Eltrombopag nell'anemia aplastica

Data 11 novembre 2012
Categoria ematologia

L'eltrombopag, un agonista della trombopoietina, ha dimostrato di poter essere efficace in pazienti con anemia aplastica grave non responsiva all' immunosoppressione.

Eltrobopag, somministrabile per os, appartiene ad una nuova classe di farmaci, gli agonisti della trombopoietina. Alla stessa classe appartiene il romiplostim, che richiede la via iniettiva.
Entrambi i farmaci stimolano la produzione di piatrine da parte del midollo e sono usati nelle condizioni caratterizzate da trombocitopenia .

Tuttavia gli agonisti della trombopoietina potrebbero trovare presto una nuova indicazione terapeutica: l'anemia aplasticagrave.

Questa condizione (in cui oltre alla compromissione delle serie rossa si ha spesso l'interessamento contemporaneo anche della serie bianca e/o delle piastrine) riconosce cause congenite o ereditarie (per esempio l'anemia di Fanconi, l'anemia aplastica familiare, l'anemia di Diamond-Blackfan, etc.), oppure cause acquisite (esposizione a sostanze tossiche come il benzene, infezioni da virus epatitici, da virus di Epstein-Barr, da HIV, parvovirus e micobatteri, esposizione a radiazioni, processi autoimmuni dopo trasfusioni o trapianto di fegato, farmaci come il cloranfenicolo e il fenilbutazone) o, infine, può essere di natura idiopatica (quando non si riesce ad evidenziare alcuna causa).

La terapia si avvale di trasfusioni, antibiotici per il trattamento delle infezioni intercorrenti (dato che spesso l'anemia si associa a leucopenia grave), trapianto di midollo osseo o terapia immunoppressiva.

Tuttavia circa un paziente su tre non risponde a questi trattamenti convenzionali.
In uno studio di fase 2 sono stati arruolati 25 pazienti con anemia aplastica grave che non aveva risposto alla immunosoppressione trattati con eltrombopag (da 50 a 150 mg/die) per 12 settimane.
Alla fine del trattamento una risposta ematologica sostenuta di almeno una delle tre linee midollari si è avuta nel 44% dei casi. In 9 pazienti non si sono più rese necessarie trasfusioni di piastrine, in 6 pazienti si è avuto un aumento medio dell'emoglobina di oltre 4 g/dL e in 3 di essi non si è più dovuto ricorrere alle trasfusioni di emazie.

Come si vede si tratta di uno studio con pochi pazienti e di breve durata per cui è presto per poter affermare che gli agonisti della trombopoietina sono un'altra arma a disposizione del medico per il trattamento dell'anemia aplastica. Saranno necessari altri studi, con maggiore casistica, di follow up più prolungato e con endpoint hard (come mortalità e morbilità), ma le premesse appaiono buone.

RenatoRossi

Bibliografia

1. Bussel JB et al. Effect of eltrombopag on platelet counts and bleeding during treatment of chronic idiopathic thrombocytopenic purpura: A randomised, double-blind, placebo-controlled trial. Lancet 2009 Feb 21; 373:641.

2. McHutchison JG et al. Eltrombopag for thrombocytopenia in patients with cirrhosis associated with hepatitis C. N Engl J Med 2007 Nov 29; 357:2227.

3. Bussel JB et al. Eltrombopag for the treatment of chronic idiopathic thrombocytopenic purpura. N Engl J Med 2007 Nov 29; 357:2237.

4. http://www.pillole.org/public/aspnuke/news.asp?id=4217

5. Olnes MJ et al. Eltrombopag and Improved Hematopoiesis in Refractory Aplastic Anemia
N Engl J Med 2012 Jul 5; 367:11-19.

© 2004 - 2026 Pillole - Registrazione T. di Roma n. 2/06 | stampato il 21/11/2026 alle ore 1:32 | Pagina 1 di 1