

## **Trombocitopenia imună de copil - actualități de tratament și diagnostic**

**Anca Colita, Andrei Colita**

**Universitatea de Medicină și Farmacie "Carol Davila"**

### **Abstract**

Trombocitopenia imună (PTI) este o tulburare dobândită a hemostazei primare, caracterizată în mod clasic prin distrugerea mediată de anticorpi a trombocitelor și afectarea producției de trombocite, care apare adesea în absența unor factori precipitanți identificabili și specifici. Date noi confirmă prezența răspunsurilor anormale ale limfocitelor Th1/Th17 secundare absenței limfocitelor Tregs urmata de inițierea/perpetuarea secundară a autoimunității plachetare. Activarea celulelor T este asociată cu răspunsuri anormale ale celulelor B. Megacariopoieza este puternic afectată în PTI, cu dezvoltarea anormală a megacariocitelor (MK) (scăderea ploidei și granularității) și reducerea eliberării de trombocite. În plus, aproximativ două treimi din pacienții cu PTI au autoanticorpi plasmatici care pot inhiba semnificativ maturarea MK. PTI poate fi clasificată clinic în 3 faze: a) prima fază, denumită PTI nou diagnosticată, care apare în primele 3 luni post-diagnostic, b) a doua fază este denumită PTI persistentă și se referă la cazurile care durează între 3 și 12 luni, c) iar a treia fază este denumită PTI cronică, în care simptomele rămân prezente mai mult de 12 luni.

Majoritatea copiilor cu PTI nou diagnosticat nu necesită tratament, iar trombocitopenia se rezolvă spontan. Strategiile de tratament vizează restabilirea numărului de trombocite compatibile cu o hemostază adecvată, și nu obținerea unui număr normal de trombocite. Tratamentele de primă linie se concentrează asupra inhibării producției de autoanticorpi și a degradării plachetare, în timp ce tratamentele de linia a doua includ medicamente imunosupresoare și splenectomie. În cele din urmă, tratamentele de a treia linie vizează stimularea producției de trombocite prin megacariocite. În 2008, doi agoniști ai receptorilor de trombopoietină, romiplostin și eltrombopag, au devenit disponibili pentru pacienții adulți cu PTI cronică. În ciuda noilor realizări în abordarea terapeutică, în practica reală este foarte dificil să se trateze pacienții cu medicamente noi din cauza resurselor financiare limitate și a lipsei unor reglementări pentru utilizarea „off-label”.