

El Grupo Español de PTI (GEPTI), de la Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia (SEHH), celebra su IV Reunión Anual en Madrid

La medicina personalizada llega al tratamiento de la Trombopenia Inmune Primaria (PTI)

- **Identificar subgrupos de pacientes que presenten una mejor respuesta a determinados fármacos mediante biomarcadores o características clínicas diferenciales es una de las líneas de investigación en PTI**
- **Se intenta modificar el paradigma de la PTI para que pase de ser un trastorno crónico a uno autolimitado en el tiempo**
- **El mayor conocimiento de la fisiopatología de la enfermedad ha posibilitado el desarrollo de nuevos agentes, entre los que destacan las terapias dirigidas a dianas específicas**
- **El registro de pacientes de PTI ya cuenta con 26 centros y se espera lograr una cobertura del 90% de la geografía nacional**

Madrid, 22 de mayo de 2018. El tratamiento de la Trombopenia Inmune Primaria (PTI) tiende a la individualización, considerando las características y preferencias de cada paciente, la experiencia del médico y demás aspectos que intervienen en el proceso. “La práctica clínica habitual ha puesto de manifiesto que existe gran variabilidad en los efectos y respuesta de los tratamientos, por lo que debemos dar un paso más allá. Existe la necesidad de identificar subgrupos de pacientes que presenten una mejor respuesta a determinados fármacos mediante biomarcadores o características clínicas diferenciales en el contexto de una medicina personalizada que sea realmente eficiente para cada paciente”, explica la Dra. María Luisa Lozano Almela, del Hospital Universitario Morales Meseguer, en Murcia, que ha participado en la IV Reunión Anual del Grupo Español de PTI (GEPTI), de la Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia (SEHH).

En los últimos años se han producido grandes avances en el conocimiento de esta enfermedad autoinmune compleja. Ahora se sabe que los autoanticuerpos dirigidos contra alguno de los dos principales receptores plaquetarios también se unen a los megacariocitos, lo que puede inhibir su maduración o favorecer a su destrucción. Más de las dos terceras partes de los pacientes no presentan un aumento compensador de trombopoyetina, el principal regulador de la trombopoyesis, lo que hace que nos se generen plaquetas. En todo el proceso también intervienen los linfocitos T autorreactivos que favorecen la apoptosis temprana tanto de plaquetas como de sus precursores. Según la hematóloga, “para complicar todavía un poco más la situación, y como consecuencia de defectos centrales de tolerancia inmune, en esta enfermedad predomina un perfil de citoquinas proinflamatorias y una disminución de las inmunosupresoras, lo que da lugar a un círculo que favorece el desarrollo de autoanticuerpos y la generación de células autorreactivas”.

Pautas actuales

En la práctica habitual, el tratamiento de primera línea pasa por el empleo de esteroides (prednisona, prednisolona o dexametasona). Para la Dra. Lozano Almela, “es importante seguir las recomendaciones de las guías en cuanto a dosificación y tiempo de tratamiento para evitar efectos derivados de su uso a largo plazo”. Por su parte, las inmunoglobulinas intravenosas se deben reservar a pacientes que presentan un sangrado importante o si existe contraindicación de tratamiento con esteroides.

La mayor parte de pacientes adultos con PTI, tras la discontinuación de la primera línea de tratamiento, experimenta una caída del recuento plaquetario, lo que obliga a administrar tratamientos adicionales. “En el momento actual, se necesitan ensayos controlados para determinar si regímenes más intensivos en primera línea pueden inducir verdaderas curaciones tempranas en comparación con el tratamiento convencional. Considerando que las plaquetas no solamente intervienen en la hemostasia, sino que también tienen importantes funciones inmunomoduladoras, es probable que el aumento en su recuento de manera temprana pueda revertir dicho estado proinflamatorio, regular la autoinmunidad y facilitar que en un importante número de pacientes adultos cambie el paradigma de la PTI pasando de ser un trastorno crónico a uno que sea autolimitado en el tiempo”, detalla la especialista.

Los fármacos que vienen

Entre los nuevos tratamientos incorporados al arsenal terapéutico, la Dra. Lozano Almela destaca fostamatínib, que acaba de recibir la aprobación de la FDA para su empleo en pacientes adultos con PTI crónica. Se trata de un inhibidor de la cinasa Syk, que ha sido estudiado en otros modelos de enfermedades autoinmunes e inflamatorias. “Aunque las tasas de respuesta sean más bajas que con otras alternativas disponibles (20-40%), es un fármaco a tener en cuenta en pacientes refractarios a otros tratamientos”, asegura la hematóloga, quien comenta que avatrombopag, un agonista del receptor de la trombopoyetina oral de segunda generación, ha mostrado en un ensayo fase III ser superior a placebo en pacientes con PTI crónica (con respuestas consistentes entre un 30-40% de enfermos). “Lo positivo de este agente no aprobado todavía para su uso clínico es su excelente tolerancia y su no necesidad de restricciones dietéticas, lo que hace ser una opción muy atractiva sobre todo en población pediátrica”, especifica la especialista.

El mayor conocimiento de la fisiopatología de la enfermedad ha posibilitado el desarrollo de otros agentes, como el rozanolixizumab, un anticuerpo monoclonal anti FcRn humanizado, que ha sido desarrollado para reducir los niveles de inmunoglobulinas IgG patogénicas en enfermedades autoinmunes y aloinmunes. Así, la Dra. Lozano Almela señala que “aunque el desarrollo de este fármaco está aún en curso, y se ha sometido sólo a ensayos fase II, aproximadamente un 50% de pacientes han mostrado respuestas plaquetarias y buena tolerancia a su administración subcutánea”.

Registro

Los registros de pacientes constituyen instrumentos clave para desarrollar investigaciones clínicas en el campo de enfermedades raras y son la única manera de recoger los datos para lograr un tamaño de muestra suficiente para investigaciones epidemiológicas y clínicas. Gracias al tesón de miembros de GEPTI, entre los que destaca el Dr. José Ramón González Porras (Hospital Universitario de Salamanca), se ha iniciado el reclutamiento de una manera activa del registro de pacientes con PTI y ya son 26 centros hospitalarios los que están activos. “Se han incluido 58 pacientes procedentes de 8 centros. En las próximas semanas se reactivarán 55 centros más. Así, el registro tendrá una cobertura cercana al 90% de toda la geografía nacional”, comenta la hematóloga, quien añade que “este registro de PTI es un

proyecto ambicioso en el que se espera reclutar al menos 1.000 pacientes de manera prospectiva y servirá de plataforma para futuros proyectos de investigación. El registro está ligado a la recogida de muestras biológicas, lo que es un hecho diferencial de la mayoría de los registros existentes y posibilitará la realización de futuros estudios básicos”.

Sobre la Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia (SEHH)

La SEHH es una sociedad científica cuyo fin es la promoción, desarrollo y divulgación de la integridad y contenido de la especialidad de Hematología y Hemoterapia en sus aspectos médicos, científicos, organizativos, asistenciales, docentes y de investigación. La hematología como especialidad abarca todos los aspectos relacionados con la fisiología de la sangre y los órganos hematopoyéticos, el diagnóstico y tratamiento de las enfermedades benignas y malignas de la sangre, el estudio del sistema de hemostasia y coagulación, y todos los aspectos relacionados con la medicina transfusional, incluyendo el trasplante de progenitores hematopoyéticos. La función profesional del hematólogo cubre todas las vertientes del ejercicio de la especialidad.

La SEHH, con 59 años de vida, es hoy día una organización con importante repercusión científica. Muchos de los más de 2.600 profesionales que la forman son figuras internacionalmente reconocidas y contribuyen a que la Hematología sea una de las partes de la medicina española con más prestigio en el exterior. La obstaculización del progreso de la ciencia y de la excelencia en la atención médica, mediante la implantación de medidas de corte economicista o que tratan de disgregar la especialidad y de romper la unidad funcional que requiere la atención del paciente hematológico, es un asunto que preocupa de manera particular a la SEHH. La Sociedad considera que para una óptima atención de los pacientes es imprescindible contar con acceso a los avances médicos, fomentar la investigación y disponer de especialistas bien formados y altamente calificados en el manejo de las enfermedades hematológicas.

Para más información y gestión de entrevistas:

Jorge Sánchez Franco

Responsable de Comunicación SEHH-FEHH

Tels.: 91 319 58 16 / 667 675 476

E-mail: comunicacion@sehh.es

Web: www.sehh.es

Twitter: [@sehh_es](https://twitter.com/@sehh_es)

Canal Youtube: [HemoTube](https://www.youtube.com/HemoTube)

LinkedIn: www.linkedin.com/company/sehh/