Rev Clin Esp. 2024;224(Supl 1):S361

Revista Clínica Española

https://www.revclinesp.es

479 - ESTUDIO SOBRE LA EFECTIVIDAD Y SEGURIDAD DE CAPLACIZUMAB AÑADIDO AL TRATAMIENTO ESTÁNDAR EN LA PÚRPURA TROMBÓTICA TROMBOCITOPÉNICA ADQUIRIDA

Julia García Larrauri, *Bernat Villanueva Cutillas, Elisa de Blas Escudero, Clara Ribera Puig, Arnau Antolí Gil, Nadia García Muñoz, Núria Padullés Zamora y Xavier Solanich Moreno*

Hospital Universitari de Bellvitge, Barcelona, España.

Resumen

Objetivos: El objetivo de este estudio es analizar y comparar la eficacia y seguridad de caplacizumab añadido al tratamiento estándar (CPZ-TE) frente al tratamiento estándar (TE) en pacientes con púrpura trombótica trombocitopénica adquirida (PTTa).

Métodos: Estudio observacional retrospectivo unicéntrico realizado en un hospital terciario incluyendo todos los pacientes diagnosticados de PTTa entre diciembre de 2013 y agosto de 2023. Se recogieron variables demográficas, clínicas y analíticas comparándose los grupos CPZ-TE y TE. Se incluyeron el tiempo hasta respuesta clínica (días) desde el inicio de los recambios plasmáticos (RP), las exacerbaciones, los eventos trombóticos graves y la mortalidad, incluyendo una variable combinada entre estos tres últimos eventos (ETM).

Resultados: Se incluyeron 23 pacientes, 15 de los cuales mujeres (65,2%), con una edad media de 54,8 años (DE 15,3). Diez pacientes recibieron CPZ-TE, con una media de días de tratamiento de 35 días (DE 13,7). Todos los pacientes recibieron corticoides y RP. La mayoría recibieron rituximab siendo más frecuente en el grupo CPZ-TE (90 vs. 46%, p = 0,038). En la tabla 1 se comparan las características entre ambos grupos. El tiempo hasta respuesta clínica fue inferior en el grupo CPZ-TE (p = 0,025). El número de RP también fue inferior en el grupo CPZ-TE (p = 0,021). En el grupo TE se observaron tres exacerbaciones respecto ninguna en el grupo CPZ-TE y una muerte respecto ninguna en el grupo CPZ-TE. La estancia hospitalaria en el grupo CPZ-TE fue inferior, aunque no significativa. El grupo CPZ-TE ingresó con más frecuencia en la unidad de cuidados intensivos (UCI), sin observar diferencias en la estancia media. La variable combinada ETM fue más frecuente en el grupo TE sin llegar a la significación estadística (p = 0,081). No se detectaron reacciones adversas graves asociadas a caplacizumab, observándose únicamente un episodio de sangrado en el grupo TE. Los resultados se presentan con mayor detalle en la tabla 2.

Tabla 1			
	CPZ-TE (n = 10)	**TE (n = 13)**	**p**
Edad, media (DE)	53,6 (9,6)	55,7 (18,9)	0,832
Sexo femenino, n (%)	8 (80)	7 (53,8)	0,195
Etnia caucásica, n (%)	8 (80)	12 (92,3)	0,398

Desencadenante del brote, n (%)	4 (40)	5 (38,5)	0,637
Debut, n (%)	6 (60)	9 (69,2)	0,490
Hemoglobina inicial, media (DE)	103,3 (25,9)	91,9 (24,4)	0,446
VCM, media (DE)	88,1 (3,7)	89,46 (8,4)	0,832
Plaquetas inicial, media (DE)	17 (12)	17,6 (15,8)	1,000
Bilirrubina inicial, media (DE)	23,4 (12,9)	35 (17,4)	0,088
LDH inicial, mediana [RIC]	538 [477-845,5]	964 [553,5-1972]	0,237
Creatinina inicial, mediana [RIC]	97 [71,5-108,25]	101 [68-141,5]	0,784
Clínica neurológica inicial, n (%)	5 (50)	6 (43,2)	0,593
Clínica gastrointestinal inicial, n (%)	4 (40)	6 (46,2)	0,552
Actividad ADAMTS13 inicial, mediana [RIC]	0,0 [0-4,25]	0,0 [0-0,5]	0,684
Presencia de anticuerpos inhibidores, n (%)	5 (50)	11 (84,6)	0,092
Rituximab, n (%)	9 (90)	6 (46,2)	**0,038***

Tabla 2			
	CPZ-TE (n = 10)	**TE (n = 13)**	**p**
Estancia en UCI, n (%)	7 (70)	3 (23,1)	**0,033***
Días de estancia hospitalaria, media (DE)	20,3 (16)	34,1 (52,7)	0,313
Número de RP, mediana [RIC]	6 [4-8]	9 [7-16]	**0,021***
Requerimiento de IOT, n (%)	1 (10)	0 (0)	0,435
Días hasta respuesta clínica, media (DE)	5,6 (6)	10,7 (5,7)	**0,025***
Exacerbación, n (%)	0 (0)	3 (23,1)	0,161
Muerte, n (%)	0 (0)	1 (7,7)	0,656
Complicaciones trombóticas, n (%)	0 (0)	1 (7,7)	0,565
Resultado combinado, n (%)**	0 (0)	4 (30,8)	0,081
Sangrados, n (%)	0 (0)	1 (7,7)	0,565

Discusión: El tratamiento con caplacizumab junto a TE en nuestra cohorte ha obtenido resultados favorables similares a los descritos en la literatura publicada hasta el momento. Tratándose de una enfermedad minoritaria y debido al bajo número de pacientes, es difícil conseguir validez estadística en estudios unicéntricos. Cabe destacar como limitaciones del estudio actual, que el mayor número de ingresos en UCI del grupo CPZ-TE, se debe a un cambio del circuito asistencial al inicio de los RP, más que a una mayor gravedad de los pacientes. En el mismo sentido, el mayor uso de rituximab en el grupo CPZ-TE obedece a la mayor evidencia científica de su uso y su progresiva recomendación en las guías clínicas recientes. Finalmente, las limitaciones vinculadas al carácter retrospectivo del estudio y el ya mencionado número reducido de pacientes suponen una posible fuente de sesgo.

Conclusiones: El tratamiento con caplacizumab añadido a TE redujo el tiempo hasta la respuesta clínica y supuso un menor número RP. En este grupo también se observó una tendencia a una menor duración de la estancia hospitalaria y el resultado combinado ETM, sin observarse eventos adversos graves. El caplacizumab en vida real es efectivo y seguro en los pacientes con PTTa.

Bibliografía

1. Peyvandi F, et al. Caplacizumab reduces the frequency of major thromboembolic events, exacerbations and death in patients with acquired thrombotic thrombocytopenic purpura. J Thromb Haemost. 2017;15(7):1448-52.

2. Scully M, et al. Caplacizumab Treatment for Acquired Thrombotic Thrombocytopenic Purpura. N

Engl J Med. 2019;380(4):335-46.

3. Zheng XL, et al. ISTH guidelines for treatment of thrombotic thrombocytopenic purpura. J Thromb Haemost. 2020;18(10):2496-502.

4. Mariotte E, et al. Epidemiology and pathophysiology of adulthood-onset thrombotic microangiopathy with severe ADAMTS13 deficiency (thrombotic thrombocytopenic purpura): a cross-sectional analysis of the French national registry for thrombotic microangiopathy. Lancet Haematol. 2016;3(5):e237-45.

0014-2565 / © 2024, Elsevier España S.L.U. y Sociedad Española de Medicina Interna (SEMI). Todos los derechos reservados.