



Tirosin-chinasi e ITP:  
nuove strategie  
terapeutiche

**27** novembre **Bologna**

## ***Clinical Case Challenge***

**Bologna, 27 novembre 2025**

# Gestione del paziente intollerante/non responder agli agonisti dei recettori della trombopoietina

*Valentina Carrai – Firenze*

*Francesca Palandri - Bologna*

# Anamnesi Patologica Remota

Caso Clinico

Donna di 65 anni

Anamnesi patologica remota muta alla diagnosi

# Storia Clinica ITP

Età alla diagnosi 37 anni

## **Diagnosi di ITP nel 1997 in Albania.**

Esordio con s. emorragica mucocutanea (gengivorragia ecchimosi petecchie) e valore di PLT  $3 \times 10^9/L$

**Terapia:** steroide non meglio precisato dosaggio

**Recidiva aprile 1999:** PLT  $5 \times 10^9/L$  (gengivorragia ecchimosi petecchie)

**Terapia:** agosto 1999 **splenectomia**, il numero massimo di piastrine raggiunto  $20 \times 10^9/L$

Arrivata dall'Albania in Molise dove è stata ricoverata e trattata con IVIG 400 mg/kg per 5 giorni e steroide non meglio precisato. Piastrine incrementate e stabili fino a gennaio 2001

Gennaio 2001 è giunta in Toscana (Livorno)

Dal 2003 al 2019, per motivi familiari si è spostata periodicamente fra Toscana ed Albania eseguendo periodici cicli di steroide (prednisone, desametasone, metilprednisolone) associati al bisogno con IVIG

A dicembre 2020 giunge al nostro ambulatorio di ematologia

La paziente nel frattempo ha sviluppato nel tempo come comorbidità ipertensione e diabete mellito

1° SNODO

Work up diagnostico

- 1) Esami generali, autoimmunità, sierologie, H pylori
- 2) Esami generali, autoimmunità, sierologie, H pylori + aspirato midollare
- 3) **Esami generali, autoimmunità, sierologie, H pylori + BOM (cosa è stato fatto)**

Work up diagnostico e valutazione midollare negativi (megacariociti incrementati in numero, caratterizzati da variabilità dimensionale)

2° SNODO

Terapia di terza linea (steroidi, splenectomia)

**1) TPO-RA (cosa è stato fatto)**

2) rituximab

Pro rituximab

- 1) Terapia con intento curativo
- 2) Tempo di trattamento limitato nel tempo (cargiver e distanza)

Contro

- 1) Immunodepressione e rischio infettivo in paziente immunodepressa per la terapia steroidea

# Storia Clinica ITP

Età della paziente 59 anni

**Dicembre** 2019 inizia terapia con eltrombopag. La scelta è stata condivisa con paziente e familiari vista la distanza dall'abitazione al centro di riferimento.

La paziente ha ottenuto rapidamente una risposta completa e da febbraio 2020 la paziente mantiene una dose stabile di 50 mg per 5 giorni a settimana

30/04/21 Gb 9.6 GR 5.99 Hb 15.2 MCV 77.3 PLT 398 N 2.2 L6.3

Richiesto immunofenotipo per persistente linfocitosi risultato negativo per patologia linfoproliferativa

La paziente mantiene una risposta completa e si riduce progressivamente il dosaggio fino ad arrivare a febbraio 2022 a 2 cp da 25 mg di eltrombopag a settimana.

3° SNODO

SROT

- 1) Va sempre perseguita
- 2) Si applica se presenti i criteri indicati dalla letteratura
- 3) **Condividere la possibilità di sospendere con il paziente, valutare aspetto psicologico (cosa è stato fatto)**

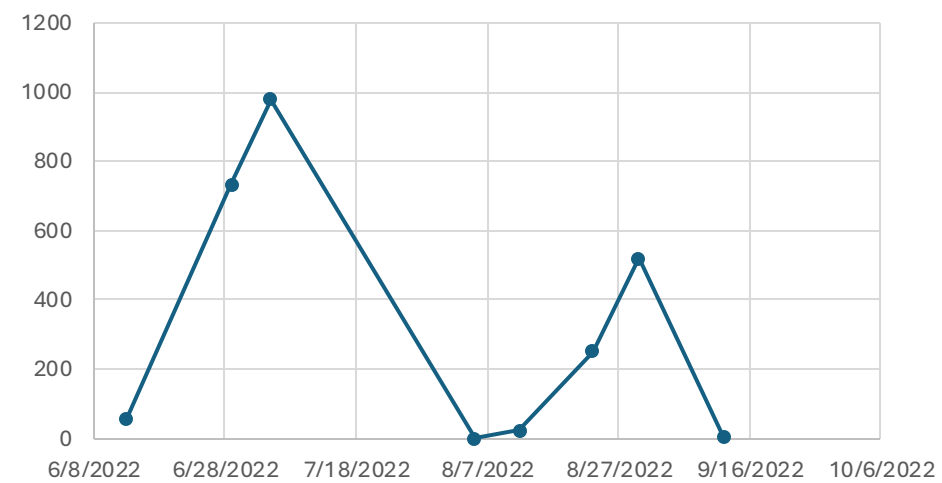
Non è stato possibile sospendere il farmaco pur essendo applicabile per i criteri clinici:

- Distanza dal centro di riferimento
- S. ansiosa della paziente
- Familiari presenti «soffocanti» nella gestione terapeutica della madre

# Storia Clinica ITP

Dal 27 maggio al 2 giugno 2022 ricovero per infezione da Covid-19 con concomitante piastrinopenia (PLT  $12 \times 10^9/L$ ) che ha necessitato di terapia steroidea (1 mg/kg di prednisone) in associazione a revolade incrementato a 50 mg/die con recupero del valore di piastrine ma.....

N° PLT



#### 4° SNODO

Quale è stato il successivo approccio terapeutico

- 1) Mantenere eltrombopag + basse dosi di steroide
- 2) Mantenere bassi dosaggi di steroide
- 3) Romiplostim
- 4) Fostamatinib
- 5) **Avatrombopag cosa è stato fatto**

Perché avatrombopag (siamo ad agosto 2022)

- Precedente risposta prolungata con eltrombopag
- Romiplostim può dare con maggior frequenza fluttuazioni piastriniche come da dati di letteratura
- Fostamatinib, recente introduzione in commercio come avatrombopag, ma meno esperienza/letteratura sulla tipologia di farmaco/meccanismo di azione

# Storia Clinica ITP

Anche con avatrombopag si verificano le stesse fluttuazioni piastriniche pertanto a dicembre 2022 si effettua una nuova variazione terapeutica

5° SNODO

Quale è stato il successivo approccio terapeutico

- 1) Mantenere basse dosi di steroide
- 2) Rituximab
- 3) **Fostamatinib (cosa è stato fatto)**

# Storia Clinica ITP

In data 21/12/22 inizia terapia con fostamatinib 100 mg x 2/die  
Da luglio 2023 riduzione del dosaggio a 100 mg/die

Da luglio 2023 comparsa anche di ipertrigliceridemia

La paziente sta continuando lo stesso dosaggio con mantenimento di  $PLT > 100 \times 10^9/L$ .

TD attuale:

Humalog 100 U colazione-pranzo-cena

Lantus 100 U la sera

Lucen 20 mg 1 cp/die

Lipsin 200 mg 1 cp/die

Nodigap 1 volta ogni 2 settimane

Parvati 10+10 1 al giorno

Lenifren 1 al giorno