

MeB – Pagine Elettroniche

Volume III

Maggio 2000

numero 5

PEDIATRIA PER L'OSPEDALE

Porpora Trombocitopenica Immune (PTI) Acuta in Età Pediatrica

Fabio Tucci

U.O. Oncoematologia, Az.Osp. Meyer

Viene definita PTI l'entità clinica caratterizzata da trombocitopenia isolata (piastrine $< 150.000/L$) non associata ad altre condizioni cliniche o ad altre cause di trombocitopenia. Si tratta di una entità non rara, con un'incidenza di 3-10 casi/100.000 soggetti di età < 16 anni, che nella forma pediatrica presenta un picco di incidenza tra i 2 ed i 4 anni, che non mostra una prevalenza di sesso e che risolve spontaneamente entro 2-8 settimane nel 70-80% dei casi. E' opportuno sottolineare che la diagnosi di PTI è una diagnosi di esclusione e che attualmente non esiste un test di laboratorio specifico per la diagnosi.

Come è noto si definisce PTI Acuta la forma che risolve entro 6 mesi dalla diagnosi. Anche se alcuni fattori (sesso femminile, età all'esordio > 10 anni, esordio clinico nelle 4-6 settimane precedenti la diagnosi, conta piastrinica all'esordio più alta) sembrano associarsi con più frequenza all'evoluzione in forma cronica (PTI di durata > 6 mesi), non è possibile prevedere all'esordio, in base a parametri clinici e di laboratorio, quali forme evolveranno in PTI croniche.

Con l'obiettivo di uniformare le modalità di diagnosi e trattamento della PTI acuta in età pediatrica e ottimizzare il rapporto costo/efficacia, l'Associazione Italiana di Emato-Oncologia Pediatrica (AIEOP) ha elaborato recentemente delle linee guida, che rappresentano raccomandazioni di comportamento clinico, basate sull'evidenza delle conoscenze, allo scopo di assistere il pediatra nella diagnosi e nella decisione su quali siano le modalità di assistenza più appropriate per la PTI Acuta in età pediatrica (RIP 1999;25:41-51). Tali Linee guida sono state concepite in accordo con il percorso per l'elaborazione e l'implementazione delle linee guida per la pratica clinica. Anche l'American Society of Hematology (ASH) ha sviluppato piuttosto recentemente, con una metodologia molto raffinata, delle linee guida sull'argomento (Blood 1996; 88:3-40).

Secondo le Linee Guida AIEOP, la diagnosi di PTI si basa su una corretta anamnesi, su un adeguato esame obiettivo, sull'esecuzione di un esame emocromocitometrico completo e su un esame dello striscio periferico al Microscopio Ottico, che permettano di escludere altre cause di trombocitopenia. Altri esami non sono indicati nell'inquadramento di routine.

In particolare nell'anamnesi è documentabile frequentemente una pregressa malattia virale nelle 6 settimane precedenti l'esordio clinico o una vaccinazione con virus vivo attenuato

(vaccino contro morbillo, parotite e rosolia); l'esame fisico, oltre alla presenza di petecchie e/o ecchimosi di entità variabile, non mostra dismorfismi o segni suggestivi di trombocitopenia congenita (Anemia di Fanconi, TAR, S. di Wiskott-Aldrich), né epatosplenomegalia. In base all'entità e alla sede (cutanea o mucosa o d'organo) della sintomatologia emorragica è possibile identificare tre forme cliniche

- asintomatica-paucisintomatica,
- con sintomatologia intermedia,
- con sintomatologia grave

Il tipo di presentazione clinica, insieme al valore della conta piastrinica, costituisce il principale criterio sull'opportunità di un eventuale trattamento terapeutico.

L'emocromo documenta l'entità della piastrinopenia, e dà informazioni, con l'MPV, sul volume medio piastrinico, che risulta spesso modicamente aumentato. Lo striscio periferico, accanto alla normale morfologia degli eritrociti e dei leucociti, permette la visualizzazione della morfologia piastrinica, con assenza di piastrine giganti (s. di Bernard Soulier) e assenza di aggregati piastrinici (pseudopiastrinopenia). Non è necessario, per la diagnosi, il dosaggio degli Anticorpi Anti-piastrine (PAIgG), in quanto tali metodiche (RIA, ELISA, Citometria) mostrano una scarsa riproducibilità e inoltre, accanto a un'alta sensibilità (90%), mostrano una bassa e inaccettabile specificità (25%). L'esecuzione dell'aspirato midollare non è unanimemente consigliato alla diagnosi. La sua esecuzione può essere giustificata nei casi in cui la diagnosi non sia possibile con un sufficiente grado di certezza (DD con trombocitopenie ipo/amegacariocitiche, esordio nei primi 12 mesi di vita) e diviene appropriata prima del trattamento con steroidi.

A proposito di trattamento, bisogna cercare di rispondere a queste domande: curare cosa (il numero di piastrine?), chi (il paziente piastrinopenico? con quale sintomatologia?), quando (subito? dopo un periodo di osservazione?), dove (in ambulatorio? in Day Hospital? in Ospedale?) e con che cosa (Immunoglobuline e.v.?, Corticosteroidi p.o.?, Corticosteroidi e.v.?) tenendo conto che, come già precedentemente sottolineato, la PTI in età pediatrica risolve spontaneamente entro 2 - 8 settimane nel 70-80% dei casi e che non è dimostrato che la terapia somministrata influenzi l'evoluzione della malattia.

Il problema della emorragia cerebrale è stato inoltre ridimensionato rivalutando tutti i casi riportati in letteratura, in termini d'incidenza e di rapporto temporale con la comparsa della trombocitopenia. Va inoltre tenuto conto che tutti i dati della letteratura riguardanti l'efficacia della terapia si basano sull'effetto di questa sulla conta piastrinica, piuttosto che su valutazioni cliniche, come scomparsa della sintomatologia ed effetto sulla morbilità/mortalità.

Partendo da queste considerazioni le linee guida AIEOP prevedono un trattamento variabile, a partire da nessuna terapia, in base a due variabili, costituite dalla conta piastrinica e alla forma clinica di presentazione (asintomatica-paucisintomatica; con sintomatologia intermedia; con sintomatologia grave), privilegiando quelle terapie di cui sia dimostrata una rapida efficacia sull'incremento della conta piastrinica. Le posologie considerate sono le seguenti:

Steroidi:

a) steroidi orali a dosi standard (prednisone 2 mg/Kg/die in tre dosi per 14 gg; ridurre e sospendere al giorno 21; dose max/die 80 mg);

b) steroidi orali ad alte dosi (prednisone 4 mg/Kg/die in tre dosi per 7 gg; scalare del 50% nella settimana successiva; ridurre gradatamente in seguito fino al gg 21; dose max 180 mg/die nella prima settimana)

c) steroidi e.v. (Metilprednisolone 15-30 mg/Kg in dose unica infusa in 30-60 minuti per 3 gg; dose max 1 gr./die).

IgG per uso e.v.:

0.8 gr/Kg/die x 1 gg; oppure 2 gr/Kg in 2-5gg.