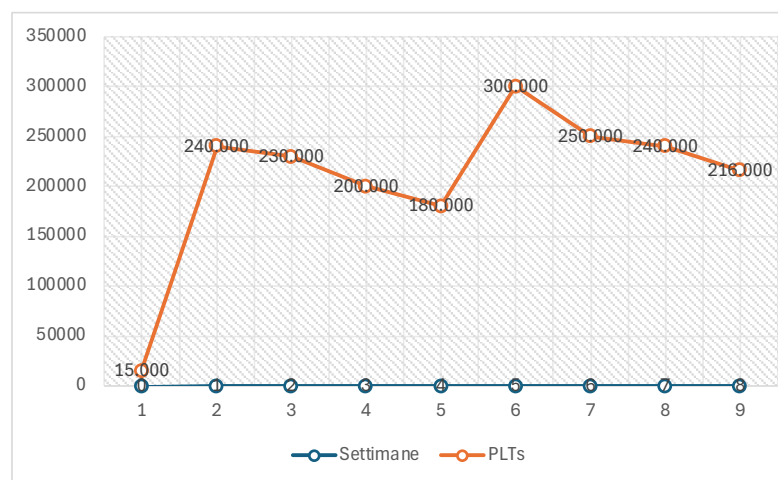
CASO CLINICO

G.S. (1997)



28 Ottobre 2024 – 23 Dicembre 2024

ANDAMENTO CONTA PIASTRINICA



SOSPESO STEROIDE IN DATA 25 Novembre 2024
(+ 4 settimane da avvio terapia con Avatrombopag)

CASO CLINICO: piastrinopenie autoimmuni

LA STORIA di G.

28 Ottobre 2024 ... OGGI

La nostra esperienza

G.S. (1997) 

14 MAGGIO 2025
Ultimo controllo

CASO CLINICO

- PLT: 216.000/mmc

PROSEGUE AVATROMBOPAG 20 MG 1 CP PER 3 VOLTE A SETTIMANA
CON MONITORAGGIO AMBULATORIALE OGNI 2 SETTIMANE

EVENTI AVVERSI:

- Cefalea

Responsiva a terapia con Paracetamolo

LA PAZIENTE HA BEN TOLLERATO IL FARMACO

CASO CLINICO: piastrinopenie autoimmuni

LA STORIA di G.

La nostra esperienza

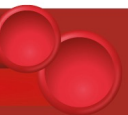
G.S. (1997)



CASO CLINICO

QUALITA' DELLA VITA

La paziente ha ricominciato a praticare sport



GRAZIE PER L'ATTENZIONE !!!

