

# Naše první zkušenost s kaplacizumabem u TTP

**Eva Drbohlavová, Kristýna Datinská**

Oddělení klinické hematologie Krajské nemocnice Liberec, a. s.

Trombotická trombocytopenická purpura (TTP) je vzácné onemocnění s vysokou mortalitou. Její prognóza je závislá na brzké diagnostice a včasném zahájení léčby při odůvodněném podezření na toto onemocnění. Zlatým standardem do roku 2021 byla kombinace imunosuprese a terapeutické výměnné plazmaferézy (therapeutic plasma exchange TPE) (1, 2). Nyní je v I. linii léčby dostupný kaplacizumab, který významně mění rychlost dosažení léčebné odpovědi u pacientů se získanou TTP (3–5). A právě na případu naší pacientky ukážeme, jak ji včasné zahájení léčby kaplacizumabem spolu s imunosupresí a TPE vrátilo do života.

**Klíčová slova:** ADAMTS13, kaplacizumab, imunosuprese, terapeutická výměnná plazmaferéza, trombotická trombocytopenická purpura.

## Our first experience with caplacizumab in TTP

Thrombotic thrombocytopenic purpura (TTP) is a rare disease with high mortality. Its prognosis depends on early diagnosis and timely initiation of treatment when there is reasonable suspicion of this disease. Until 2021, the gold standard was a combination of immunosuppression and therapeutic plasma exchange (TPE) (1,2). Caplacizumab is now available as a first-line treatment, significantly changing the rate of therapeutic response in patients with acquired TTP (3-5). The case of our patient demonstrates how early initiation of treatment with caplacizumab, together with immunosuppression and TPE, brought her back to life.

**Key words:** ADAMTS13, caplacizumab, immunosuppression, therapeutic plasma exchange, thrombotic thrombocytopenic purpura.

## Úvod do problematiky

TTP je velice vzácné onemocnění s incidencí 4 : 1 000 000/rok. Mortalita i morbidita jsou závislé na včasné diagnostice a léčbě, a proto by měl mít o této nemoci povědomí každý lékař. Onemocněním trpí 2x častěji ženy a má tendenci k relapsům. TTP patří do skupiny trombotických mikroangiopatií (TMA) a projevuje se přítomností mikroangiopatické hemolytické anémie (MAHA), těžké trombocytopenie a ischemickým poškozením cílových tkání a orgánů mikrotrombotizací. Nejčastěji vidáme postižení mozku, ledvin a srdce. Onemocnění je způsobeno deficitem metaloproteázy štěpící von Willebrandův faktor (vWF), ADAMTS13 (A Disintegrin-like And Metalloproteinase with Thrombospondin 1 motifs, 13<sup>th</sup> member). Tento deficit je v 95 % případů získaný díky autoprotiilátkám anti-ADAMTS13, pak mluvíme o imunitně podmíněné trombotické trombocytopenické purpře (iTTP), vzácně může být deficit ADAMTS13 vrozený. Pak mluvíme o kongenitální

trombotické trombocytopenické purpře (cTTP). Tvorba protiilátek může být způsobena infekcí, autoimunitním onemocněním, graviditou, léky a u části případů se příčina nezjistí (1, 2, 6). Diagnostické pro iTTP je snížení ADAMTS13 pod 10 % a průkaz protiilátek. K predikci pravděpodobnosti těžkého deficitu ADAMTS13 lze použít některé skórovací systémy—Plazmic skóre, French skóre (Tab. 1) (6). Léčbu je nutné zahájit již při průkazu trombotické mikroangiopatie a podezření na TTP, neboť zdržení může vést k těžkému orgánovému poškození až smrti. Zlatým standardem léčby je kombinace imunosuprese a TPE. Od ledna 2021 je v ČR dostupný v první linii léčby i kaplacizumab. Jde o humanizovanou protiilátku proti A1 doméně vWF, blokující vazbu vWF na trombocyty čímž, ovlivňuje tvorbu trombu bohatých na trombocyty v mikrocirkulaci (3–5). A právě tuto humanizovanou monoklonální protiilátku spolu s TPE a imunosupresí jsme úspěšně použili v léčbě iTTP u naší pacientky.