



ZROZUM I BĄDŹ AKTYWNY W LECZENIU SWOJEGO ITP

Opracowanie: Lek. Marta Masternak

Konsultacja merytoryczna: Dr n. med. Joanna Zdziarska



Materiał powstał na zlecenie firmy Amgen.
Data przygotowania: luty 2025

Opracowanie redakcyjne:
Hematoonkologia.pl
Agnieszka Giannopoulos
ul. Kilińskiego 18, 20-809 Lublin
www.hematoonkologia.pl



POL-NP-0225-80001

Poznaj pierwotną
małopłytkowość
immunologiczną



Poznaj pierwotną małopłytkowość immunologiczną

CZYM JEST ITP?

PIERWOTNA MAŁOPŁYTKOWOŚĆ IMMUNOLOGICZNA lub ITP (od dawnej angielskiej nazwy idiopathic thrombocytopenic purpura – idiopatyczna plamica małopłytkowa) to rzadka choroba, której istotą jest niszczenie zdrowych płytek krwi przez układ odpornościowy.¹

1. Windyga J, et al. Małopłytkowość immunologiczna [w:] Interna Szczeklika 2024, Medycyna Praktyczna, Kraków 2024, s. 1975-81.1.

JAK DZIAŁAJĄ PŁYTKI KRWI?

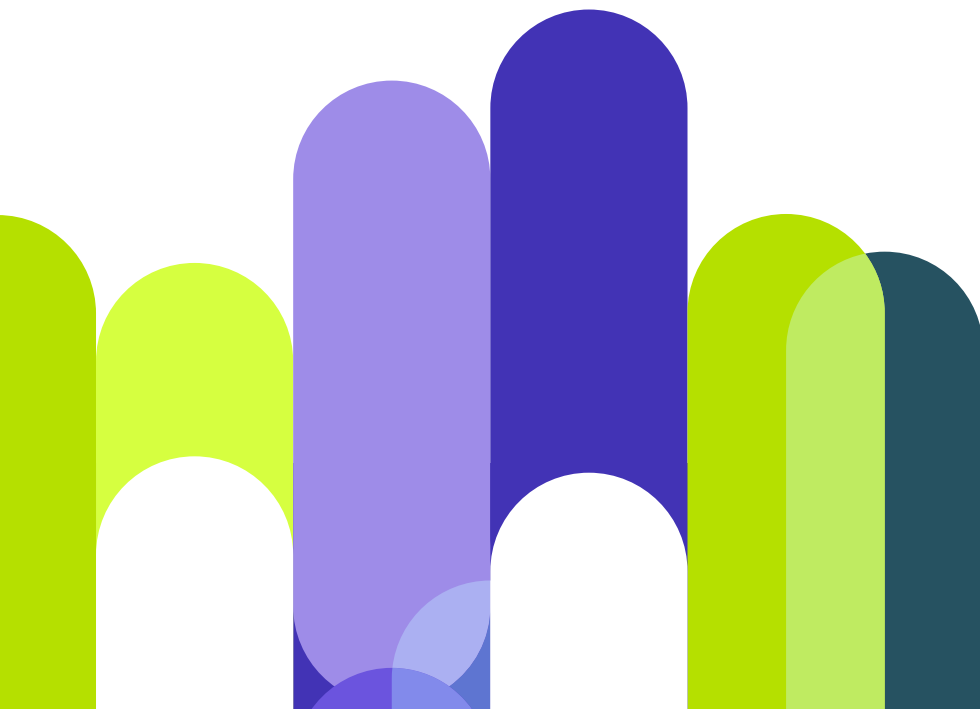
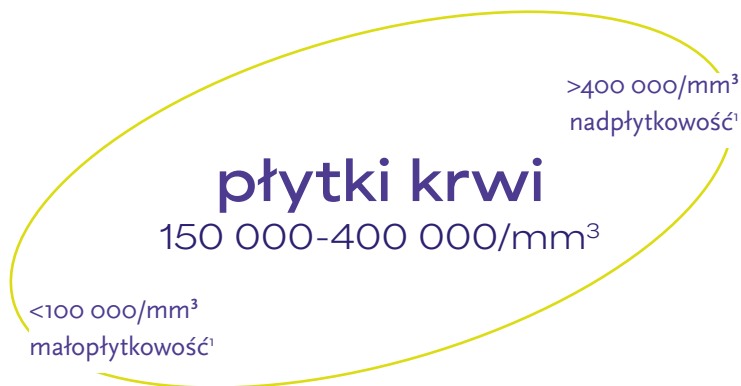
PŁYTKI KRWI, zwane również trombocytami, to składniki krwi, które pełnią kluczową rolę w jej krzepnięciu, a więc zatrzymywaniu krwawień. W momencie uszkodzenia ściany naczynia krwionośnego płytki krwi jako pierwsze rozpoczynają jego „naprawę” poprzez przyleganie do siebie (inaczej agregację) i wytworzenie czopa hemostatycznego. Na późniejszych etapach uczestniczą również w reakcjach krzepnięcia krwi poprzez uwalnianie ze swojego wnętrza substancji zaangażowanych w ten proces.¹

Płytki są produkowane w szpiku kostnym, a niszczone przede wszystkim w śledzionie. Czas ich przeżycia wynosi od 7 do 10 dni. U osób zdrowych równowaga pomiędzy niszczeniem płytek a wytwarzaniem nowych w szpiku kostnym pozwala na utrzymanie ich stabilnej, prawidłowej liczby.¹

Liczbę płytek krwi obecnych w układzie krążenia można ocenić w podstawowym badaniu krwi, czyli morfologii. Wynik badania morfologicznego zawiera kilka parametrów opisujących płytki

1. Windyga J, et al.
Małopłytkowość
immunologiczna...,
s. 1975-81.

krwi, z których najważniejszym jest ich liczba, zazwyczaj oznaczona skrótem PLT. Prawidłowa liczba płytek krwi wynosi od 150 000 do 400 000/mm³. Spadek poniżej dolnej granicy normy nazywamy MAŁOPŁYTKOWOŚCIĄ lub trombocytopenią.¹



Jakie parametry płytek krwi oceniamy w badaniu morfologicznym?

PLT

(ang. *platelets*) – całkowita liczba płytek krwi, 100-400 tys./mm³;

MPV

(ang. *mean platelet volume*) – średnia objętość płytek krwi, 7,5-10,5 fl;

PDW

(ang. *platelet distribution width*) – wskaźnik zróżnicowania objętości płytek, 40-60%;

1. Windyga J, et al.
Małopłytkowość
immunologiczna...,
s. 1975-81.

PCT

(ang. *plateletcrit*) – płytkokryt, czyli procent objętości krwi, jaki zajmują płytki, 0,16-0,34%

P-LCR

(ang. *platelet-large cell ratio*) – odsetek płytek o zwiększonej objętości, <30%.¹

NA CZYM POLEGA ITP?

1. Windyga J, et al.
Małopłytkowość
immunologiczna...,
s. 1975-81.

ITP jest chorobą NABYTĄ, co oznacza, że nie jest ona obecna w momencie urodzenia, a pojawia się w trakcie życia. Nie jest dziedziczna ani zaraźliwa, więc nie ma możliwości przeniesienia jej na innego członka rodziny czy domownika. Może wystąpić w każdym wieku, zarówno u dzieci, jak i u osób dorosłych. Częściej dotyka kobiety niż mężczyzn. Najnowsze dane szacują, że zapadalność na ITP u dorosłych, czyli liczba nowych pacjentów diagnozowanych każdego roku, wynosi 3,3 na 100 000 osób rocznie, podczas gdy częstość występowania, czyli liczba wszystkich pacjentów żyjących z ITP, wynosi około 9,5 przypadków na 100 000 osób.¹

ITP jest chorobą AUTOIMMUNOLOGICZNĄ, czyli wynikającą z nieprawidłowego działania układu odpornościowego. W prawidłowych warunkach układ immunologiczny rozpoznaje obce antygeny, które mogą być obecne na chorobotwórczych bakteriach czy wirusach, a następnie wytwarza przeciwciała, które mają za zadanie znaleźć i zniszczyć zagrażające nam drobnoustroje. U pacjentów z ITP układ odpornościowy rozpoczyna wytwarzanie przeciwciał przeciwko własnym płytkom krwi, co powoduje ich niszczenie i zmniejszenie ich liczby poniżej prawidłowych wartości. Oprócz tego małopłytkowość może być nasilana przez niszczenie płytek pod wpływem cytotoksycznych limfocytów T oraz zmniejszonego wytwarzania płytek w szpiku kostnym.¹

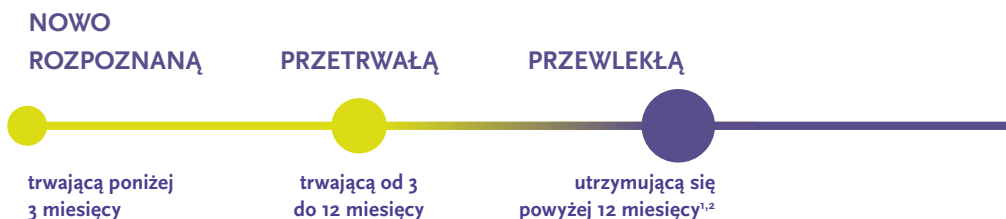
Ok. 80% wszystkich przypadków małopłytkowości immunologicznych stanowi ITP pierwotna, czyli idiopatyczna (taka, w której nie możemy wskazać konkretnej przyczyny zachorowania). W pozostałych 20% małopłytkowość może być wtórna, czyli wywołana konkretnym czynnikiem, który zaburzył pracę układu immunologicznego. Mogą być to np. przyjmowane leki, szczepionki, infekcje czy współistnienie innych chorób autoimmunologicznych lub nowotworowych.¹

PRZEBIEG ITP

Przebieg choroby u dorosłych pacjentów jest najczęściej przewlekły, z okresami remisji i skłonnością do nawrotów. Pomiędzy nawrotami liczba płytek krwi może być prawidłowa, nieznacznie obniżona lub pozostawać w zakresie niewymagającym leczenia ($>20\ 000\text{--}50\ 000/\text{mm}^3$, w zależności od konkretnego pacjenta), a co za tym idzie, pacjenci nie doświadczają objawów choroby lub są one minimalne. U dzieci choroba zazwyczaj ustępuje samoistnie w ciągu kilku miesięcy.^{1,2}

1. Windyga J, et al. Małopłytkowość immunologiczna..., s. 1975–81.
2. Chojnowski K, et al. Polskie zalecenia postępowania w pierwotnej małopłytkowości immunologicznej u dorosłych opracowane przez Grupę ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów – aktualizacja 2024. Med. Prakt., 2024; 5: 29–56.

W zależności od czasu trwania ITP klasyfikuje się jako:



OBJAWY ITP

ITP może przebiegać bezobjawowo. Objawy choroby pojawiają się przy istotnym obniżeniu liczby płytek krwi i typowo obejmują:

- krwawienia z nosa,
- krwawienia z dziąseł,
- przedłużające się i obfite krwawienia miesiączkowe u kobiet,
- wybroczyny skórne, czyli małe czerwone lub fioletowe plamki lokalizujące się zwłaszcza w błonach śluzowych, skórze kończyn i brzucha,

1. Windyga J, et al.
Małopłytkowość
immunologiczna...,
s. 1975-81.
2. Chojnowski K, et al.
Polskie zalecenia
postępowania...,
29–56.

- zwiększona skłonność do powstawania podbiegnięć krwawych (siniaków), po urazach lub samoistnie,
- nadmierne krwawienia po uszkodzeniu tkanek,
- u części pacjentów występuje przewlekłe osłabienie;^{1,2}

Rzadziej mogą pojawiać się też:

- nieprawidłowe krwawienia z dróg rodnych (między miesiączkami lub krwawienia po okresie menopauzy),
- obecność krwi w moczu,
- krew w kale lub smoliste zabarwienie stolca, świadczące o krwawieniu z przewodu pokarmowego.^{1,2}

Bardzo niebezpiecznym powikłaniem choroby jest krwawienie do narządów wewnętrznych, zwłaszcza do ośrodkowego układu nerwowego. Taki przebieg choroby obserwowany jest na szczęście dość rzadko (u mniej niż 1% pacjentów) oraz przy bardzo niskiej liczbie płytek, ale stanowi bezpośrednie zagrożenie życia pacjenta i wymaga natychmiastowego wdrożenia leczenia.^{1,2}

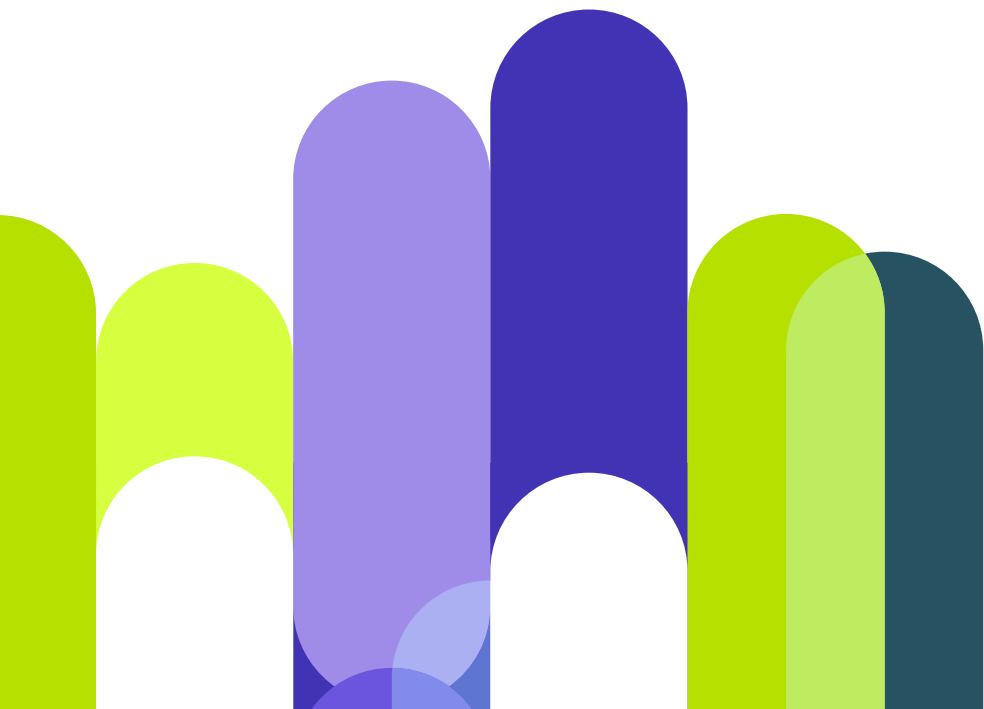
Większość pacjentów z ITP nie doświadcza objawów choroby na co dzień. Niepokojące symptomy pojawiają się zazwyczaj dopiero przy obniżeniu liczby płytek krwi poniżej 20 000-30 000/mm³ (choć nie jest to regułą i niekiedy przy występowaniu dodatkowych czynników ryzyka krwawienie może pojawić się także przy wartościach wyższych). Pojawienie się nowych wybroczyn, siniaków czy aktywnego krwawienia zawsze jest wskazaniem do wykonania kontrolnej morfologii krwi oraz kontaktu z lekarzem.^{1,2}



DOROTA, 38 L.:

„Z doświadczenia wiem, że najlepiej nie sugerować się wynikami i sposobem życia innych chorujących, ponieważ przebieg tej choroby jest całkowicie indywidualny i nieprzewidywalny”.





DIAGNOZA PIERWOTNEJ MAŁOPŁYTKOWOŚCI IMMUNOLOGICZNEJ

GDZIE JEST ROZPOZNAWANA I LECZONA ITP?

Diagnostyką i leczeniem ITP zajmuje się HEMATOLOG. Pacjenci z podejrzeniem choroby mogą zostać skierowani do poradni hematologicznej lub wyspecjalizowanej poradni leczenia zaburzeń hemostazy, w której specjalista zleci i przeanalizuje niezbędne badania oraz zadecyduje o konieczności leczenia. W przypadku bardzo niskich wartości płytek i występowania krwawienia pacjent może wymagać skierowania bezpośrednio na oddział hematologii lub oddział chorób wewnętrznych.^{1,2}

1. Windyga J, et al. Małopłytkowość immunologiczna..., s. 1975-81.

2. Chojnowski K, et al. Polskie zalecenia postępowania..., 29-56.

ROZPOZNANIE ITP

Rozpoznanie choroby jest stawiane na podstawie objawów oraz badań pomocniczych. Nie ma jednego badania, które jest w stanie potwierdzić lub wykluczyć diagnozę.^{1,2}

ITP jest rozpoznawana u pacjentów, u których małopłytkowość jest jedyną obserwowaną nieprawidłowością, po wykluczeniu innych przyczyn. Dodatkowo pomocna w potwierdzeniu rozpoznania jest dobra reakcja na typowe leczenie.^{1,2}

Badania, które należy wykonać u wszystkich chorych w przypadku podejrzenia ITP to:

- morfologia krwi obwodowej z mikroskopową oceną rozmazu i oceną liczby retikulocytów,

- oznaczenie grupy krwi i bezpośredni test antyglobulinowy (odczyn Coombsa),

- stężenie immunoglobulin IgG, IgA, IgM w surowicy.^{1,2}

JAKIE NIEPRAWIDŁOWOŚCI W MORFOLOGII KRWI OBSERWUJEMY U PACJENTÓW Z ITP?

- Małopłytkowość, czyli liczba płytek poniżej 100 000/mm³.

- Zwiększona średnia objętość płytek (podwyższone MPV).

- U pacjentów z krwawieniami może się pojawić niedokrwistość wskutek utraty krwi.^{1,2}

Poza tym, w zależności od sytuacji klinicznej, lekarz może zdecydować o wykonaniu innych badań, takich jak:

- Biopsja aspiracyjna i trepanobiopsja szpiku, czyli pobranie z talerza kości biodrowej płynnego szpiku kostnego oraz wycinka kości do badania histopatologicznego. To badanie nie jest zalecane u wszystkich chorych, ale może być konieczne przy trudności w różnicowaniu przyczyn małopłytkowości. Wskazane jest również przy niepowodzeniu leczenia, przygotowaniu do operacji usunięcia śledziony (splenektomii) lub nawrocie choroby po usunięciu śledziony. Biopsja szpiku nie jest rekomendowana u dzieci i młodzieży z ITP;

- Badania w kierunku zakażenia HCV, HIV i *Helicobacter pylori*, aby wykluczyć małopłytkowość wtórną do tych zakażeń;

1. Windyga J, et al.
Małopłytkowość immunologiczna..., s. 1975-81.
2. Chojnowski K, et al.
Polskie zalecenia postępowania..., 29–56.



JANINA, 63 L.:

„Wiem, że to trudne, ale należy uzbroić się w cierpliwość w przypadku rozpoczęcia leczenia nowym preparatem, gdyż zwykłe efekty leczenia są widoczne dopiero po upływie kilkunastu dni”

- Badania w kierunku chorób tarczycy, chorób autoimmunologicznych, test ciążowy – w przypadku podejrzenia wtórnej małopłytkowości immunologiczne.^{1,2}

PIERWSZA WIZYTA U HEMATOLOGA

Aby pierwsza wizyta u specjalisty przebiegła sprawnie i spełniła Twoje oczekiwania, warto się do niej dobrze przygotować. Zwykle czas przeznaczony na wizytę pojedynczego pacjenta jest stosunkowo krótki, dlatego wcześniejsze przygotowanie może pozwolić na efektywne jej wykorzystanie.

1.

Dokładnie opowiedz lekarzowi o powodach skierowania na wizytę, doświadczanych objawach oraz obecnych wynikach badań (najlepiej przynieś je w formie papierowej). Jeżeli posiadasz na skórze jakies zmiany – wybroczyny, siniaki – koniecznie pokaż je lekarzowi!

2.

Przygotuj wszystkie informacje o swojej dotychczasowej historii medycznej, poprzednie wyniki i karty informacyjne (jeśli posiadasz), listę przyjmowanych leków.

3.

Spisz listę pytań, które chcesz zadać lekarzowi – podczas wizyty łatwo zapomnieć o dopytaniu o wszystkie nurtujące kwestie, dlatego wykonane wcześniej notatki mogą pomóc niczego nie przegapić.

4.

Możesz robić notatki albo poprosić lekarza o wydanie krótkiego podsumowania wizyty w formie pisemnej – spisanie zaleceń i nazwy proponowanych leków pozwoli uniknąć ewentualnych pomyłek.¹⁻⁵

1. Windyga J, et al. Małopłytkowość immunologiczna..., s. 1975-81.
2. Chojnowski K, et al. Polskie zalecenia postępowania..., 29–56.
3. Madkhali MA, Recent advances in the management of immune thrombocytopenic purpura (ITP): A comprehensive review. *Medicine* (Baltimore). 2024 Jan 19;103(3):e36936. doi: 10.1097/MD.00000000000036936. PMID: 38241567; PMCID: PMC10798712.
4. Rodeghiero F, Recent progress in ITP treatment. *Int J Hematol*. 2023 Mar;117(3):316-330. doi: 10.1007/s12185-022-03527-1. Epub 2023 Jan 9. Erratum in: *Int J Hematol*. 2023 Jul;118(1):151. doi: 10.1007/s12185-023-03620-z. PMID: 36622549.
5. Vianelli N, et al. Refractory primary immune thrombocytopenia (ITP): current clinical challenges and therapeutic perspectives. *Ann Hematol*. 2022 May;101(5):963-978. doi: 10.1007/s00277-022-04786-y. Epub 2022 Feb 24. PMID: 35201417; PMCID: PMC8867457.

Wywiad lekarski – o co może zapytać lekarz?

1.

Obecność objawów choroby, przede wszystkim skłonność do powstawania wybroczyn, siniaków, krwawienia po urazach, zabiegach i samoistne,

2.

Inne niepokojące objawy (np. osłabienie, zmęczenie),

3.

Choroby przewlekłe (np. choroby tarczycy, choroby autoimmunologiczne),

4.

Choroby przebyte w ostatnim czasie (np. infekcje),

5.

Leki przyjmowane na stałe, nowe leki włączone w ostatnim czasie,

6.

Przebyte operacje i pobyty w szpitalu,

7.

Wywiad ginekologiczny u kobiet (przebyte ciąży, porody, miesiączki),

8.

Uczulenia na leki,

9.

Nałogi,

10.

Wywiad rodzinny (choroby przewlekłe, małopłytkowość i krwawienia u osób bezpośrednio spokrewnionych: rodziców, rodzeństwa, dziadków, dzieci),

11.

Narażenie na niebezpieczne czynniki (np. toksyny, lakiery, środki ochrony roślin).



GRZEGORZ, 51 L.:

„Należy mieć świadomość, jakie leki bez recepty można przyjmować po diagnozie małopłytkowości, a jakich nie wolno stosować. Z popularnych leków na przeziębienie niewskazany jest ibuprofen, który zaburza proces krzepnięcia krwi. Jeśli nie mamy pewności, zawsze poprośmy farmaceutę o poradę”

LECZENIE PIERWOTNEJ MAŁOPŁYTKOWOŚCI IMMUNOLOGICZNEJ

JAK PRZEBIEGA LECZENIE?

Leczenie ITP ma na celu utrzymanie liczby płytek krwi niezbędnej do zapewnienia prawidłowego działania układu krzepnięcia, a co za tym idzie bezpiecznego funkcjonowania pacjentów w codziennym życiu. Za taką uznaje się przynajmniej 20 000-30 000/mm³, a najlepiej 50 000/mm³. Cel ten należy realizować przy jak najmniejszej toksyczności leczenia.¹⁻⁵

Każdy pacjent wymaga indywidualnego postępowania, które będzie najlepsze w jego przypadku. Pod uwagę brane jest nasilenie małopłytkowości, występowanie objawów choroby, długość trwania choroby, odpowiedzi na wcześniejsze leczenie oraz dodatkowe czynniki, takie jak choroby współistniejące czy stan ogólny.¹⁻⁵

Chorzy na ITP o łagodnym przebiegu, u których liczba płytek wynosi stale >20 000-30 000/mm³ i nie ma objawów skazy krwotocznej, na ogół nie wymagają żadnego leczenia. Terapię należy rozważyć jednak u chorych, u których liczba płytek wynosi powyżej 30 000/mm³, ale występują dodatkowe czynniki ryzyka krwawienia, na przykład choroby współistniejące, stosowanie leków przeciwkrzepliwych lub przeciw płytkowych czy planowane zabiegi operacyjne.¹⁻⁵

1. Windyga J, et al. Małopłytkowość immunologiczna..., s. 1975-81.
2. Chojnowski K, et al. Polskie zalecenia postępowania..., 29-56.
3. Madkhali MA, Recent advances in the management of immune thrombocytopenic purpura (ITP)...
4. Rodeghiero F, Recent progress in ITP treatment....
5. Vianelli N, et al. Refractory primary immune thrombocytopenia (ITP)...



PAWEŁ, 45 L.:

„Prowadzenie aktywnego trybu życia, spełnianie marzeń zawodowych i nierezygnowanie z kontaktów międzyludzkich pomaga w hartowaniu organizmu i przynosi lepsze efekty niż izolowanie się w celu ochrony się za wszelką cenę przed infekcjami”

Transfuzje koncentratu krwinek płytkowych (nazywane przez pacjentów potocznie przetoczeniem płytek) nie są metodą leczenia ITP. Stosuje się je tylko w przypadku wystąpienia zagrażającego życiu krwawienia, aby doraźnie wspomóc funkcjonowanie układu krzepnięcia. Przetoczone płytki krwi generalnie żyją krótko, a u pacjentów z ITP są dodatkowo niszczone przez układ odpornościowy, więc transfuzje nie zapewniają długotrwałego powrotu do prawidłowych wartości PLT.¹⁻⁵

LEKI STOSOWANE W ITP

GLIKOKORTYKOSTEROIDY (GKS)

GKS stanowią leczenie pierwszego wyboru w ITP. Ich celem jest zahamowanie czynności układu odpornościowego. Zwykle są stosowane przez dość krótki okres (kilku dni), maksymalnie do 6 tygodni, ze względu na ryzyko rozwoju działań niepożądanych przy dłuższym stosowaniu. Zwiększenie liczby płytek krwi zazwyczaj następuje w ciągu 2–7 dni, a zadowalający efekt uzyskuje się u 72–88% chorych. Czasem lekarz może zdecydować o utrzymaniu leczenia przewlekłe, ale wówczas stosuje się bardzo małe dawki leku. Nadal często spotykanym błędem jest długotrwałe stosowanie dużych dawek GKS w celu utrzymania odpowiedzi płytkowej. Takie postępowanie naraża chorych na ciężkie powikłania po GKS, które mogą być groźniejsze od samej choroby. Do preparatów najczęściej stosowanych w leczeniu ITP zalicza się: deksametazon, prednizon i metyloprednizolon.¹⁻⁵

DOŻYLNIE IMMUNOGLOBULINY (IVIG)

IVIG stanowią kolejną opcję leczenia pierwszej linii u pacjentów z ITP. Są stosowane w sytuacjach szczególnych, kiedy jest konieczny szybki wzrost poziomu płytek (np. przed zabiegiem

1. Windyga J, et al. Małopłytkowość immunologiczna..., s. 1975-81.
2. Chojnowski K, et al. Polskie zalecenia postępowania..., 29–56.
3. Madkhali MA, Recent advances in the management of immune thrombocytopenic purpura (ITP)...
4. Rodeghiero F, Recent progress in ITP treatment....
5. Vianelli N, et al. Refractory primary immune thrombocytopenia (ITP)...

1. Windyga J, et al. Małopłytkowość immunologiczna..., s. 1975-81.
2. Chojnowski K, et al. Polskie zalecenia postępowania..., 29–56.
3. Madkhali MA, Recent advances in the management of immune thrombocytopenic purpura (ITP)...
4. Rodeghiero F, Recent progress in ITP treatment....
5. Vianelli N, et al. Refractory primary immune thrombocytopenia (ITP)...

operacyjnym lub przy poważnym krwawieniu), u pacjentów nieodpowiadających na leczenie GKS lub z istotnymi przeciwwskazaniami do takiej terapii, a także jako terapię pomostową w przygotowaniu do usunięcia śledziony. U 70-80% chorych zapewniają wzrost płytek krwi już w pierwszej dobie leczenia, a efekt działania utrzymuje się zwykle przez kilka tygodni. IVIG podaje się przez 1-2 dni, w razie potrzeby wlewy można jednak powtarzać. U niektórych chorych terapia IVIG oraz GKS może być stosowana łącznie.¹⁻⁵

AGONIŚCI RECEPTORA TROMBOPOETYNY (TPO)

Trombopoetyna (TPO) jest fizjologicznym czynnikiem, stymulującym produkcję płytek krwi w naszym organizmie. Leki z grupy agonistów receptora TPO swoim działaniem naśladują naturalną TPO, dzięki czemu stymulują szpik kostny do produkcji płytek. W leczeniu ITP stosuje się 3 preparaty z tej grupy: romiplostym, eltrombopag oraz awatrombopag.¹⁻⁵

Stosowanie agonistów TPO jest zalecane u pacjentów, u których początkowe leczenie nie doprowadziło do oczekiwanego wzrostu poziomu płytek krwi. Ich skuteczność jest obserwowana nawet u 94% pacjentów z ITP, a efekty leczenia mogą być obserwowane w ciągu 1-2 tygodni od jego rozpoczęcia. Badania kliniczne pokazały, że skuteczność w zwiększaniu liczby płytek utrzymuje się co najmniej przez 6-8 lat. Należy pamiętać, że agonści TPO działają w odmiennym mechanizmie niż GKS czy IVIG, ponieważ nie hamują aktywności układu immunologicznego, a stymulują produkcję płytek. W związku z tym muszą być stosowane przewlekłe, a ich odstawienie wiąże się z powrotem poziomu PLT do wartości wyjściowych.¹⁻⁵

Bezpieczeństwo stosowania agonistów TPO zostało potwierdzone w badaniach klinicznych, należy jednak pamiętać o

zwiększonym ryzyku wystąpienia powikłań zakrzepowych. Aby tego uniknąć należy kontrolować liczbę PLT w trakcie leczenia i dostosowywać do niej dawki leku. Największe wahania występują na początku terapii, dlatego w tym okresie należy oznaczać pełną morfologię krwi co najmniej raz w tygodniu aż do ustabilizowania poziomu PT powyżej 50 tys./ μ l, utrzymującego się przez co najmniej miesiąc. Później należy kontrolować morfologię raz w miesiącu.¹⁻⁵

Leki z grupy agonistów TPO mają różne formy podania – romiplo-stym jest podawany raz w tygodniu we wstrzyknięciu podskórnym i może być stosowany samodzielnie przez pacjenta po odpowiednim przeszkoleniu, natomiast eltrombopag oraz awatrombopag są dostępne w formie tabletek do codziennego stosowania. Dawki leków są dobierane indywidualnie i zależą od odpowiedzi liczby płytek. Leki należy przyjmować zgodnie z zaleceniami lekarza prowadzącego, a przestrzeganie zaleceń dotyczących dawkowania oraz wykonywanie zaleconych badań pozwala uzyskać maksymalną skuteczność i bezpieczeństwo leczenia.¹⁻⁵

INNE LEKI

- RYTUKSYMAB jest lekiem skierowanym przeciwko limfocytom B, czyli komórkom odpornościowym odpowiedzialnym za powstawanie przeciwciał. Modyfikuje również działanie układu odpornościowego w innych mechanizmach, dzięki czemu zatrzymuje niszczenie płytek krwi. W leczeniu ITP stosuje się 4 dawki leku, podawane co tydzień we wlewie dożylnym. Na leczenie odpowiada około 60% chorych z ITP, a zwiększenie liczby PLT występuje najczęściej 1-8 tygodni po podaniu pierwszej dawki leku.¹⁻⁵

- IMMUNOGLOBULINA ANTY-D stanowi leczenie podobne do IVIG i może być stosowana u niektórych pacjentów z gru-

1. Windyga J, et al. Małopłytkowość immunologiczna..., s. 1975-81.
2. Chojnowski K, et al. Polskie zalecenia postępowania..., 29–56.
3. Madkhali MA, Recent advances in the management of immune thrombocytopenic purpura (ITP)...
4. Rodeghiero F, Recent progress in ITP treatment....
5. Vianelli N, et al. Refractory primary immune thrombocytopenia (ITP)...

1. Windyga J, et al. Małopłytkowość immunologiczna..., s. 1975-81.
2. Chojnowski K, et al. Polskie zalecenia postępowania..., 29–56.
3. Madkhali MA, Recent advances in the management of immune thrombocytopenic purpura (ITP)...
4. Rodeghiero F, Recent progress in ITP treatment....
5. Vianelli N, et al. Refractory primary immune thrombocytopenia (ITP)...

pą krwi Rh-dodatnią. Efekt leczenia utrzymuje się dłużej niż w przypadku IVIG. Niestety nie jest dostępna w Polsce.¹⁻⁵

- **LEKI IMMUNOSUPRESYJNE** (np. azatiopryna, cyklosporyna), czyli leki hamujące układ odpornościowy, mogą być stosowane u niektórych chorych opornych na inne metody leczenia. Ich stosowanie jest jednak ograniczone ze względu na stosunkowo niską skuteczność i duże ryzyko działań niepożądanych.¹⁻⁵

SPLENEKTOMIA

Splenektomia to zabieg operacyjny polegający na usunięciu śledziony, czyli narządu odpowiedzialnego za niszczenie płytek krwi. Do zabiegu kwalifikowani są chorzy powyżej 5. roku życia z przetrwałą lub przewlekłą ITP, którzy nie odpowiedzieli na leczenie farmakologiczne. Decyzja o zabiegu jest podejmowana indywidualnie u każdego pacjenta.¹⁻⁵

Przed zabiegiem podaje się dożylnie immunoglobuliny, aby osiągnąć bezpieczną do operacji liczbę płytek (co najmniej 30 000–50 000/mm³). Ponadto pacjenci zakwalifikowani do zabiegu powinni mieć wykonane szczepienia ochronne, ponieważ usunięcie śledziony trwale osłabia układ odpornościowy, co zwiększa ryzyko zachorowania na infekcje oraz ich ciężkiego przebiegu.¹⁻⁵

Śledziona jest zazwyczaj usuwana metodą laparoskopową, czyli przy użyciu specjalnego przyrządu umożliwiającego dostanie się do jamy brzusznej pacjenta przez niewielkie otwory. Czasami, jeżeli wystąpią trudności techniczne, może być konieczne otwarcie jamy brzusznej w trakcie operacji.

Niestety, splenektomia również nie daje pewności całkowitego wyleczenia ITP. Około 30% chorych po zabiegu wymaga

dalszego leczenia z powodu utrzymującej się lub nawracającej małopłytkowości. Stosuje się wówczas agonistów receptora trombopoetyny lub GKS w najmniejszej skutecznej dawce, a w razie niepowodzenia – leki immunosupresyjne i inne wymienione powyżej. Chorzy poddani splenektomii przez całe życie wymagają wczesnego i intensywnego leczenia zakażeń oraz nadzoru lekarskiego z powodu ryzyka nawrotu małopłytkowości.¹⁻⁵

DZIAŁANIA NIEPOŻĄDANE LECZENIA

Jak każde leczenie, również preparaty stosowane w ITP mogą nieść za sobą ryzyko działań niepożądanych. Korzyści z zastosowanego leczenia zazwyczaj znacząco przewyższają ryzyko związane z wystąpieniem działań ubocznych, jednak w niektórych przypadkach uciążliwe działania niepożądane mogą wymagać dodatkowego leczenia, które je złagodzi, lub być wskazaniem do zmiany metody terapii.¹⁻⁵

Glikokortykosteroidy to leki o dość szerokim profilu działań niepożądanych. Większość z nich rozwija się przy długim czasie stosowania, dlatego schematy leczenia ITP powinny ograniczać się do kilku dni, maksymalnie 6 tygodni. GKS mogą powodować przyrost masy ciała, wzrost ciśnienia tętniczego, cukrzycę, problemy ze snem, zwiększone ryzyko zakażeń, zaburzenia elektrolitowe, jaskrę, zaćmę czy osłabienie siły mięśniowej.¹⁻⁵

Stosowanie agonistów TPO może powodować wahania liczby PLT obserwowane u części chorych, zwłaszcza w początkowym okresie leczenia. Ich zwiększenie powyżej zakresu normy jest związane z ryzykiem powikłań zakrzepowo-zatorowych, natomiast nagły spadek (np. po odstawieniu leku) niesie za sobą zwiększone ryzyko krwawień.¹⁻⁵

1. Windyga J, et al. Małopłytkowość immunologiczna..., s. 1975-81.
2. Chojnowski K, et al. Polskie zalecenia postępowania..., 29–56.
3. Madkhali MA, Recent advances in the management of immune thrombocytopenic purpura (ITP)...
4. Rodeghiero F, Recent progress in ITP treatment....
5. Vianelli N, et al. Refractory primary immune thrombocytopenia (ITP)...

1. Windyga J, et al. Małopłytkowość immunologiczna..., s. 1975-81.
2. Chojnowski K, et al. Polskie zalecenia postępowania..., 29-56.
3. Madkhali MA, Recent advances in the management of immune thrombocytopenic purpura (ITP)...
4. Rodeghiero F, Recent progress in ITP treatment....
5. Vianelli N, et al. Refractory primary immune thrombocytopenia (ITP)...

Działania niepożądane dożylnych immunoglobulin najczęściej obejmują reakcje związane z wlewem leku. Podczas podawania preparatu może pojawić się gorączka, dreszcze, zawroty głowy, ból głowy, nudności czy wzmożona potliwość. U niektórych pacjentów może wystąpić reakcja nadwrażliwości.¹⁻⁵

Splenektomia wiąże się z przewlekłym upośledzeniem odporności, a więc typowym powikłaniem po zabiegu są częste zakażenia. Pacjenci powinni mieć wykonane dodatkowe szczepienia najpóźniej 2 tygodnie przed planowaną operacją (lub jak najszybciej po operacji, jeżeli wcześniej nie jest to możliwe). Jak każda operacja jest również związana z rzadkimi powikłaniami okołozabiegowymi, takimi jak krwawienie śródoperacyjne, pooperacyjna zakrzepica żylna, ból pooperacyjny czy zakażenie w miejscu cięcia chirurgicznego.¹⁻⁵

Szczepienia dodatkowe zalecane przed splenektomią:

- przeciwko *Streptococcus pneumoniae*,
- przeciwko *Neisseria meningitidis*,
- przeciwko *Haemophilus influenzae*,
- przeciwko grypie w każdym sezonie epidemicznym.¹⁻⁵

LEKI PRZECIWWSKAZANE W ITP

Przy bardzo niskim poziomie płytek krwi może być przeciwwskazane stosowanie leków przeciwplatek, przeciwkrzepliwych oraz niektórych leków przeciwzapalnych. Niektóre z tych preparatów mogły zostać Ci zalecone przez lekarzy innych specjalizacji i są bardzo istotne w leczeniu wielu chorób przewlekłych, na przykład choroby niedokrwiennej serca, mi-

gotania przedścionków czy udaru mózgu. Jednak w przypadku spadku płytek krwi do bardzo niskich wartości, istotnie zwiększa się ryzyko krwawienia, co stanowi poważne zagrożenie dla zdrowia, a nawet życia. Stosowanie leków z tych grup u pacjentów z ITP wymaga ścisłego nadzoru lekarza i częstego monitorowania wyników badań.¹⁻⁵

Z tego powodu bardzo ważne jest, aby przedstawić lekarzowi prowadzącemu leczenie pełną listę stosowanych leków oraz ustalić, czy wszystkie z nich są bezpieczne oraz przy jakich wartościach płytek należy odstawić ewentualne leki przeciw-płytkowe i przeciwkrzepliwe. Nie odstawiaj ani włączaj żadnych leków bez konsultacji ze specjalistą! W razie wątpliwości możesz skonsultować się z hematologiem albo z lekarzem rodzinnym.¹⁻⁵

1. Windyga J, et al. Małopłytkowość immunologiczna..., s. 1975-81.
2. Chojnowski K, et al. Polskie zalecenia postępowania..., 29–56.
3. Madkhali MA, Recent advances in the management of immune thrombocytopenic purpura (ITP)...
4. Rodeghiero F, Recent progress in ITP treatment....
5. Vianelli N, et al. Refractory primary immune thrombocytopenia (ITP)...





BEATA, 48 L.:

„Należy korzystać ze sprawdzonych i polecanych źródeł internetowych, nie traktować przypadkowych wyników z wyszukiwarek jako źródła wiedzy. Szukając porad i wsparcia w grupach trzeba pamiętać, że u każdego choroba może przebiegać inaczej. Na Facebooku mogę polecić grupę „Małopłytkowość samoistna – grupa wsparcia”.

ŻYCIE Z ITP

Większość pacjentów z ITP nie doświadcza objawów choroby na co dzień. Liczba płytek utrzymująca się na stabilnym poziomie powyżej 20 000–50 000/mm³ jest bezpieczna i wystarczająca do zapewnienia odpowiedniego krzepnięcia krwi przy standardowym trybie życia. Pacjenci nie muszą ograniczać codziennej, rutynowej aktywności, powinni być jednak świadomi pewnych ograniczeń oraz zachowywać czujność pod kątem wystąpienia niepokojących objawów. Pojawienie się nowych wybroczyn, siniaków czy aktywnego krwawienia zawsze jest wskazaniem do wykonania kontrolnej morfologii krwi oraz kontaktu z lekarzem.¹

1. <https://www.pdsa.org/what-is-itp.html>
[dostęp 09.09.2024].

AKTYWNOŚĆ FIZYCZNA

Pacjenci ze stabilną liczbą płytek krwi nie muszą ograniczać aktywności fizycznej i mogą bezpiecznej uprawiać większość sportów. U pacjentów z liczbą płytek poniżej 50 000/mm³ przeciwskazane są jednak sporty ekstremalne, sporty walki czy sporty kontaktowe, związane ze zwiększonym ryzykiem urazu i krwawienia (np. skok ze spadochronem, narciarstwo alpejskie, skok na bungee, nurkowanie, boks).¹

ITP A CIĄŻA

ITP występuje u 1–3 na 10 000 kobiet w ciąży, ale wymaga leczenia tylko u 30–50% z nich. Jeżeli to możliwe, u pacjentek z nowo rozpoznaną lub niestabilną ITP zaleca się czasowe odroczenie planowanej ciąży do czasu ustabilizowania choroby. U pacjentek z przewlekłą ITP jak najbardziej możliwe jest donoszenie ciąży do naturalnego terminu porodu oraz poród siłami natury. Lekarz prowadzący ciążę musi być jednak świadomy współistniejącej choroby, ponieważ jest ona związana ze zwiększonym ryzykiem krwa-

1. <https://www.pdsa.org/what-is-ity.html> [dostęp 09.09.2024].
2. Bussell JB, Knightly KA. Immune thrombocytopenia (ITP) in pregnancy. Br J Haematol. 2024 Apr;204(4):1176-1177. doi: 10.1111/bjh.19230. Epub 2024 Jan 23. PMID: 38263610.
3. Windyga J, et al. Małopłytkowość immunologiczna..., s. 1975-81.

wienia zarówno w trakcie ciąży, jak i porodu. W niektórych przypadkach może być konieczne podanie odpowiednich leków w dniach poprzedzających poród. Pacjentki ciężarne mogą otrzymywać glikokortykosteroidy albo dożylnie immunoglobuliny, należy jednak unikać leków immunosupresyjnych. Analogi receptora trombopoetyny nie są jeszcze zarejestrowane do stosowania w ciąży.^{1,2}

DIETA W ITP ¹

Nie udowodniono wpływu diety na ryzyko rozwoju ITP, w związku z tym nie istnieją konkretne zalecenia dietetyczne związane z postawionym rozpoznaniem. Modyfikacja diety może być jednak wskazana w przypadku konkretnych terapii.³

Leczenie GKS może być powikłane wzrostem masy ciała, wahaniami poziomu glikemii oraz zwiększonym ryzykiem rozwoju cukrzycy, dlatego w trakcie ich przyjmowania warto stosować dietę niskowęglowodanową i ubogotłuszczową. Osoby z rozpoznaną cukrzycą powinny szczególnie przestrzegać zaleceń żywieniowych, może też zaistnieć potrzeba przejściowej modyfikacji leczenia przeciwcukrzycowego (np. zwiększenie dawek insuliny).³

Przy przyjmowaniu agonistów TPO należy zwrócić uwagę na wskazówki, dotyczące łączenia leków z posiłkami. Eltrombopag ma zdolność wiązania niektórych kationów, takich jak żelazo, wapń, magnez, glin, selen i cynk, co powoduje zmniejszenie jego aktywności. Dlatego należy zachować odpowiedni odstęp czasowy pomiędzy zażyciem leku a posiłkiem bogatym w nabiał czy przyjęciem suplementów zawierających te pierwiastki (przynajmniej 2 godziny przed lub 4 godziny po spożyciu takich produktów). Pokarmy, które można bezpiecznie łączyć z eltrombopagiem to na przykład: owoce, chuda szynka, wołowina i niewzbogacone (bez dodatku wapnia, magnezu lub żelaza) soki owocowe, niewzbogacone mleko sojowe oraz niewzbogacone ziarna.³

Awatrombopag, w odróżnieniu od eltrombopagu, nie wchodzi w interakcję z pokarmami i zaleca się przyjmowanie go podczas posiłku. Z kolei przyjmowanie romiplostymu raz w tygodniu jest niezależne od spożycia posiłków, dodatkowo pacjent nie musi stosować specjalnej diety. Dozwolone są również produkty bogate w wapń.¹

1. Windyga J, et al. Małopłytkowość immunologiczna..., s. 1975-81.
2. Zdziarska J, et al. Praktyka Kliniczna - opieka okołooperacyjna. Opieka okołooperacyjna nad chorym ze skazą krwotoczną. Med. Prakt., 2021; 3; 130-144.

Jeżeli Twoja terapia wymaga zachowania szczególnych zasad diety, Twój lekarz Cię o tym poinformuje. Stosowanie się do zaleceń zwiększa powodzenie terapii i pozwala uniknąć niepożądanych skutków leczenia.¹

ITP A ZABIEGI OPERACYJNE

Przy niektórych zabiegach i operacjach konieczne jest utrzymanie liczby płytek na odpowiednio wysokim poziomie, w zależności od szacowanego ryzyka krwawienia. W przypadku zabiegu lub operacji konieczna jest konsultacja z lekarzem prowadzącym, aby wprowadzić ewentualne modyfikacje w leczeniu i jak najlepiej przygotować się do planowanej procedury.^{1,2}

Rodzaj zabiegu ^{1,2}	Docelowa liczba płytek ^{1,2}
zachowawcze leczenie stomatologiczne	>20 000-30 000/mm ³
ekstrakcja jednego zęba	>30 000/mm ³
małe zabiegi chirurgiczne, złożone ekstrakcje zębów	>50 000/mm ³
znieczulenie podpajęczynówkowe lub zewnątrzoponowe	>70 000/mm ³
duże zabiegi chirurgiczne lub inwazyjne zabiegi diagnostyczne o dużym ryzyku krwawienia, np. bronchoskopia z planowaną biopsją, biopsja nerki	>80 000/mm ³
duże zabiegi neurochirurgiczne	>100 000/mm ³

WSPARCIE EMOCJONALNE W ITP

1. <https://www.pdsa.org/what-is-itp.html>
[dostęp 09.09.2024].

Diagnoza ITP i pewne ograniczenia związane z chorobą mogą być obciążeniem emocjonalnym i wpływać na Twój komfort psychiczny. Pamiętaj – wiedza to potęga! Poznanie tej choroby to pierwszy krok, który pomoże Ci poczuć się lepiej. Powyższa broszura podsumowała podstawowe informacje dotyczące rozwoju choroby, objawów i leczenia. W razie dodatkowych wątpliwości możesz poprosić o poradę swojego lekarza prowadzącego.¹

Dodatkowe wsparcie zapewniają organizacje zrzeszające pacjentów z chorobami rzadkimi. Poznanie osób zmagających się z tym samym rozpoznaniem to okazja do poszerzenia wiedzy, ale także rozmowy o codziennych trudnościach związanych z chorobą oraz wsparcia emocjonalnego w trudnych momentach.¹

**Lista organizacji
udzielających
wsparcia pacjentom
z chorobami
hematologicznymi**



Częstochowska Fundacja Na Rzecz Hematologii „PRZY TOBIE”

www.fundacjaprzytobie.czyst.pl

Fundacja Carita im. Wiesławy Adamiec

www.fundacjaarita.pl

Fundacja Na Rzecz Pomocy Chorym Na Białaczki

www.fundacja.hematologiczna.org

Polska Koalicja Pacjentów Onkologicznych

www.pkpo.pl

Fundacja OnkoCafe. Razem lepiej

www.onkocafe.pl

PIŚMIENNICTWO:

Bussel JB, Knightly KA. Immune thrombocytopenia (ITP) in pregnancy. *Br J Haematol.* 2024 Apr;204(4):1176-1177. doi: 10.1111/bjh.19230. Epub 2024 Jan 23. PMID: 38263610.

Chojnowski K, Klukowska A, Łętowska M, Łaguna P, Młynarski W, Mital A, Musiał J, Trelński J, Undas A, Urański T, Windyga J, Zdziarska J, Podolak-Dawidziak M. Polskie zalecenia postępowania w pierwotnej małopłytkowości immunologicznej i dorosłych opracowane przez Grupę ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów - aktualizacja 2024. *Med. Prakt.*, 2024; 5: 29-56.

Madkhali MA. Recent advances in the management of immune thrombocytopenic purpura (ITP): A comprehensive review. *Medicine (Baltimore).* 2024 Jan 19;103(3):e36936. doi: 10.1097/MD.00000000000036936. PMID: 38241567; PMCID: PMC10798712.

Rodeghiero F. Recent progress in ITP treatment. *Int J Hematol.* 2023 Mar;117(3):316-330. doi: 10.1007/s12185-022-03527-1. Epub 2023 Jan 9. Erratum in: *Int J Hematol.* 2023 Jul;118(1):151. doi: 10.1007/s12185-023-03620-z. PMID: 36622549.

Vianelli N, Auteri G, Buccisano F, Carrai V, Baldacci E, Clissa C, Bartoletti D, Giuffrida G, Magro D, Rivolti E, Esposito D, Podda GM, Palandri F. Refractory primary immune thrombocytopenia (ITP): current clinical challenges and therapeutic perspectives. *Ann Hematol.* 2022 May;101(5):963-978. doi: 10.1007/s00277-022-04786-y. Epub 2022 Feb 24. PMID: 35201417; PMCID: PMC8867457.

Windyga J, Młynarski W, Ochrem B, Zawilska K, Małopłytkowość immunologiczna [w:] *Interna Szczeklika 2024*, Medycyna Praktyczna, Kraków 2024, s. 1975-81.

Zdziarska J, Krawczyk P, Szczeklik W. Praktyka kliniczna - opieka okołooperacyjna. Opieka okołooperacyjna nad chorym ze skazą krwotoczną. Med. Prakt., 2021; 3: 130-144.

<https://www.pdsa.org/what-is-itp.html> [dostęp 09.09.2024].

