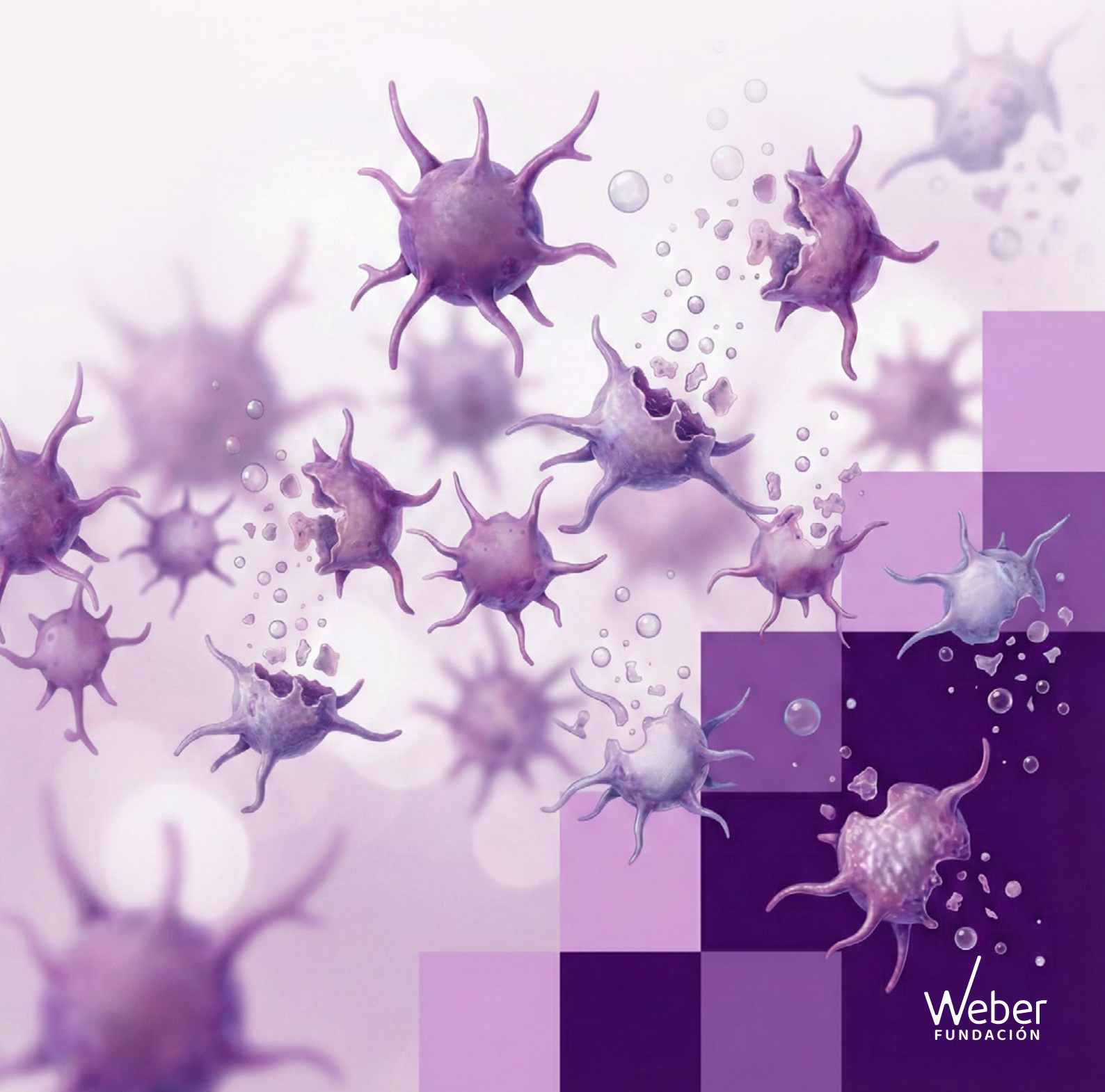
Conexión PTI 360

15 RETOS, UN PLAN EN TROMBOCITOPENIA INMUNE PRIMARIA



Weber
FUNDACIÓN

Conexión PTI 360

15 RETOS, UN PLAN EN TROMBOCITOPENIA INMUNE PRIMARIA

JUNIO 2026

Realizado por: Weber Fundación

Patrocinado por: sanofi

Con el aval de: SEHH Social Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia

Apoya esta iniciativa

fedhemo Federación Española de Hemofilia

AUTORES

Rosa M. Nevado[1], **Raquel Sánchez-San Cristóbal**[1] **y Grupo de Trabajo Multidisciplinar**[2]

1 Weber, Departamento de Health Economics & Market Access.
2 Grupo de Trabajo Multidisciplinar.

Grupo de Trabajo Multidisciplinar

Cristina Pascual Izquierdo. ***Coordinadora del proyecto***

Jefa de Sección, Servicio de Hematología y Hemoterapia en el Hospital General Universitario Gregorio Marañón (Madrid, España).
Presidenta del Grupo Español de Trombocitopenia Inmune (GEPTI).

Blanca Sánchez González

Jefa de Sección, Servicio de Hematología en el Hospital del Mar (Barcelona, España).
Vicepresidenta del Grupo Español de Trombocitopenia Inmune (GEPTI).

Mónica Climente Martí

Jefa de Servicio de Farmacia Hospitalaria en el Hospital Universitario Doctor Peset (Valencia, España).

Vicente Escudero Vilaplana

Farmacéutico Adjunto en el Hospital General Universitario Gregorio Marañón (Madrid, España).

Javier Letellez Fernández

Farmacéutico Adjunto en el Hospital Universitario de Fuenlabrada (Madrid, España).

M.ª Elena Torres Grande
Enfermera en el Hospital del Mar (Barcelona, España).

Beatriz Pérez-Picón Fernández

Trabajadora Social en la Federación Española de Hemofilia (FEDHEMO) (España).

Ruth Segovia y Mayoral
Paciente con trombocitopenia inmune primaria (España).

Hugo Puig Lara

Paciente con trombocitopenia inmune primaria (España).

Edita
© Fundación Weber
C/ Moreto 17, 5º Dcha. 28014, Madrid

Coordinación editorial:
weber@weber.org.es

ISBN: 979-13-990350-1-8

D.L.: M-10328-2026

DOI: https://doi.org/10.37666/i36-2026

Madrid, junio de 2026

ÍNDICE

ABREVIATURAS 7

RESUMEN EJECUTIVO **9**

1. INTRODUCCIÓN **11**

1.1. Trombocitopenia inmune primaria 11

1.2. Contexto de la trombocitopenia inmune primaria en España 13

2. JUSTIFICACIÓN Y OBJETIVOS DEL PROYECTO **15**

3. METODOLOGÍA **17**

3.1. Grupo de Trabajo Multidisciplinar 17

3.2. Diseño del proyecto 18

3.3. Revisión de la literatura 19

4. NECESIDADES NO CUBIERTAS EN LA TROMBOCITOPENIA INMUNE PRIMARIA **21**

5. RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA PARA EL TOP 15 NECESIDADES NO CUBIERTAS **23**

5.1. Necesidades no cubiertas clínicas y terapéuticas 23

A1. Déficit de datos en vida real e insuficiente inclusión de pacientes en los registros 23

A2. Carencia de biomarcadores predictivos del curso patológico y respuesta al tratamiento 24

A3. Falta de intervenciones tempranas que estabilicen la respuesta y eviten los tratamientos de rescate 25

A4. Opciones de tratamiento limitadas en poblaciones especiales 26

A5. Insuficiente evidencia en vida real sobre adherencia y persistencia 29

A6. Ausencia de un estándar de referencia diagnóstico 30

5.2. Necesidades no cubiertas del paciente 31

B1. Falta de atención a la salud mental e impacto psicosocial 31

B2. Ausencia de estandarización de cuestionarios para medir experiencia del paciente y resultados reportados por el paciente, con énfasis en la calidad de vida, e implementación de su uso en la práctica clínica 32

B3. Déficit en la educación e información al paciente 33

B4. Falta de formación y equipos multidisciplinares para un abordaje integral 34

B5. Escaso abordaje de la carga socioeconómica por pérdida de productividad e impacto familiar 35

5.3. Necesidades no cubiertas en la gestión sanitaria 36

C1. Necesidad de impulso en la ejecución del plan estratégico de enfermedades raras, dotándolo de financiación e indicadores de desempeño 36

C2. Falta de incorporación de criterios de eficiencia del sistema en la toma de decisiones 37

C3. Presencia de desigualdades territoriales y dificultades en el acceso a derechos sociales 38

C4. Escasez de estrategias para visibilizar las enfermedades raras 39

ÍNDICE

6. CONCLUSIONES **41**

ANEXOS **43**

Anexo 1. Listado global de NNC en la PTI 43

Anexo 2. Puntuación de las NNC en PTI por parte del Grupo de Trabajo Multidisciplinar atendiendo a sus perfiles 45

REFERENCIAS 47

ÍNDICE DE FIGURAS

Figura 1. Justificación y objetivos del proyecto «Conexión PTI 360» 15

Figura 2. Miembros del Grupo de Trabajo Multidisciplinar 17

Figura 3. Agrupación por bloques de las NNC en la PTI 18

Figura 4. Diseño del proyecto «Conexión PTI 360» 19

Figura 5. Estrategia de búsqueda estructura y revisión de la literatura 20

Figura 6. TOP 15 NNC prioritarias en la PTI 21

Figura 7. Misión y objetivo del proyecto «Conexión PTI 360» 41

ABREVIATURAS

ABREVIATURA	DESCRIPCIÓN
CVRS	Calidad de vida relacionada con la salud
EA	Eventos adversos
PRE	Experiencia reportada por el paciente (del inglés, *Patient-Reported Experiences*)
PRO	Resultados reportados por el paciente (del inglés, *Patient-Reported Outcomes*)
PTI	Trombocitopenia inmune primaria

RESUMEN EJECUTIVO

La trombocitopenia inmune primaria (PTI) es una enfermedad rara causada por una desregulación del sistema inmune que induce una acusada disminución en el recuento plaquetario. Estas alteraciones se traducen en un aumento en el riesgo de sangrado espontáneo tanto leve (hematomas y petequias) como grave (hematuria, hemorragia gastrointestinal y hemorragia intracraneal).

El diagnóstico de la PTI se realiza por exclusión de otras causas de trombocitopenia, lo que refleja la falta de un diagnóstico claramente establecido. Respecto al tratamiento, se han desarrollado diversas terapias entre las que se incluyen corticosteroides, inmunoglobulinas intravenosas, transfusiones de plaquetas, agonistas del receptor de trombopoyetina, inmunosupresores, agentes inmunomoduladores y, en casos necesarios, esplenectomía. A pesar de contar con una amplia gama de tratamientos, su respuesta es limitada y en la mayoría de las ocasiones no actúa sobre la causa subyacente de la patología.

En la actualidad, se están realizando numerosos ensayos clínicos en el campo de la PTI, sin embargo, existen desafíos relevantes como la inclusión de perfiles de pacientes que habitualmente son excluidos, estandarización de criterios y definiciones o el desarrollo de enfoques terapéuticos más personalizados y comparativos entre estrategias terapéuticas. Además, también existe un limitado conocimiento de la PTI en la práctica clínica real, lo que nos aleja del contexto que vive el paciente durante el manejo de la patología.

La extensa carga clínica de esta patología se traduce en una elevada carga psicológica, social y económica para el paciente y su entorno. Uno de los principales problemas que sufren es la fatiga física y mental, así como el fuerte condicionamiento en las actividades cotidianas. Los pacientes demandan una mejora sustancial en su calidad de vida, promover la formación que reciben y una atención psicosocial adaptada a su situación, entre otras.

El sistema sanitario español se enfrenta a nuevos retos y desafíos para ofrecer una atención de calidad basada en la evidencia. Dar visibilidad a esta patología en la sociedad, así como fomentar la red de apoyo y acceso a recursos sociales supone un punto de inicio para la atención integral del paciente, garantizando en paralelo la sostenibilidad y solvencia del sistema.

El proyecto «Conexión PTI 360» pretende identificar las principales necesidades no cubiertas de la PTI en España y abordar posibles recomendaciones y propuestas de mejora mediante una perspectiva holística e integral. Este proyecto cuenta con la experiencia y conocimiento de un Grupo de Trabajo Multidisciplinar especializado en la PTI e integrado por diferentes perfiles sanitarios y sociosanitarios, así como pacientes.

1. INTRODUCCIÓN

1.1. Trombocitopenia inmune primaria

La trombocitopenia inmune primaria (PTI) es una enfermedad rara provocada por un trastorno inmune adquirido que se define por un recuento plaquetario reducido de <100x10^9/L, en ausencia de otras causas que puedan asociarse a trombocitopenia[1–4]. Si bien no se han determinado aún los mecanismos moleculares exactos, se considera que interviene tanto la destrucción plaquetaria periférica mediada por autoanticuerpos, como la alteración en la producción de megacariocitos en la médula ósea[5–8]. Esta afección conlleva un riesgo elevado de sangrado espontáneo, que no siempre es predecible y que puede variar desde sangrados leves (hematomas y petequias) hasta más graves (hematuria, hemorragia gastrointestinal y hemorragia intracraneal)[9–11].

Se estima que la incidencia de la PTI es de 2 a 4 casos por cada 100.000 individuos al año, tanto en adultos como en niños. La prevalencia es mayor en los adultos (10 por cada 100.000 frente a 5 por cada 100.000 en niños) debido a una mayor tasa de cronicidad en esta población[12].

La fisiopatología de la PTI es reconocida como un trastorno multifactorial, combinación de mecanismos inmunológicos heterogéneos y complejos. Este fenómeno se explica por la acción de varios mecanismos que actúan de forma conjunta: por un lado, los linfocitos B producen anticuerpos que se unen a proteínas de la superficie de las plaquetas, señalándolas para su eliminación; por otro, los linfocitos T citotóxicos pueden destruir directamente estas células. Además, se produce un desequilibrio en diferentes tipos de linfocitos T, incluyendo una disminución de las células T reguladoras, lo que provoca que la respuesta inmune sea descontrolada y ataque al propio organismo. Esta actividad anormal no se limita a las plaquetas maduras, sino que también puede afectar a los megacariocitos, las células de la médula ósea encargadas de producir nuevas plaquetas, dificultando así la recuperación del recuento plaquetario[11,13–15].

Actualmente, no existen biomarcadores específicos que confirmen de manera definitiva la enfermedad, por tanto, el diagnóstico de la PTI se basa en un proceso de exclusión[4,12,16]. Según su etiología, la trombocitopenia inmune se clasifica en primaria o secundaria. La PTI se define como un trastorno inmune adquirido sin evidencia de otras causas o enfermedades subyacentes, mientras que la trombocitopenia inmune secundaria comprende todas aquellas formas asociadas con otra condición clínica como neoplasias linfoides, exposición a ciertos tratamientos o infecciones víricas[4,11,17]. La PTI también puede clasificarse según la duración de la enfermedad, como recién diagnosticada (0 a <3 meses), persistente (≥3 a <12 meses) y crónica (≥12 meses)[4,11,17]. De forma independiente y asociada a la gravedad clínica, se define la PTI severa como aquella que presenta síntomas hemorrágicos clínicamente significativos que requieren intervención terapéutica inmediata o intensificación/continuidad del tratamiento[4,11,17]. Adicionalmente, alrededor de un 5–30 % de los pacientes desarrollan PTI refractaria manifestando recuentos bajos de plaquetas y/o hemorragias continuas[18]. Aunque no existe una definición consensuada, tradicionalmente, se define como una ausencia de respuesta al tratamiento o recaída tras esplenectomía[19].

La PTI es una enfermedad rara provocada por una alteración inmunológica adquirida. Se define por un recuento plaquetario disminuido en ausencia de otras causas que puedan asociarse a trombocitopenia.

1. INTRODUCCIÓN

El pronóstico de la PTI varía considerablemente según la edad de presentación y la evolución clínica de la enfermedad. En la población pediátrica, la PTI se caracteriza habitualmente por un inicio agudo y una evolución hacia la resolución espontánea. La remisión ocurre en el 70–80 % de los niños en los primeros 6–12 meses[20–22]. En contraposición, la evolución de la PTI en adultos muestra mayor tendencia a la cronicidad, alcanzándose en torno al 70 % de los casos[21,23,24].

El tratamiento de la PTI se centra principalmente en la severidad y frecuencia del sangrado, la fase y evolución de la enfermedad y las características clínicas del paciente[25]. Aunque no hay un umbral absoluto de plaquetas que determine la necesidad de un tratamiento u otro, el riesgo de hemorragia grave aumenta con cifras inferiores a <20–30x10^9/L[25]. El manejo actual de la PTI incluye como tratamiento de primera línea, corticosteroides que actúan como inmunosupresores, transfusión de concentrados de plaquetas e inmunoglobulinas intravenosas que pueden lograr un aumento rápido del recuento plaquetario mediante el bloqueo de la fagocitosis de plaquetas[3,26,27]. Como tratamiento de segunda línea se encuentran los agonistas del receptor de trombopoyetina, como eltrombopag, romiplostim y avatrombopag, que imitan la función endógena de esta proteína para aumentar la maduración de los megacariocitos y la producción plaquetaria, así como otras alternativas terapéuticas donde se incluyen los inhibidores de la tirosina cinasa esplénica como fostamatinib, inmunosupresores como rituximab y la esplenectomía[3,26,27]. Sin embargo, las terapias actuales cuentan con limitaciones tanto en su eficacia como en su seguridad. Los corticoides presentan tasas de respuesta subóptimas a largo plazo (menos del 30 % de los pacientes adultos mantienen una respuesta sostenida) así como eventos adversos (EA) asociados con su uso prolongado (osteoporosis, hiperglucemia, hipertensión, entre otros)[3,28]. Por otro lado, el efecto de las inmunoglobulinas es transitorio[3] y los agonistas del receptor de trombopoyetina están asociados con cierto riesgo de desarrollo de trombosis[29]. Adicionalmente, nuevas terapias emergentes frente a la desregulación inmunitaria subyacente en la PTI podrían mejorar las respuestas al tratamiento actual[27,30–34].

La PTI tiene un impacto significativamente negativo en la calidad de vida relacionada con la salud (CVRS) de los pacientes. Afecta al bienestar general e interfiere en las actividades diarias y laborales, así como en la salud social y emocional[35]. Además, la fatiga, tanto física como mental, constituye uno de los síntomas no hemorrágicos más relevantes que impacta profundamente en la CVRS[36]. Este síntoma, con frecuencia subestimado en la práctica clínica, se asocia con una importante limitación de las actividades cotidianas y un deterioro del funcionamiento psicosocial[35,36]. La etiología de la fatiga en la PTI continúa siendo poco definida y sugiere un origen multifactorial, incluyendo factores emocionales y sociales[37–39]. La evidencia disponible no ha demostrado de manera concluyente un efecto beneficioso de los tratamientos convencionales sobre la fatiga y su abordaje clínico aún no se encuentra estandarizado[39].

Actualmente existen múltiples ámbitos de mejora en el contexto de la PTI. Esta situación revela diferentes necesidades no cubiertas (NNC) relacionadas con aspectos clínicos, la CVRS de los pacientes y el ecosistema sanitario. El análisis de las NNC permite identificar brechas terapéuticas y orientar estrategias innovadoras de manejo de la PTI.

La PTI tiene un impacto significativo en la calidad de vida de las personas que conviven con esta enfermedad. Afecta a su bienestar físico, emocional y social e interfiere en actividades de la vida diaria, el ámbito académico o laboral y la participación social. La fatiga, tanto física como emocional, es uno de los síntomas más limitantes y puede comprometer la autonomía y el desempeño cotidiano del paciente.

1.2. Contexto de la trombocitopenia inmune primaria en España

La situación actual de la PTI en España muestra avances relevantes en cuanto a diagnóstico, manejo terapéutico y resultados en salud. Sin embargo, aún persisten desafíos importantes. Recientemente, se han publicado estudios sobre el manejo y tratamiento de la PTI en España[40–45]. Estos estudios, abren la puerta a optimizar las estrategias terapéuticas y a continuar avanzando hacia un abordaje más eficiente y centrado en el paciente.

En España, especialistas del Grupo Español de Trombocitopenia Inmune (GEPTI) de la Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia (SEHH) y el Grupo de Trabajo de la PTI de la Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátricas (SEHOP) han publicado recomendaciones para el manejo y tratamiento de la PTI, las cuales están alineadas con las guías de práctica clínica internacionales[1–3,12,24,46]. Recientemente, un panel de expertos españoles logró un consenso del 81 % en temas relacionados con el diagnóstico, tratamiento y manejo de pacientes con PTI[45]. Sin embargo, la llegada de nuevos fármacos, así como la necesidad de mejorar los criterios clínicos y definiciones en la PTI, están impulsando la necesidad de estandarizar la práctica clínica, así como sentar las bases de un marco de referencia en el manejo de esta patología.

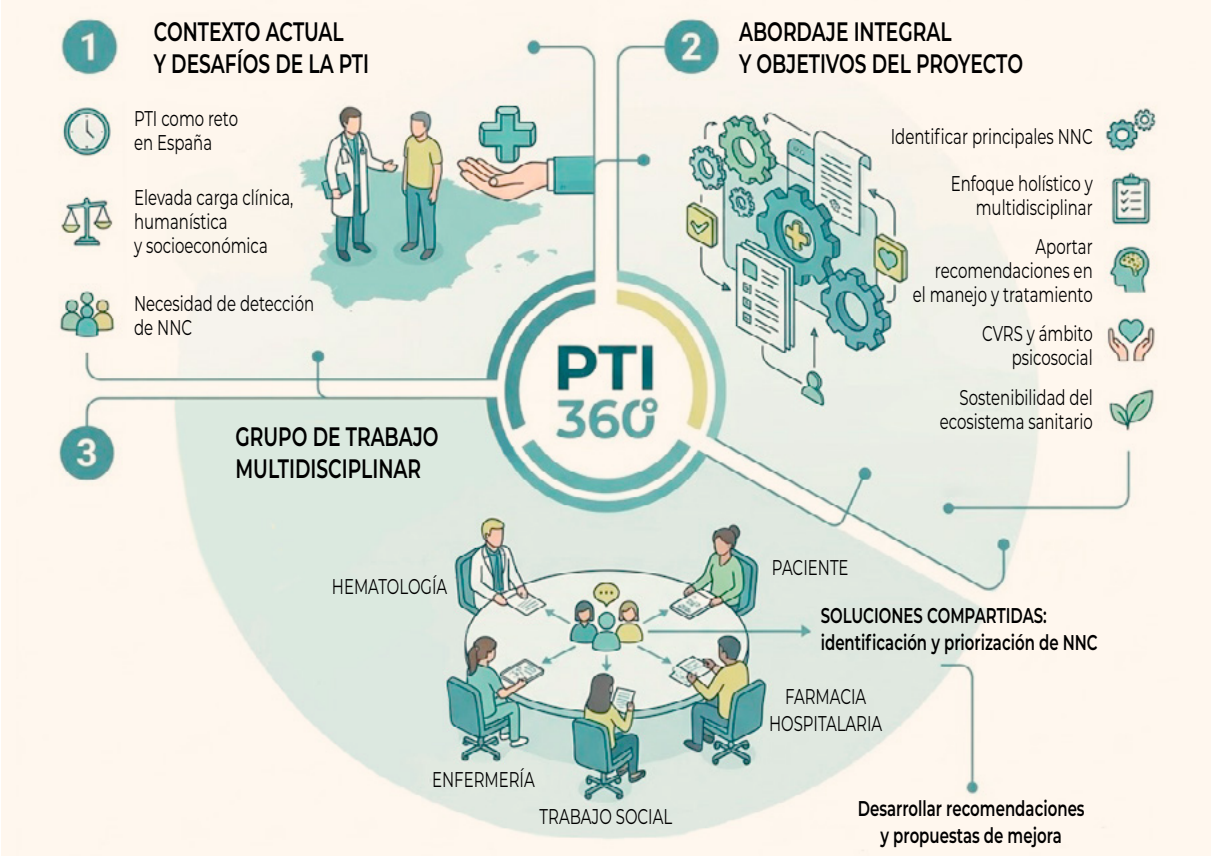
La situación actual de la PTI en España evidencia progresos significativos en el diagnóstico, el abordaje terapéutico y los resultados en salud. No obstante, todavía siguen presentes desafíos importantes para optimizar las estrategias terapéuticas y continuar avanzando en terapias centradas en el paciente.

2. JUSTIFICACIÓN Y OBJETIVOS DEL PROYECTO

En el contexto actual, la PTI supone un reto para los profesionales sanitarios, los pacientes y el sistema de salud en España. Aunque el manejo de la PTI ha progresado hacia una mayor estandarización de la práctica clínica y mejores terapias, sigue existiendo una elevada carga clínica, humanística y socioeconómica. La detección de potenciales NNC resulta fundamental en los diferentes ámbitos que engloba la PTI. Este enfoque no solo incluye aspectos relacionados con el manejo y tratamiento de los pacientes, sino también con su CVRS y ámbito psicosocial, fomentando la sostenibilidad y solvencia del ecosistema sanitario.

El objetivo del proyecto «Conexión PTI 360» es identificar las principales NNC de la PTI mediante un abordaje holístico y multidisciplinar. Adicionalmente, se pretende desarrollar diversas recomendaciones y propuestas de mejora frente a las NNC prioritarias de esta enfermedad. Este proyecto tiene en cuenta la experiencia y perspectiva de un Grupo de Trabajo Multidisciplinar especializado en la PTI. Entre los diferentes actores implicados encontramos pacientes y profesionales sanitarios; incluyendo hematología, farmacia hospitalaria, enfermería y trabajo social (Figura 1).

Figura 1. Justificación y objetivos del proyecto «Conexión PTI 360»



Abreviaturas: **CRVS:** calidad de vida relacionada con la salud. **NNC:** necesidades no cubiertas. **PTI:** trombocitopenia inmune primaria.

La PTI exhibe una elevada carga clínica, humanística y socioeconómica, planteando retos para los profesionales sanitarios, los pacientes y el sistema sanitario en España.

3. METODOLOGÍA

3.1. Grupo de Trabajo Multidisciplinar

Se constituyó un Grupo de Trabajo Multidisciplinar formado por un total de 9 miembros, con diferentes perfiles complementarios, incluyendo hematología, farmacia hospitalaria, enfermería, trabajo social y pacientes (Figura 2). Este Grupo de Trabajo pretende proporcionar una visión holística de la PTI, abordando sus NNC de una forma integral y transversal, para potenciar la elaboración de recomendaciones futuras en el manejo de esta patología.

Durante el proyecto, el Grupo de Trabajo tuvo la oportunidad de validar las NNC identificadas en la literatura, incluir NNC adicionales, así como elaborar recomendaciones y propuestas de mejora para las NNC que se priorizaron como más relevantes.

Figura 2. Miembros del Grupo de Trabajo Multidisciplinar

- **Cristina Pascual Izquierdo**. ***Coordinadora del proyecto*** **(Hematología)**
  Jefa de Sección, Servicio de Hematología y Hemoterapia en el Hospital General Universitario Gregorio Marañón (Madrid). Presidenta del Grupo Español de Trombocitopenia Inmune (GEPTI).
- **Blanca Sánchez González (Hematología)**
  Jefa de Sección, Servicio de Hematología en el Hospital del Mar (Barcelona). Vicepresidenta del Grupo Español de Trombocitopenia Inmune (GEPTI).
- **Vicente Escudero Vilaplana (Farmacia hospitalaria)**
  Farmacéutico Adjunto en el Hospital General Universitario Gregorio Marañón (Madrid)
- **Mónica Climente Martí (Farmacia hospitalaria)**
  Jefa de Servicio de Farmacia Hospitalaria en el Hospital Universitario Doctor Peset (Valencia).
- **Javier Letellez Fernández (Farmacia hospitalaria)**
  Farmacéutico Adjunto en el Hospital Universitario de Fuenlabrada (Madrid).
- **Mª Elena Torres Grande (Enfermería)**
  Enfermera en el Hospital del Mar (Barcelona).
- **Beatriz Pérez-Picón Fernández (Trabajo social)**
  Trabajadora social en la Federación Española de Hemofilia (FEDHEMO).
- **Ruth Segovia y Mayoral (Paciente)**
  Paciente de trombocitopenia inmune primaria.
- **Hugo Puig Lara (Paciente)**
  Paciente de trombocitopenia inmune primaria.

Abreviaturas: **FEDHEMO:** Federación Española de Hemofilia. **GEPTI:** Grupo Español de Trombocitopenia Inmune. **PTI:** trombocitopenia inmune primaria.

El trabajo realizado por el Grupo de Trabajo Multidisciplinar, mediante un abordaje integral y transversal, permite comprender la complejidad de la PTI y favorecer una intervención centrada en el paciente.

3.2. Diseño del proyecto

El proyecto se inicia con la creación del Grupo de Trabajo Multidisciplinar experto en la PTI. Posteriormente se realizó una búsqueda exhaustiva de la literatura científica con el fin de identificar potenciales NNC. Tras una sesión de debate con la coordinadora del equipo de trabajo, tuvo lugar una reunión *online* de *kick-off* con el Grupo de Trabajo para sentar las bases, metodología, objetivos y cronograma del proyecto. En paralelo, se desarrolló un cuestionario con las potenciales NNC identificadas según la literatura. Las diferentes NNC a evaluar se distribuyeron dentro de los bloques: NNC clínicas y terapéuticas, NNC del paciente y NNC en la gestión sanitaria (Figura 3).

Figura 3. Agrupación por bloques de las NNC en la PTI

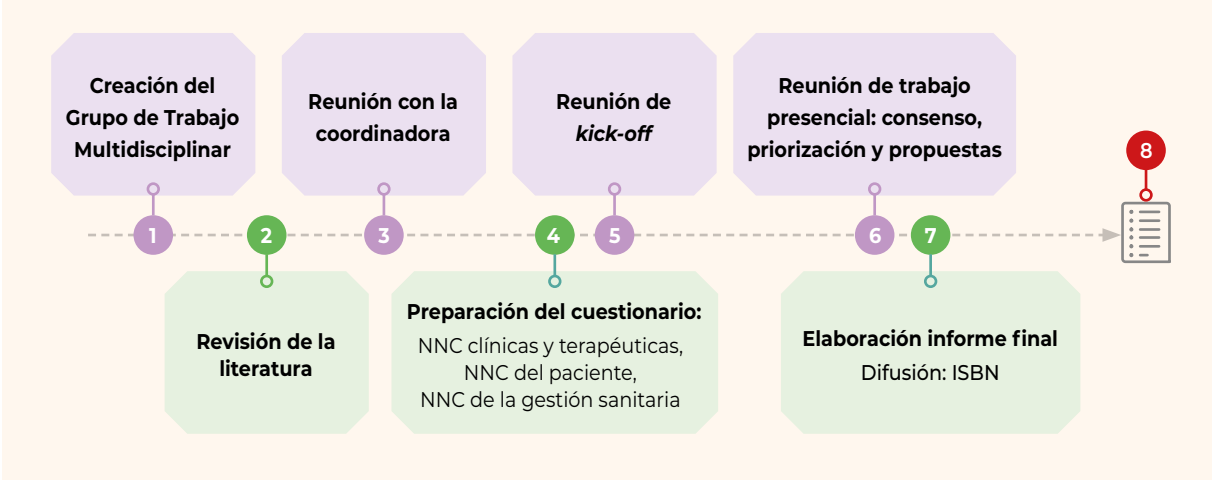
Abreviaturas: **NNC:** necesidades no cubiertas. **PTI:** trombocitopenia inmune primaria.

El Grupo de Trabajo pudo evaluar las NNC identificadas en la revisión de la literatura, así como proponer NNC adicionales en base a su experiencia profesional y personal. En paralelo, los expertos aportaron recomendaciones y propuestas de mejora para solventar estas NNC y potenciar la mejora continua en el contexto de la patología.

Tras la respuesta del Grupo de Trabajo al cuestionario y la incorporación de nuevas NNC propuestas, se realizó una reunión presencial. El objetivo de la reunión fue consensuar el listado final de NNC en PTI, priorizar las NNC más relevantes mediante votación y recoger recomendaciones y propuestas de mejora para las NNC prioritarias.

Para la priorización, cada miembro del Grupo de Trabajo, atendiendo a su experiencia profesional y personal, puntuó las diferentes NNC con una valoración de 0 «nada importante» y 10 «muy importante». Las votaciones se analizaron para cada bloque y se calculó la media y la desviación estándar de las votaciones dentro de cada perfil de experto (grupo 1: hematología, grupo 2: farmacia hospitalaria y enfermería, grupo 3: trabajo social, grupo 4: pacientes). Posteriormente, se obtuvo una media global a partir de la media de los perfiles, otorgando el mismo peso a cada perfil. Las diferentes etapas del proyecto se muestran en la Figura 4.

Figura 4. Diseño del proyecto «Conexión PTI 360»



Abreviaturas: **ISBN:** número internacional normalizado del libro (del inglés, *International Standard Book Number*). **NNC:** necesidades no cubiertas.

3.3. Revisión de la literatura

Con el objetivo de identificar las NNC en la PTI, así como los desafíos actuales y perspectivas futuras en el contexto de esta patología, se realizó una revisión narrativa de la literatura científica.

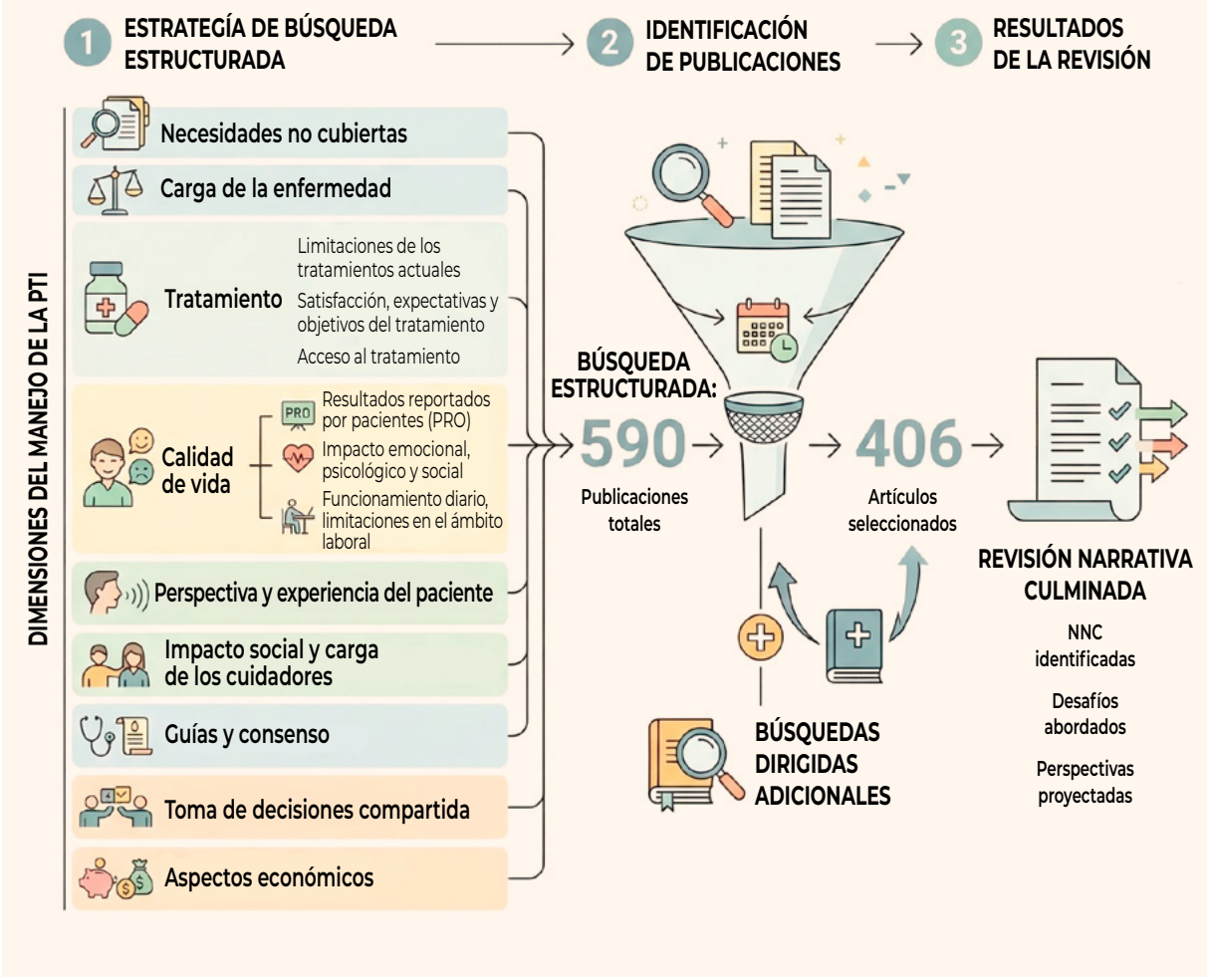
Como parte de esta iniciativa y con el fin de incorporar las diferentes dimensiones en el manejo de la PTI, se diseñó una estrategia de búsqueda estructurada donde se englobasen aspectos relevantes en esta enfermedad:

- Necesidades no cubiertas.
- Carga de la enfermedad.
- Manejo y tratamiento de la patología.
  - Limitaciones de los tratamientos actuales.
  - Satisfacción, expectativas y objetivos del tratamiento.
  - Acceso al tratamiento.
- Calidad de vida.
  - Resultados reportados por pacientes (PRO, del inglés *Patient-Reported Outcomes*).
  - Impacto emocional, psicológico y social.
  - Funcionamiento diario, limitaciones en la actividad, ámbito laboral.
- Perspectiva y experiencia del paciente.

- Impacto social y carga de los cuidadores.
- Guías clínicas y consenso de expertos.
- Toma de decisiones compartida.
- Perspectiva de pagadores y aspectos económicos.

La búsqueda estructurada identificó un total de 590 publicaciones, de las cuales se seleccionaron para revisión aquellas publicadas entre el 1 de enero de 2015 y el 28 de noviembre de 2025, abarcando un total de 406 artículos. Asimismo, en caso necesario, se realizaron búsquedas de literatura dirigidas para complementar la información y contextualización de las NNC (Figura 5).

Figura 5. Estrategia de búsqueda estructurada y revisión de la literatura



Abreviaturas: **NNC:** necesidades no cubiertas. **PRO:** resultados reportados por pacientes (del inglés, *Patient-Reported Outcomes*). **PTI:** trombocitopenia inmune primaria.

4. NECESIDADES NO CUBIERTAS EN LA TROMBOCITOPENIA INMUNE PRIMARIA

En base a la revisión de la literatura científica y las aportaciones del Grupo de Trabajo, se identificaron un total de 38 NNC, desglosadas en tres categorías: 16 NNC clínicas y terapéuticas, 14 NNC del paciente y 8 NNC relacionadas con la gestión sanitaria (Anexo 1).

Tras la valoración de las 38 NNC identificadas en la reunión presencial, el Grupo de Trabajo consensuó priorizar las 15 NNC más relevantes con el fin de ofrecer recomendaciones y propuestas de mejora para cada una de ellas (Figura 6).

Los resultados de las votaciones de todas las NNC en la PTI a nivel global se muestran en el Anexo 2.

Figura 6. TOP 15 NNC prioritarias en la PTI

Bloque A: CLÍNICAS Y TERAPÉUTICAS

- **A1** Déficit de datos en vida real e insuficiente inclusión de pacientes en los registros.
- **A2** Carencia de biomarcadores predictivos del curso patológico y respuesta al tratamiento.
- **A3** Falta de intervenciones tempranas que estabilicen la respuesta y eviten los tratamientos de rescate.
- **A4** Opciones de tratamiento limitadas en poblaciones especiales.
- **A5** Insuficiente evidencia en vida real sobre adherencia y persistencia.
- **A6** Ausencia de un estándar de referencia diagnóstico.

Bloque B: PACIENTE

- **B1** Falta de atención a la salud mental e impacto psicosocial.
- **B2** Ausencia de estandarización de cuestionarios para medir experiencia y resultados reportados por el paciente, con énfasis en la calidad de vida, e implementación de su uso en la práctica clínica.
- **B3** Déficit en la educación e información al paciente.
- **B4** Falta de formación y equipos multidisciplinares para un abordaje integral.
- **B5** Escaso abordaje de la carga socioeconómica por pérdida de productividad e impacto familiar.

Bloque C: GESTIÓN SANITARIA

- **C1** Necesidad de impulso en la ejecución del plan estratégico de enfermedades raras, dotándolo de financiación e indicadores de desempeño.
- **C2** Falta de incorporación de criterios de eficiencia del sistema en la toma de decisiones.
- **C3** Presencia de desigualdades territoriales y dificultades en el acceso a derechos sociales.
- **C4** Escasez de estrategias para visibilizar las enfermedades raras.

Abreviaturas: **NNC:** necesidades no cubiertas. **PTI:** trombocitopenia inmune primaria.

5. RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA PARA EL TOP 15 NECESIDADES NO CUBIERTAS

A continuación, se detalla el TOP 15 de NNC priorizadas en la PTI por el Grupo de Trabajo Multidisciplinar, junto con las propuestas de mejora y recomendaciones para solventar cada una de ellas, las cuales están orientadas a una mejora continua en el abordaje y manejo de esta patología.

5.1. Necesidades no cubiertas clínicas y terapéuticas

A1 Déficit de datos en vida real e insuficiente inclusión de pacientes en los registros

Los datos en vida real son imprescindibles para conocer las características concretas de los pacientes y cómo el manejo y tratamiento de la enfermedad se desarrolla en la práctica clínica[47]. Además, nos permite conocer aspectos tan relevantes como la experiencia reportada por el paciente (PRE, del inglés *Patient-Reported Experiences*), los PRO y su CVRS en el más amplio de los sentidos[48–50]. En el contexto de la PTI, donde la prevalencia e incidencia son bajas, recopilar información fiable resulta complejo, por lo que este trabajo es esencial. Adicionalmente se requiere una inclusión sistematizada de los pacientes con PTI en los registros, destacando el registro nacional RESTI (Registro Español de Trombocitopenia Inmune Primaria y Otras Trombocitopenia Inmunes). Esta iniciativa mejora el entendimiento de la patología, yendo más allá de la clínica y acercándonos a la realidad humanística y social del paciente.

RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA

- Potenciar la evaluación de resultados en vida real por parte del equipo multidisciplinar, incluyendo todas las variables de interés para cada profesional.
- Conocer y atender los motivos por los que no se incluyen pacientes en los registros de PTI.
- Ofrecer recursos y ayudas económicas para realizar un registro adecuado de pacientes.
- Estandarizar las bases de datos y registros de PTI, facilitando el cruce de datos.
- Publicar informes de resultados periódicos de los registros para fortalecer la retroalimentación de los equipos.
- Difundir análisis y conclusiones basados en datos en vida real.
- Promover y facilitar la participación de los pacientes en los registros.
- Visibilizar la importancia de los datos en vida real para la toma de decisiones informadas en materia de gestión sanitaria.

PTI: trombocitopenia inmune primaria.

5. RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA PARA EL TOP 15 NECESIDADES NO CUBIERTAS

A2 Carencia de biomarcadores predictivos del curso patológico y respuesta al tratamiento

La obtención de biomarcadores predictivos, indicadores biológicos o variantes genéticas involucrados en la PTI constituye un elemento clave para conocer el curso de la patología. Estudios proponen la relación Th17/Treg como un biomarcador predictivo de la PTI pediátrica crónica[51]. Adicionalmente, se han identificado algunas variantes genéticas asociadas con el desarrollo de la PTI crónica, como la deleción en FCGR2C/FCGR3B[52] o la variante IL-17F A7488G[53]. En paralelo, tampoco disponemos de herramientas para predecir correctamente el riesgo de hemorragia, pronóstico de la patología o la respuesta y los EA al tratamiento[54,55]. A pesar de que en los últimos años se han logrado avances significativos, persiste la necesidad de identificar y validar biomarcadores clínicamente relevantes que permitan su implementación efectiva en la práctica médica habitual.

RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA

- Aumentar la inversión en investigación sobre biomarcadores.
- Potenciar los estudios prospectivos relacionados con biomarcadores.
- Emplear datos en vida real como registros para investigación.
- Promover publicaciones científicas y comunicación e intercambio de información entre profesionales.
- Potenciar registros que aporten información clínica, epidemiológica y de resultados en salud.
- Desarrollar biobancos de muestras de pacientes con PTI vinculados a bases de datos clínicas.

PTI: trombocitopenia inmune primaria.

5. RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA PARA EL TOP 15 NECESIDADES NO CUBIERTAS

A3 Falta de intervenciones tempranas que estabilicen la respuesta y eviten los tratamientos de rescate

En ocasiones los pacientes con PTI pueden experimentar riesgo de hemorragias severas e incluso potencialmente mortales[9,56]. En estas situaciones, la bajada en el recuento plaquetario pone en riesgo al paciente, siendo necesario administrar una terapia de rescate destinada a elevar de manera rápida y eficaz la cifra de plaquetas y estabilizar la situación. Optimizar el tratamiento más adecuado y eficaz para cada paciente, así como permitir estabilizar el recuento plaquetario a largo plazo, es clave para evitar escenarios de alto riesgo. Todo ello refuerza la necesidad de estrategias terapéuticas tempranas que reduzcan la dependencia de tratamientos de rescate.

RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA

- Actualización de las guías de práctica clínica, incluyendo guías GEPTI, según evidencia.
- Fomentar estudios con combinaciones tempranas de tratamiento.
- Fomentar el control de síntomas, alertas y prevención creando equipos multidisciplinares y redes hospitalarias óptimas.
- Protocolizar la evaluación precoz del riesgo clínico y de sangrado, promoviendo opciones de mantenimiento en pacientes con respuesta frágil.
- Consensuar en el equipo interdisciplinar integrado por médicos, farmacéuticos y enfermería, el plan integral de monitorización y seguimiento óptimo en función del tratamiento, respuesta y toxicidad.
- Diseñar rutas asistenciales estratificadas por riesgo.

GEPTI: Grupo Español de Trombocitopenia Inmune.

5. RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA PARA EL TOP 15 NECESIDADES NO CUBIERTAS

A4 Opciones de tratamiento limitadas en poblaciones especiales

En el contexto de la PTI, se presentan distintas poblaciones y situaciones especiales, cuyo conocimiento es primordial para avanzar hacia una medicina personalizada y de precisión. La equidad en la atención sanitaria es un objetivo dentro de la PTI, atendiendo a la amplia diversidad que existe en el contexto de esta patología.

RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA

Generales para poblaciones especiales

- Tratar según la evidencia.
- Reforzar la inclusión de estos perfiles de pacientes en los ensayos clínicos.
- Disponer de más tratamientos específicos para estas poblaciones.
- Potenciar el perfil de gestores de casos y enfermería especializada.
- Elaborar materiales informativos específicos para cada grupo.

- **Pacientes pediátricos:** Aunque muchos niños con PTI se recuperan de forma espontánea, cerca del 20–30 % experimenta un curso de la enfermedad superior a 6–12 meses[20–22] y actualmente, no es posible predecir qué pacientes mostrarán o no remisión[57]. Dada su edad y etapa de desarrollo, el uso de corticoides en primera línea es muy limitante, por lo que es necesario ofrecerles tratamientos seguros y contar con la participación activa de sus cuidadores en las decisiones médicas[3,58,59]. Al disponer de una mayor expectativa de vida, es trascendental tener en cuenta los EA y secuelas, de la enfermedad y de los tratamientos[3].

RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA

- Proporcionar guías específicas adaptadas a la edad.
- Potenciar el apoyo psicológico.

- **Pacientes adolescentes y adultos jóvenes:** Los adolescentes y adultos jóvenes constituyen un grupo intermedio que no encaja ni en el grupo pediátrico ni en el adulto[60,61]. La mayoría de los ensayos se centran en niños menores de 10 años o adultos mayores de 40 o 50 años, generando un vacío de datos médicos en los rangos de edades intermedios. Esta situación, también se extrapola a las propias guías clínicas donde esta población pasa desapercibida[60,61]. Resulta indispensable una mayor conciencia sobre las necesidades y características específicas de los adolescentes y adultos jóvenes con PTI, así como sobre las particularidades de esta etapa vital.

5. RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA PARA EL TOP 15 NECESIDADES NO CUBIERTAS

RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA

- Ampliar el conocimiento sobre las diferencias en manifestaciones clínicas, gravedad, pronóstico y respuesta a tratamientos en esta población vs. paciente pediátrico o adulto.
- Analizar diferencias en impacto emocional y adherencia.
- Entender y atender la idiosincrasia de este grupo de pacientes según su etapa vital.

- **Pacientes de edad avanzada:** La edad a partir de la cual se considera población anciana en PTI fluctúa entre 60–70 años. Estos pacientes, en su conjunto, pueden presentar mayor riesgo de hemorragia, trombosis e infecciones. Durante el tratamiento manifiestan más EA y requieren en muchas situaciones de polifarmacia y terapias concomitantes (especialmente antiagregantes o anticoagulantes)[3,62,63]. Es importante adaptar las decisiones médicas a su estado general de salud y CVRS.

RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA

- Atención personalizada. Potenciales sangrados más graves (fragilidad) vs. menos sangrados al reducirse la movilidad.
- Informar adecuadamente al paciente para que pueda tomar decisiones informadas sobre su situación.
- Favorecer la coordinación con el servicio de Geriatría.

- **Mujeres: menstruación, fertilidad, embarazo, parto y lactancia:** Muchas mujeres con PTI sufren menstruaciones abundantes que afectan seriamente a su CVRS[64]. Algunas opciones de tratamiento pueden alterar la fertilidad, por lo que es importante valorar este aspecto antes de elegir la terapia más adecuada[65–67]. Durante el embarazo, el manejo de la PTI debe proteger tanto a la madre como al bebé, evitando riesgos de sangrado o EA de la medicación[3,68–70]. En algunos casos, los anticuerpos de la madre pueden afectar al recién nacido, por lo que se requiere un seguimiento estrecho[69,71,72]. La complejidad de estas situaciones asociadas a la mujer con PTI debe tenerse en cuenta durante el manejo, tratamiento y entendimiento de la patología.

RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA

- Desarrollar tratamientos seguros y que preserven la fertilidad.
- Velar por el balance beneficio-riesgo de la madre vs. bebé.
- Asegurar un control médico más estrecho y frecuente.
- Proporcionar información concreta, veraz y anticipada para tomar decisiones.
- Generar protocolos junto con el servicio de Ginecología para optimizar su manejo.

5. RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA PARA EL TOP 15 NECESIDADES NO CUBIERTAS

- **Pacientes con riesgo trombótico:** En paralelo al riesgo de sangrado, paradójicamente, se ha descrito que los pacientes con PTI exhiben un mayor riesgo de trombosis, especialmente de trombosis venosa[3,73–75]. Actualmente, las pautas clínicas para el tratamiento con anticoagulantes no están plenamente consensuadas y son fundamentalmente empíricas[73]. Es fundamental identificar qué perfiles con PTI son más susceptibles a esta complicación, así como encontrar un equilibrio entre evitar el sangrado y prevenir el riesgo de trombosis.

RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA

- Aumentar la vigilancia y el uso de anticoagulantes en situaciones indicadas.
- Desarrollar puntuaciones de riesgo trombótico con recomendaciones clínicas específicas.
- Considerar factores de riesgo y personalizar el tratamiento.

- **Pacientes esplenectomizados:** Aunque la extirpación del bazo puede ayudar a controlar la enfermedad, se ha asociado al aumento de la incidencia de infecciones graves y al incremento del riesgo trombótico en el postoperatorio. Estas personas necesitan un seguimiento médico a largo plazo asegurándose entre otros aspectos del cumplimiento de la revacunación periódica[76–78]. Además, su exclusión frecuente en los ensayos clínicos, dificulta la elección del tratamiento más adecuado para este grupo.

RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA

- Ofrecer formación al paciente junto con medidas preventivas para reducir el riesgo de infecciones.
- Asegurar un control médico más estrecho y frecuente.

- **Pacientes con comorbilidades:** Las personas con PTI y otras enfermedades como diabetes, insuficiencia renal, enfermedad vascular, entre otras, pueden tener más complicaciones[79]. Además, pacientes con enfermedades crónicas como el virus de la inmunodeficiencia humana (VIH), el virus de la hepatitis C (VHC) o en tratamiento con anticoagulantes, son excluidos de los ensayos clínicos, limitando el conocimiento sobre el manejo de la PTI en estas poblaciones. En definitiva, el tratamiento debe adaptarse considerando todas las condiciones de salud que presenta el paciente.

RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA

- Coordinación con otras especialidades.
- Asegurar un control médico más estrecho y frecuente.

5. RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA PARA EL TOP 15 NECESIDADES NO CUBIERTAS

A5 Insuficiente evidencia en vida real sobre adherencia y persistencia

Los conceptos de adherencia y persistencia son claves en el tratamiento de la PTI. La adherencia, definida como el grado de concordancia entre las conductas del paciente y las indicaciones prescritas del tratamiento (incluyendo dosis, horario y frecuencia) y la persistencia, entendida como la duración en la cual el paciente mantiene la terapia prescrita sin interrupciones[80], son parámetros que debemos conocer en la práctica clínica real. Estos datos aportan información útil para el manejo y seguimiento de los pacientes y permiten entender el comportamiento durante el tratamiento y establecer hojas de ruta para la mejora continua.

RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA

- Disponer de recursos y ayudas económicas para realizar el seguimiento de adherencia y persistencia.
- Potenciar la realización de estudios de adherencia y persistencia a los diferentes tratamientos para conocer las consecuencias clínicas y económicas del incumplimiento terapéutico.
- Integrar indicadores de adherencia (dispensaciones, recuento de medicación, registros electrónicos...) en la práctica habitual.
- Analizar las causas de falta o ausencia de adherencia en el paciente, con el fin de planificar intervenciones de mejora por parte del farmacéutico hospitalario, consensuadas con el equipo interdisciplinar.
- Desarrollar aplicaciones digitales para el paciente que ayuden al seguimiento del tratamiento y que recojan información.
- Promover estudios multicéntricos que aporten datos en el territorio nacional.
- Favorecer que los diferentes perfiles sanitarios participen en el registro de estos parámetros.
- Promover la valoración de la competencia del paciente para el automanejo del tratamiento por parte del farmacéutico hospitalario.

5. RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA PARA EL TOP 15 NECESIDADES NO CUBIERTAS

A6 Ausencia de un estándar de referencia diagnóstico

Dado que no existe un marcador o prueba específica para diagnosticar la PTI, el diagnóstico se establece por exclusión de otras causas de trombocitopenia mediante el historial del paciente, la exploración física, el recuento sanguíneo y la evaluación del frotis de sangre periférica[4,12,16]. La falta de un diagnóstico específico también puede generar diagnósticos incorrectos, exponiendo a los pacientes a los daños de tratamientos innecesarios. Un estudio reveló que esta situación ocurría en 1 de cada 7 pacientes con PTI[81]. Además, en el caso de PTI refractaria, la falta de un diagnóstico específico plantea si realmente nos encontramos ante un paciente refractario o un paciente mal diagnosticado[82]. A pesar de que los criterios de diagnóstico actuales permiten identificar a los pacientes con PTI, resulta un enfoque subóptimo.

RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA

- Aumentar la inversión en investigación sobre el diagnóstico.
- Descartar la presencia de trombocitopenia hereditaria en caso de sospecha.
- Consensuar una lista de patologías o situaciones clínicas de trombocitopenia secundaria.
- Estandarizar y difundir criterios para alertar en Atención Primaria o Urgencias de un posible diagnóstico mediante algoritmos de actuación.
- Dar a conocer la enfermedad por parte de expertos en PTI a diferentes perfiles sanitarios ayudando a la derivación.
- Definir criterios diagnósticos positivos combinados e incorporar una probabilidad diagnóstica alta/intermedia/baja.

PTI: trombocitopenia inmune primaria.

5.2. Necesidades no cubiertas del paciente

B1 Falta de atención a la salud mental e impacto psicosocial

Se ha observado que los pacientes con PTI experimentan niveles más altos de depresión y ansiedad que las personas sanas[83,84]. En especial, el grupo de pacientes pediátricos presentan dificultades psicosociales, como son los trastornos emocionales, incluyendo ansiedad generalizada, depresión y otras alteraciones del estado de ánimo[84,85]. Por su parte, los pacientes adultos muestran un mayor uso de benzodiazepinas, antidepresivos y opioides, principalmente en el año anterior al diagnóstico y en los siguientes primeros años, así como un aumento en el riesgo de depresión, ansiedad/trastorno obsesivo compulsivo y fatiga[86]. Según algunos estudios, el 89% de los pacientes exponen un deterioro en su salud mental y actividades diarias comparado con su vida antes del diagnóstico[87]. Un dato clave en la salud mental de los pacientes con PTI es la ansiedad que manifiestan en relación con la estabilización de la enfermedad y el riesgo de sangrados[35,64]. El deterioro en la salud mental que sufren los pacientes con PTI pone en relieve la necesidad de mejorar la atención en este ámbito.

RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA

- Crear protocolos específicos con el servicio de Psicología y establecer un circuito ágil.
- Potenciar canales de comunicación con el hospital (aplicaciones digitales, líneas telefónicas directas, correos electrónicos).
- Formar a los profesionales en competencias de comunicación y detección precoz de malestar psicosocial.
- Realizar cuestionarios sistematizados que evalúen ansiedad/depresión y el estado emocional.
- Aumentar la formación/educación de los pacientes, sobre todo en etapas iniciales, para reducir la incertidumbre.
- Contar con el apoyo de asociaciones de pacientes, gestores de casos en el hospital y protocolos de coordinación de los equipos de trabajo sociosanitario.
- Facilitar espacios donde el paciente pueda expresar miedos e incertidumbre.
- Fomentar ayudas públicas y/o privadas para el acceso a un tratamiento integral.

5. RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA PARA EL TOP 15 NECESIDADES NO CUBIERTAS

B2 Ausencia de estandarización de cuestionarios para medir experiencia del paciente y resultados reportados por el paciente, con énfasis en la calidad de vida, e implementación de su uso en la práctica clínica

Es primordial introducir un seguimiento real y exhaustivo de PRE y PRO, junto con la CVRS[88]. Estos datos proporcionan un conocimiento real de la patología en su contexto y evolución temporal. Hasta el momento, se han utilizado herramientas para evaluar la CVRS (incluyendo la fatiga) de forma no estandarizada, lo que dificulta la posibilidad de comparar datos entre estudios y estandarizar la práctica clínica. Adicionalmente, se han desarrollado instrumentos específicos para la PTI: *ITP Life Quality Index (ILQI)* recientemente validado en pacientes[89–91], *ITP Patient Assessment Questionnaire (ITP-PAQ)*[92,93] y el instrumento *Kids ITP Tools (KIT)* para población pediátrica[94,95]. Sin embargo, su uso y estandarización deben implementarse. El hecho de preguntar a los pacientes sobre sus prioridades puede ayudar a definir los objetivos clínicos tradicionales.

RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA

- Desarrollar consenso entre expertos y pacientes para definir una evaluación y seguimiento sistemático de la CVRS.
- Incorporar la perspectiva del paciente en la definición y priorización de objetivos terapéuticos y en la medida de resultados.
- Ofrecer recursos y herramientas para potenciar el desarrollo de cuestionarios adecuados en la PTI.
- Favorecer la implantación de programas de evaluación de CVRS en la práctica clínica habitual.
- Incorporar al equipo psicosocial para evaluar de forma global la CVRS.
- Introducir la experiencia del paciente y resultados reportados por los pacientes en la historia clínica electrónica.
- Crear cultura de uso rutinario de cuestionarios estandarizados.
- Aumentar la difusión de los consensos alcanzados.

CVRS: calidad de vida relacionada con la salud. **PTI:** trombocitopenia inmune primaria.

5. RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA PARA EL TOP 15 NECESIDADES NO CUBIERTAS

B3 Déficit en la educación e información al paciente

En ocasiones, existe una falta de apoyo y recursos educativos que permitan a los pacientes (en especial pediátricos) entender de forma global su afección[58]. En una encuesta a pacientes, la mitad propusieron la implementación de programas educativos como factor clave para un mejor control a largo plazo de la PTI[35]. Algunos ejemplos del potencial de estas iniciativas los encontramos en proyectos de educación sobre salud bucodental dirigida a niños con PTI así como proyectos educativos sobre el impacto de la actividad deportiva en su salud[96,97]. Que el paciente disponga de información precisa, accesible y adaptada, en base a la evidencia científica, sigue siendo necesario para generar avances en este ámbito.

RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA

- Introducir iniciativas desde gerencia hospitalaria para potenciar la enfermería especializada y perfiles biopsicosociales que mejoren la atención del paciente.
- Ofrecer una formación integral en síntomas, estilos de vida, nutrición y manejo emocional por parte de un equipo sanitario multidisciplinar.
- Adaptar a los diferentes perfiles el contenido, lenguaje y el uso de canales de comunicación.
- Creación de una asociación de pacientes específica.
- Garantizar que el paciente reciba información clara y comprensible desde el diagnóstico.
- Incorporar al paciente en el diseño y validación de materiales formativos.
- Promover actividades divulgativas.

5. RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA PARA EL TOP 15 NECESIDADES NO CUBIERTAS

B4 Falta de formación y equipos multidisciplinares para un abordaje integral

Teniendo en cuenta la complejidad de la PTI, las particularidades de su diagnóstico, los diferentes mecanismos moleculares implicados, así como la complejidad de su manejo y diversidad de tratamientos disponibles; resulta fundamental que la PTI se aborde por parte de un equipo multidisciplinar, favoreciendo la toma de decisiones compartida. Este equipo multidisciplinar debe incluir, además de la figura de hematología, a trabajadores sociales, psicólogos, enfermeros especialistas y farmacéuticos, entre otros[39,98]. Precedentes en otros trastornos hematológicos, como la hemofilia, han demostrado que el abordaje holístico, integral y multidisciplinar impacta positivamente en los pacientes[98].

RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA

- Diseñar programas formativos comunes para todos los perfiles implicados.
- Definir las competencias de cada profesional sanitario y hojas de ruta de los pacientes.
- Desarrollar modelos de protocolos conjuntos desde GEPTI para trasladarlo y adaptarlo a cada centro.
- Realizar evaluación y revisión de los procesos y protocolos asistenciales.
- Crear planes de seguimiento y evaluación de resultados incluyendo variables analíticas, clínicas junto a experiencia reportada por el paciente y resultados reportados por el paciente.
- Presentar los casos en comités específicos de seguimiento.
- Promover la enfermería especializada como gestores de casos.
- Favorecer espacios que incluyan el aspecto sociosanitario.

GEPTI: Grupo Español de Trombocitopenia Inmune.

5. RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA PARA EL TOP 15 NECESIDADES NO CUBIERTAS

B5 Escaso abordaje de la carga socioeconómica por pérdida de productividad e impacto familiar

Estudios han reportado que los pacientes con PTI ven reducida su actividad laboral y son más propensos a solicitar bajas por enfermedad[91,99]. También exhiben dificultades para mantener la productividad[99] lo que repercute en su estabilidad económica. Un estudio español refleja que el 26,6 % de los pacientes adultos con PTI experimentaron incapacidad laboral a lo largo del año[44]. En paralelo, los padres y cuidadores de pacientes con PTI asumen un coste adicional derivado de la atención a estos pacientes[100]. En su conjunto, la PTI refleja una reducción de la capacidad laboral y productividad, así como la elevada carga económica que soportan las familias y cuidadores de los pacientes. Ambos aspectos deben ser abordados adecuadamente en estos pacientes.

RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA

- Realizar estudios y generar evidencia sobre la carga económica de la enfermedad para los pacientes, familiares y cuidadores.
- Diseñar ayudas, recursos o medidas de apoyo que reduzcan la carga económica.
- Promover ayuda por parte de las asociaciones de pacientes.
- Ofrecer orientación sobre derechos laborales, recursos disponibles y ayudas económicas. Apoyo del trabajador social.
- Acompañar durante la solicitud de las prestaciones sociales disponibles.
- Sensibilizar a las empresas sobre la enfermedad, facilitando entornos laborales comprensivos y flexibles.
- Incorporar los costes indirectos por pérdida de productividad y el impacto psicosocial en pacientes, familiares y cuidadores en la evaluación y la toma de decisiones de financiación de medicamentos.

5.3. Necesidades no cubiertas en la gestión sanitaria

C1 Necesidad de impulso en la ejecución del plan estratégico de enfermedades raras, dotándolo de financiación e indicadores de desempeño

El abordaje integral de las enfermedades raras, incluyendo la PTI, es fundamental. Actualmente, desde el Ministerio de Sanidad, se está impulsando la actualización de la Estrategia Nacional de Enfermedades Raras del Sistema Nacional de Salud publicada en 2014, buscando incorporar avances científicos, promover la equidad y mejorar el enfoque multidisciplinar[101,102]. En paralelo, se está trabajando en el «Programa para desarrollar el Plan Estratégico de Enfermedades Raras», liderado por la Agrupación Territorial SEDISA Andalucía[103] y con el fin de impulsar la transformación de la farmacia hospitalaria en este ámbito, contamos con el «Plan Estratégico OrPhar-SEFH 2024–2027»[104]. Resulta fundamental dotar a estas iniciativas de financiación, así como determinar indicadores de desempeño que permitan medir el impacto y alcance de estas propuestas.

RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA

- Dotar de financiación a estas iniciativas. Financiación estable y aplicada de forma real.
- Asegurar que el plan estratégico incluya acciones y métricas específicas para la PTI.
- Generar propuestas con objetivos claros y plazos concretos, ejecutables y realistas.
- Promover la evaluación de la implantación de las acciones definidas en la Estrategia de Enfermedades Raras del SNS por parte de las comunidades autónomas.
- Involucrar a las asociaciones de pacientes y las sociedades científicas en la definición y seguimiento de los indicadores.
- Fomentar y promover este tipo de estrategias desde la SEHH-GEPTI.

GEPTI: Grupo Español de Trombocitopenia Inmune. **PTI:** trombocitopenia inmune primaria. **SEHH:** Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia. **SNS:** Sistema Nacional de Salud.

5. RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA PARA EL TOP 15 NECESIDADES NO CUBIERTAS

C2 Falta de incorporación de criterios de eficiencia del sistema en la toma de decisiones

Las guías de práctica clínica internacionales, así como los estudios recientes, refuerzan la necesidad de ofrecer decisiones compartidas, teniendo en cuenta las preferencias del paciente, el perfil de riesgo y EA de los tratamientos[1,2,14,35,105]. Además, es necesario atender al contexto económico[44,106–108], especialmente ante la falta de evidencia robusta y variabilidad en los diferentes tratamientos. La implementación de decisiones estratégicas basadas en costes y solvencia económica en el contexto de la PTI es fundamental. Además, la evaluación económica debería integrarse de forma orgánica dentro de la práctica clínica.

RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA

- Realizar análisis farmacoeconómicos comparativos de las diferentes alternativas terapéuticas.
- Generar evidencia de coste-efectividad en vida real.
- Integrar la eficiencia en la toma de decisiones clínicas y terapéuticas.
- Promover la valoración social (económica, familiar, personal, laboral, comunitaria) en la toma de decisiones sanitarias.
- Dedicar tiempo a explicar a los pacientes las distintas opciones terapéuticas, sus implicaciones y cómo encajan dentro del sistema sanitario.

5. RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA PARA EL TOP 15 NECESIDADES NO CUBIERTAS

C3 Presencia de desigualdades territoriales y dificultades en el acceso a derechos sociales

Actualmente España manifiesta una situación de desigualdad territorial entre las diferentes comunidades autónomas. El gasto por habitante en sanidad pública no es equitativo, y además existen marcadas diferencias en la calidad de la gestión, infraestructuras y dotaciones sanitarias[109]. Los pacientes con PTI requieren de una red de apoyo y acceso a derechos sociales que puedan paliar los problemas asociados a su patología, mejorando en la medida de lo posible su CVRS. Es prioritario que las desigualdades territoriales a nivel sanitario, así como los problemas en el acceso a derechos sociales, disminuyan progresivamente en España, permitiendo que los pacientes cuenten con una atención integral de calidad y una red de apoyo real por parte de las entidades gubernamentales.

RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA

- Desarrollar protocolos homogéneos para garantizar la equidad en el acceso de los pacientes a la telemedicina, *mHealth* y atención farmacéutica no presencial.
- Definir indicadores de equidad en acceso.
- Proporcionar recursos económicos a los territorios.
- Analizar dificultades de acceso en las distintas comunidades autónomas.

5. RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA PARA EL TOP 15 NECESIDADES NO CUBIERTAS

C4 Escasez de estrategias para visibilizar las enfermedades raras

La PTI es una patología poco frecuente, englobada dentro de la clasificación de enfermedades raras. Hasta la fecha, aproximadamente 300 millones de personas viven con una enfermedad rara y suelen ser un grupo desatendido, especialmente en países de renta baja y media[110]. La Organización Mundial de la Salud (OMS) revela que las personas que viven con una enfermedad rara pueden encontrar barreras que afectan negativamente a su CVRS y limitar su implicación en la sociedad en igualdad de condiciones. Además, pueden presentar discriminación, estigmatización y situaciones de vulnerabilidad, acrecentadas por la falta de concienciación pública y la ausencia de recursos sociales disponibles[111]. Es vital aumentar la concienciación sobre la PTI tanto en el ámbito clínico como social, así como potenciar desde las normativas sanitarias una mejor atención a esta población desatendida.

RECOMENDACIONES Y PROPUESTAS DE MEJORA

- Realizar campañas para concienciar a la sociedad sobre la existencia de las enfermedades raras.
- Ofrecer recursos para visibilizar la patología por parte de profesionales sanitarios y pacientes.
- Crear una asociación de pacientes con PTI como camino directo para la visibilidad de la enfermedad.
- Favorecer la difusión y formación sobre la PTI desde los diferentes perfiles implicados.
- Trabajar con pacientes en proyectos conjuntos junto con los hematólogos y profesionales sociosanitarios dentro de GEPTI.
- Dar espacio a los pacientes para contar su propia realidad.

GEPTI: Grupo Español de Trombocitopenia Inmune. **PTI:** trombocitopenia inmune primaria.

6. CONCLUSIONES

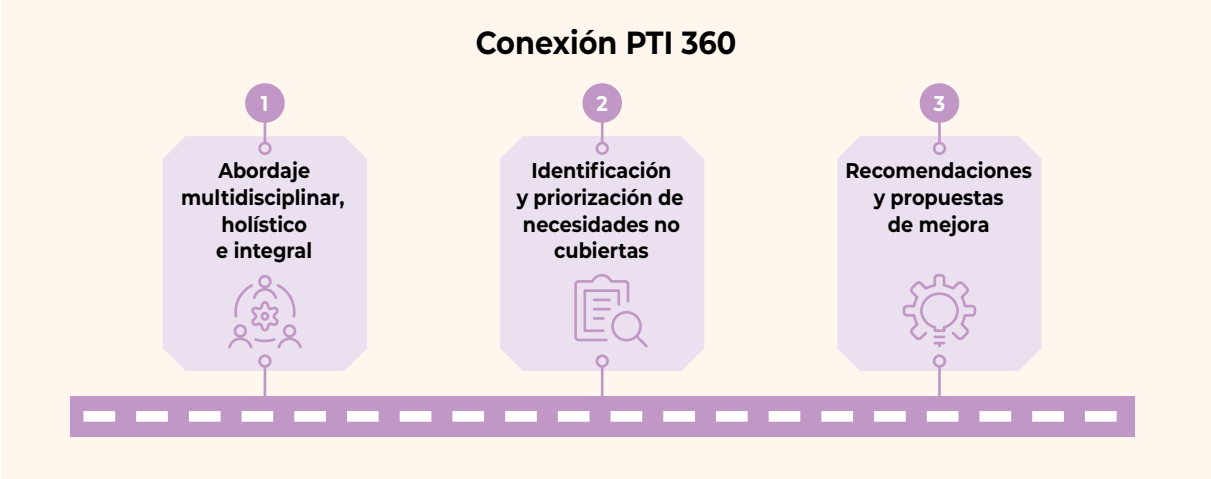
La PTI es una enfermedad rara de origen inmune que afecta negativamente a la salud y a la CVRS de los pacientes que la padecen. Su elevada carga clínica, social y asistencial, pone de manifiesto la necesidad de desarrollar propuestas y estrategias de mejora.

La misión del proyecto «Conexión PTI 360» es promover un enfoque multidisciplinar, holístico e integral para mejorar el manejo de la PTI en España, impulsando la colaboración entre pacientes y profesionales sanitarios con el fin de mejorar la atención, la CVRS de los pacientes y la respuesta del sistema sanitario ante esta enfermedad rara. El objetivo de este proyecto es identificar y priorizar las NNC más relevantes en el contexto actual de la PTI en España (Figura 7).

Atendiendo a su experiencia profesional y personal, el Grupo de Trabajo Multidisciplinar del proyecto ha proporcionado recomendaciones y propuestas de mejora para las 15 NNC más relevantes de la PTI en España, sentando las bases de estrategias y recursos en la práctica clínica y estableciendo una hoja de ruta para optimizar el manejo clínico, la atención a los pacientes, la investigación y la organización del sistema sanitario.

Este informe pretende formar parte de la mejora continua en la PTI en España y servir como guía estratégica en el manejo actual.

Figura 7. Misión y objetivo del proyecto «Conexión PTI 360»



Abreviaturas: **PTI:** trombocitopenia inmune primaria.

La misión y objetivo del proyecto «Conexión PTI 360» pone en relieve cómo un abordaje multidisciplinar, holístico e integral es fundamental para tratar la PTI en todos sus ámbitos. La identificación y priorización de NNC, así como las diferentes propuestas de mejora recogidas en este documento, proponen una hoja de ruta en el manejo de la PTI en España.

ANEXOS

Anexo 1. Listado global de NNC en la PTI

Bloque A: NNC clínicas y terapéuticas
Diagnóstico y curso de la patología
■ Ausencia de un estándar de referencia diagnóstico
■ Carencia de biomarcadores predictivos del curso patológico y respuesta al tratamiento
Fisiopatología e investigación clínica
■ Déficit de conocimiento sobre causas exactas y desregulación inmune
■ Falta de ensayos clínicos que comparen directamente estrategias terapéuticas
■ Ausencia de escalas o variables consensuadas para evaluar PTI en los ensayos clínicos
■ Insuficiente relevancia de los eventos de sangrado como variable clave en los ensayos clínicos
■ Necesidad de reforzar el estudio de variables de calidad de vida y resultados reportados por los pacientes en los ensayos clínicos
■ Déficit de datos en vida real e insuficiente inclusión de pacientes en los registros
■ Insuficiente evidencia en vida real sobre adherencia y persistencia
Tratamiento
■ Ausencia de terapias efectivas para el control sostenido del recuento plaquetario
■ Terapias limitadas para pacientes refractarios
■ Necesidad de terapias con un mejor perfil de seguridad
■ Necesidad de nuevas opciones terapéuticas
■ Déficit de terapias que alivien los síntomas de la calidad de vida, incluyendo la fatiga
■ Falta de intervenciones tempranas que estabilicen la respuesta y eviten los tratamientos de rescate
■ Opciones de tratamiento limitadas en poblaciones especiales
☐ Pacientes pediátricos
☐ Pacientes adolescentes y adultos jóvenes
☐ Pacientes con edad avanzada
☐ Mujeres: menstruación, fertilidad, embarazo, parto y lactancia
☐ Pacientes con riesgo trombótico
☐ Pacientes esplenectomizados
☐ Pacientes con comorbilidades
Bloque B: NNC del paciente
Calidad de vida
■ Impacto de la enfermedad en la calidad de vida del paciente
■ Limitaciones para la valoración y el manejo de la fatiga
■ Falta de atención a la salud mental e impacto psicosocial
■ Déficit en la atención a las limitaciones en las actividades cotidianas esenciales
■ Ausencia de estandarización de cuestionarios para medir experiencia del paciente y resultados reportados por el paciente, con énfasis en la calidad de vida, e implementación de su uso en la práctica clínica

▶▶

ÍNDICE

Bloque B: NNC del paciente
Educación y toma de decisiones compartida equipo sanitario-paciente
■ Brecha en la participación del paciente, especialmente pediátrico, en la toma de decisiones compartida
■ Déficit en la educación e información al paciente
■ Inadecuado desarrollo de herramientas que aumenten autonomía del paciente
■ Ausencia de estrategias para reducir discrepancias entre la percepción de síntomas y objetivos de tratamiento entre equipo sanitario y paciente
■ Falta de formación y equipos multidisciplinares para un abordaje integral
■ Baja conciencia de los profesionales sanitarios sobre resultados informados por pacientes y experiencia del paciente
■ Limitaciones en la comunicación activa con el paciente
Carga económica
■ Ausencia de gestión de las repercusiones socioeconómicas de la PTI en la vida del paciente
■ Escaso abordaje de la carga socioeconómica por pérdida de productividad e impacto familiar
Bloque C: NNC en la gestión sanitaria
Guías de práctica clínica
■ Necesidad de actualización regular de las guías de práctica clínica
■ Necesidad de reducir la variabilidad en la práctica clínica según la evidencia científica disponible
Costes sanitarios
■ Necesidad de disminuir los elevados costes sanitarios asociados
■ Falta de incorporación de criterios de eficiencia del sistema en la toma de decisiones
Políticas y estrategias en materia de salud
■ Escasez de estrategias para visibilizar las enfermedades raras
■ Necesidad de impulso en la ejecución del plan estratégico de enfermedades raras, dotándolo de financiación e indicadores de desempeño
■ Falta de estandarización e integración de datos e indicadores de calidad entre centros nacionales
■ Presencia de desigualdades territoriales y dificultades en el acceso a derechos sociales

Abreviaturas: **NNC:** necesidades no cubiertas. **PTI:** trombocitopenia inmune primaria. **RESTI:** Registro Español de Trombocitopenia Inmune Primaria y Otras Trombocitopenia Inmunes.

Anexo 2. Puntuación de las NNC en PTI por parte del Grupo de Trabajo Multidisciplinar atendiendo a sus perfiles

Bloque A: NNC clínicas y terapéuticas	Media	DE
A1. Déficit de datos en vida real e insuficiente inclusión de pacientes en los registros	**9,81**	**0,38**
A2. Carencia de biomarcadores predictivos del curso patológico y respuesta al tratamiento	**9,69**	**0,38**
A3. Falta de intervenciones tempranas que estabilicen la respuesta y eviten los tratamientos de rescate	**9,56**	**0,59**
A4. Opciones de tratamiento limitadas en poblaciones especiales ■ Pacientes pediátricos ■ Pacientes adolescentes y adultos jóvenes ■ Pacientes con edad avanzada ■ Mujeres: menstruación, fertilidad, embarazo, parto y lactancia ■ Pacientes con riesgo trombótico ■ Pacientes esplenectomizados ■ Pacientes con comorbilidades	**9,53**	**0,62**
A5. Insuficiente evidencia en vida real sobre adherencia y persistencia	**9,38**	**0,75**
A6. Ausencia de un estándar de referencia diagnóstico	**9,31**	**0,80**
Déficit de conocimiento sobre causas exactas y desregulación inmune	9,25	0,96
Terapias limitadas para pacientes refractarios	9,13	1,11
Ausencia de escalas o variables consensuadas para evaluar PTI en los ensayos clínicos	8,94	1,33
Falta de ensayos clínicos que comparen directamente estrategias terapéuticas	8,88	1,93
Necesidad de nuevas opciones terapéuticas	8,75	1,26
Déficit de terapias que alivien los síntomas de la calidad de vida, incluyendo la fatiga	8,75	1,26
Ausencia de terapias efectivas para el control sostenido del recuento plaquetario	8,63	1,03
Necesidad de terapias con un mejor perfil de seguridad	8,56	1,20
Necesidad de reforzar el estudio de variables de calidad de vida y resultados reportados por los pacientes en los ensayos clínicos	8,38	0,63
Insuficiente relevancia de los eventos de sangrado como variable clave en los ensayos clínicos	5,63	1,60
Bloque B: NNC del paciente	**Media**	**DE**
B1. Falta de atención a la salud mental e impacto psicosocial	**9,81**	**0,38**
B2. Ausencia de estandarización de cuestionarios para medir experiencia del paciente y resultados reportados por el paciente, con énfasis en la calidad de vida, e implementación de su uso en la práctica clínica	**9,69**	**0,31**

Bloque B: NNC del paciente	Media	DE
B3. Déficit en la educación e información al paciente	**9,50**	**0,41**
B4. Falta de formación y equipos multidisciplinares para un abordaje integral	**9,50**	**0,58**
B5. Escaso abordaje de la carga socioeconómica por pérdida de productividad e impacto familiar	**9,31**	**0,55**
Baja conciencia de los profesionales sanitarios sobre resultados informados por pacientes y experiencia del paciente	9,13	0,63
Inadecuado desarrollo de herramientas que aumenten autonomía del paciente	9,06	0,83
Limitaciones para la valoración y el manejo de la fatiga	9,00	0,71
Limitaciones en la comunicación activa con el paciente	8,81	0,90
Ausencia de estrategias para reducir discrepancias entre la percepción de síntomas y objetivos de tratamiento entre equipo sanitario y paciente	8,75	0,96
Ausencia de gestión de las repercusiones socioeconómicas de la PTI en la vida del paciente	8,69	1,03
Déficit en la atención a las limitaciones en las actividades cotidianas esenciales	8,69	1,82
Impacto de la enfermedad en la calidad de vida del paciente	8,38	1,18
Brecha en la participación del paciente, especialmente pediátrico, en la toma de decisiones compartida	7,63	1,25
Bloque C: NNC en la gestión sanitaria	**Media**	**DE**
C1. Necesidad de impulso en la ejecución del plan estratégico de enfermedades raras, dotándolo de financiación e indicadores de desempeño	**9,88**	**0,25**
C2. Falta de incorporación de criterios de eficiencia del sistema en la toma de decisiones	**9,69**	**0,47**
C3. Presencia de desigualdades territoriales y dificultades en el acceso a derechos sociales	**9,44**	**0,43**
C4. Escasez de estrategias para visibilizar las enfermedades raras	**9,38**	**0,75**
Falta de estandarización e integración de datos e indicadores de calidad entre centros nacionales	9,25	0,50
Necesidad de disminuir los elevados costes sanitarios asociados	9,19	0,75
Necesidad de reducir la variabilidad en la práctica clínica según la evidencia científica disponible	8,75	0,96
Necesidad de actualización regular de las guías de práctica clínica	8,44	2,02

Nota: las NNC fueron priorizadas mediante una escala de valoración de 0 «nada importante» y 10 «muy importante».

Abreviaturas: **DE:** desviación estándar. **NNC:** necesidades no cubiertas. **PTI:** trombocitopenia inmune primaria. **RESTI:** Registro Español de Trombocitopenia Inmune Primaria y Otras Trombocitopenia Inmunes.

REFERENCIAS

1. Provan D, Arnold DM, Bussel JB, Chong BH, Cooper N, Gernsheimer T, et al. Updated international consensus report on the investigation and management of primary immune thrombocytopenia. Blood Adv. 2019;3(22):3780-817. doi:10.1182/bloodadvances.2019000812

2. Neunert C, Terrell DR, Arnold DM, Buchanan G, Cines DB, Cooper N, et al. American Society of Hematology 2019 guidelines for immune thrombocytopenia. Blood Adv. 2019;3(23):3829-66. doi:10.1182/bloodadvances.2019000966

3. Pascual Izquierdo C, Canaro Hirnyk M, Sánchez González B, Mingot Castellano ME. Recomendaciones del GEPTI para el diagnóstico y tratamiento de la trombocitopenia inmune [Internet]. 2023 [citado 23 mar 2026]. Disponible en: *https://www.sehh.es/images/stories/recursos/2024/01/25/GUIA-GEPTI-2023.pdf*

4. Gafter-Gvili A. Current approaches for the diagnosis and management of immune thrombocytopenia. Eur J Intern Med. 2023;108:18-24. doi:10.1016/j.ejim.2022.11.022

5. Jaime-Pérez JC, Ramos-Dávila EM, Meléndez-Flores JD, Gómez-De León A, Gómez-Almaguer D. Insights on chronic immune thrombocytopenia pathogenesis: A bench to bedside update. Blood Rev. 2021;49:100827. doi:10.1016/j.blre.2021.100827

6. Audia S, Mahévas M, Nivet M, Ouandji S, Ciudad M, Bonnotte B. Immune Thrombocytopenia: Recent Advances in Pathogenesis and Treatments. HemaSphere. 2021;5(6):e574. doi:10.1097/HS9.0000000000000574

7. Semple JW, Rebetz J, Maouia A, Kapur R. An update on the pathophysiology of immune thrombocytopenia. Curr Opin Hematol. 2020;27(6):423-9. doi:10.1097/MOH.0000000000000612

8. Farhid F, Rezaeeyan H, Habibi R, Kamali Yazdi E, Hamblin MR, Naghinezhad J. When the victim becomes the villain: Platelets as drivers of immune dysregulation in ITP. J Transl Autoimmun. 2025;11:100309. doi:10.1016/j.jtauto.2025.100309

9. Neunert C, Noroozi N, Norman G, Buchanan GR, Goy J, Nazi I, et al. Severe bleeding events in adults and children with primary immune thrombocytopenia: a systematic review. J Thromb Haemost. 2015;13(3):457-64. doi:10.1111/jth.12813

10. Singh A, Uzun G, Bakchoul T. Primary Immune Thrombocytopenia: Novel Insights into Pathophysiology and Disease Management. J Clin Med. 2021;10(4):789. doi:10.3390/jcm10040789

11. Martínez-Carballeira D, Bernardo Á, Caro A, Soto I, Gutiérrez L. Pathophysiology, Clinical Manifestations and Diagnosis of Immune Thrombocytopenia: Contextualization from a Historical Perspective. Hematol Rep. 2024;16(2):204-19. doi:10.3390/hematolrep16020021

12. Mingot-Castellano ME, Canaro Hirnyk M, Sánchez-González B, Álvarez-Román MT, Bárez-García A, Bernardo-Gutiérrez Á, et al. Recommendations for the Clinical Approach to Immune Thrombocytopenia: Spanish ITP Working Group (GEPTI). J Clin Med. 2023;12(20):6422. doi:10.3390/jcm12206422

13. Cines DB, Bussel JB, Liebman HA, Luning Prak ET. The ITP syndrome: pathogenic and clinical diversity. Blood. 2009;113(26):6511-21. doi:10.1182/blood-2009-01-129155

14. Madkhali MA. Recent advances in the management of immune thrombocytopenic purpura (ITP): A comprehensive review. Medicine (Baltimore). 2024;103(3):e36936. doi:10.1097/MD.0000000000036936

15. Lambert MP, Gernsheimer TB. Clinical updates in adult immune thrombocytopenia. Blood. 2017;129(21):2829-35. doi:10.1182/blood-2017-03-754119

16. Al-Samkari H, Kuter DJ. Immune Thrombocytopenia in Adults: Modern Approaches to Diagnosis and Treatment. Semin Thromb Hemost. 2020;46(3):275-88. doi:10.1055/s-0039-1700512

17. Rodeghiero F, Ruggeri M. ITP and international guidelines: what do we know, what do we need? Presse Med. 2014;43(4 Pt 2):e61-7. doi:10.1016/j.lpm.2014.02.004

18. Panch SR, Raman G, Bussel JB. Refractory ITP: revisiting definitions, diagnostics, and management paradigms. Hematol Am Soc Hematol Educ Program. 2025;2025(1):312-23. doi:10.1182/hematology.2025000720

19. Rodeghiero F, Stasi R, Gernsheimer T, Michel M, Provan D, Arnold DM, et al. Standardization of terminology, definitions and outcome criteria in immune thrombocytopenic purpura of adults and children: report from an international working group. Blood. 2009;113(11):2386-93. doi:10.1182/blood-2008-07-162503

20. Neunert CE, Buchanan GR, Imbach P, Bolton-Maggs PH, Bennett CM, Neufeld E, et al. Bleeding manifestations and management of children with persistent and chronic immune thrombocytopenia: data from the Intercontinental Cooperative ITP Study Group (ICIS). Blood. 2013;121(22):4457-62. doi:10.1182/blood-2012-12-466375

REFERENCIAS

21. Schifferli A, Holbro A, Chitlur M, Coslovsky M, Imbach P, Donato H, et al. A comparative prospective observational study of children and adults with immune thrombocytopenia: 2-year follow-up. Am J Hematol. 2018;93(6):751-9. doi:10.1002/ajh.25086

22. Kulmala LM, Aarnivala H, Pokka T, Huurre A, Järvelä L, Palmu S, et al. Immune Thrombocytopenia in Finnish Children and Adolescents: A Population-Based Cohort Study. Acta Paediatr. 2025;114(9):2211-8. doi:10.1111/apa.70090

23. Moulis G, Palmaro A, Montastruc JL, Godeau B, Lapeyre-Mestre M, Sailler L. Epidemiology of incident immune thrombocytopenia: a nationwide population-based study in France. Blood. 2014;124(22):3308-15. doi:10.1182/blood-2014-05-578336

24. Lozano ML, Sanz MA, Vicente V, Grupo Español de PTI (GEPTI). Guidelines of the Spanish ITP Group for the diagnosis, treatment and follow-up of patients with immune thrombopenia. Med Clin (Barc). 2021;157(4):191-8. doi:10.1016/j.medcli.2021.03.017

25. Matzdorff A, Alesci SR, Gebhart J, Holzhauer S, Hütter-Krönke ML, Kühne T, et al. Expert Report on Immune Thrombocytopenia: Current Diagnostics and Treatment – Recommendations from an Expert Group from Austria, Germany, and Switzerland. Oncol Res Treat. 2023;46(Suppl. 2):5-44. doi:10.1159/000529662

26. Song F, Al-Samkari H. Management of Adult Patients with Immune Thrombocytopenia (ITP): A Review on Current Guidance and Experience from Clinical Practice. J Blood Med. 2021;12:653-64. doi:10.2147/JBM.S259101

27. Liu XG, Hou Y, Hou M. How we treat primary immune thrombocytopenia in adults. J Hematol Oncol. 2023;16(1):4. doi:10.1186/s13045-023-01401-z

28. Cuker A, Liebman HA. Corticosteroid overuse in adults with immune thrombocytopenia: Cause for concern. Res Pract Thromb Haemost. 2021;5(6):e12592. doi:10.1002/rth2.12592

29. Dai MF, Chong GW, Xin WX, Kong SS, Zhu JF, Zhong LK, et al. Thromboembolic Risk of Thrombopoietin Receptor Agonists for Adult Primary Immune Thrombocytopenia: A Systematic Review and Meta-Analysis Integrating Randomized Controlled Trials and Prospective Evidence. Pharmacotherapy. 2025;45(11):764-73. doi:10.1002/phar.70075

30. Mingot-Castellano ME, Bastida JM, Caballero-Navarro G, Entrena Ureña L, González-López TJ, González-Porras JR, et al. Novel Therapies to Address Unmet Needs in ITP. Pharmaceuticals (Basel). 2022;15(7):779. doi:10.3390/ph15070779

31. Provan D, Semple JW. Recent advances in the mechanisms and treatment of immune thrombocytopenia. EBioMedicine. 2022;76:103820. doi:10.1016/j.ebiom.2022.103820

32. Jiang D, Al-Samkari H, Panch SR. Changing Paradigms in ITP Management: Newer Tools for an Old Disease. Transfus Med Rev. 2022;36(4):188-94. doi:10.1016/j.tmrv.2022.08.003

33. Huang K. Novel therapeutics for immune thrombocytopenia: an evolving treatment landscape. Expert Rev Hematol. 2026;19(1):17-31. doi:10.1080/17474086.2025.2570332

34. González-López TJ, Provan D. The new era of primary immune thrombocytopenia management in adults: A narrative review of current and emerging treatments. Blood Rev. 2025;73:101300. doi:10.1016/j.blre.2025.101300

35. Cooper N, Kruse C, Deneen Morgan S, Laurent J, Arvelo-Saillant M, Roussy JP, et al. Patient survey in immune thrombocytopenia (ITP): Identifying unmet needs related to treatment and disease control in patients living in the United States. Br J Haematol. 2025;207(3):1038-46. doi:10.1111/bjh.20257

36. Efficace F, Mandelli F, Fazi P, Santoro C, Gaidano G, Cottone F, et al. Health-related quality of life and burden of fatigue in patients with primary immune thrombocytopenia by phase of disease. Am J Hematol. 2016;91(10):995-1001. doi:10.1002/ajh.24463

37. Rovó A, Cantoni N, Samii K, Rüfer A, Koenen G, Ivic S, et al. Real-world impact of primary immune thrombocytopenia and treatment with thrombopoietin receptor agonists on quality of life based on patient-reported experience: Results from a questionnaire conducted in Switzerland, Austria, and Belgium. PLoS One. 2022;17(4):e0267342. doi:10.1371/journal.pone.0267342

38. van Dijk WEM, Nap-van der Vlist MM, Knoop H, Schutgens REG. Possible Targets to Reduce Fatigue in Chronic Immune Thrombocytopenia Patients – An Explorative Study. TH Open. 2022;6(4):e387-95. doi:10.1055/s-0042-1758546

39. Maitland H, Lambert C, Ghanima W. Patient-centric care in primary immune thrombocytopenia (ITP): shared decision-making and assessment of health-related quality of life. Hematology. 2024;29(1):2375177. doi:10.1080/16078454.2024.2375177

REFERENCIAS

40. Pascual-Izquierdo C, Llacer-Ferrandis MJ, de-la-Iglesia A, Monsalvo-Saornil S, Menor-Gómez M, Gil-Fernández JJ, et al. Avatrombopag in adults with immune thrombocytopenia: A multicentre real-life observational study in Madrid, Spain (AVAMAD study). Br J Haematol. 2025;206(2):652-6. doi:10.1111/bjh.19975

41. Jiménez-Bárcenas R, García-Donas-Gabaldón G, Campos-Álvarez RM, Fernández-Sánchez de Mora MC, Luis-Navarro J, Domínguez-Rodríguez JF, et al. Treatment with fostamatinib in patients with immune thrombocytopenia: Experience from the Andalusian region in Spain-The Fostasur Study. Br J Haematol. 2024;204(5):1977-85. doi:10.1111/bjh.19443

42. González-Porras JR, Parrondo García FJ, Anguita E. Cost-per-responder analysis for eltrombopag and rituximab in the treatment of primary immune thrombocytopenia in Spain. Farm Hosp. 2020;44(6):279-87. doi:10.7399/fh.11525

43. Palau J, Sancho E, Herrera M, Sánchez S, Mingot ME, Upegui RI, et al. Characteristics and management of primary and other immune thrombocytopenias: Spanish registry study. Hematology. 2017;22(8):484-92. doi:10.1080/10245332.2017.1311442

44. González-López TJ, Alperovich G, Burillo E, Espejo-Saavedra Soler M, Rebollo-Gómez E, Hernández I, et al. Epidemiology, Treatment Patterns, and Cost Analysis of Immune Thrombocytopenia in Spain between 2014 and 2020: A Population-based Study. TH Open. 2024;8(3):e252-65. doi:10.1055/a-2336-1062

45. González-López TJ, Bárez A, Bernardo-Gutiérrez Á, Bernat S, Fernández-Fuertes F, Guinea de Castro JM, et al. Real-life clinical practice in Spain in the setting of new drug availability for ITP treatment. A Delphi-based Spanish expert panel consensus. Platelets. 2024;35(1):2336104. doi:10.1080/09537104.2024.2336104

46. Monteagudo E, Astigarraga I, Cervera Á, Dasí MA, Sastre A, Berrueco R, et al. Protocolo de estudio y tratamiento de la trombocitopenia inmune primaria: PTI-2018. An Pediatr (Engl Ed). 2019;91(2):127.e1-10. doi:10.1016/j.anpedi.2019.04.014

47. Farmaindustria. (RWE): La nueva era de datos sanitarios que revolucionará la vida de los pacientes [Internet]. 2023 [citado 27 ene 2026]. Disponible en: *https://www.farmaindustria.es/web/wp-content/uploads/sites/2/2023/08/Reportaje_evidencia-vida-real_web.pdf*

48. McCabe E, Rabi S, Bele S, Zwicker JD, Santana MJ. Factors affecting implementation of patient-reported outcome and experience measures in a pediatric health system. J Patient Rep Outcomes. 2023;7(1):24. doi:10.1186/s41687-023-00563-1

49. Drury A, Boland V, Dowling M. Patient-Reported Outcome and Experience Measures in Advanced Nursing Practice: What Are Key Considerations for Implementation and Optimized Use? Semin Oncol Nurs. 2024;40(3):151632. doi:10.1016/j.soncn.2024.151632

50. Benson T. Measure what we want: a taxonomy of short generic person-reported outcome and experience measures (PROMs and PREMs). BMJ Open Qual. 2020;9(1):e000789. doi:10.1136/bmjoq-2019-000789

51. Gu H, Chen Z, Shi X, Cui H, Qin X, Hu H, et al. Increased proportion of Th17/Treg cells at the new diagnosed stage of chronic immune thrombocytopenia in pediatrics: the pilot study from a multi-center. Eur J Pediatr. 2021;180(11):3411-7. doi:10.1007/s00431-021-04121-z

52. Schmidt DE, Heitink-Pollé KMJ, Laarhoven AG, Bruin MCA, Veldhuisen B, Nagelkerke SQ, et al. Transient and chronic childhood immune thrombocytopenia are distinctly affected by Fc-γ receptor polymorphisms. Blood Adv. 2019;3(13):2003-12. doi:10.1182/bloodadvances.2019000068

53. Liu S, Xiong YZ, Li T, Li Y, Gu SQ, Wang YM, et al. Interleukin-17A and -17F Gene Polymorphisms in Chinese Population with Chronic Immune Thrombocytopenia. Ann Clin Lab Sci. 2016;46(3):291-7.

54. Terrell DR, Neunert CE, Cooper N, Heitink-Pollé KM, Kruse C, Imbach P, et al. Immune Thrombocytopenia (ITP): Current Limitations in Patient Management. Medicina (Kaunas). 2020;56(12):667. doi:10.3390/medicina56120667

55. Allegra A, Cicero N, Mirabile G, Giorgianni CM, Gangemi S. Novel Biomarkers for Diagnosis and Monitoring of Immune Thrombocytopenia. Int J Mol Sci. 2023;24(5):4438. doi:10.3390/ijms24054438

56. Connors JM, Fein S. How to manage ITP with life-threatening bleeding. Hematology Am Soc Hematol Educ Program. 2023;2023(1):254-8. doi:10.1182/hematology.2023000478

57. Kim TO, Despotovic JM. Pediatric immune thrombocytopenia (ITP) treatment. Ann Blood. 2021;6(4). doi:10.21037/aob-20-96

58. Azevedo J, DiRaimo J, Neunert C, Cooper N, Grace RF. Treatment Landscape in Pediatric Immune Thrombocytopenia: Addressing Unmet Needs. Pediatr Blood Cancer. 2025;72(7):e31758. doi:10.1002/pbc.31758

59. Zhang X, Zhao Y, Yang M, Feng X. Comparative efficacy and safety of rhTPO, romiplostim, and eltrombopag in the treatment of pediatric primary immune thrombocytopenia: a systematic review and network meta-analysis. Front Immunol. 2025;16:1595774. doi:10.3389/fimmu.2025.1595774

REFERENCIAS

60. Schifferli A, Le Gavrian G, Aladjidi N, Moulis G, Godeau B, Kühne T. Chronic refractory immune thrombocytopenia in adolescents and young adults. Br J Haematol. 2023;203(1):36-42. doi:10.1111/bjh.19081

61. Schifferli A. Immune thrombocytopenia in adolescents and young adults. Front Med (Lausanne). 2025;12:1553936. doi:10.3389/fmed.2025.1553936

62. Lozano ML, Mingot-Castellano ME, Perera MM, Jarque I, Campos-Alvarez RM, González-López TJ, et al. A decade of changes in management of immune thrombocytopenia, with special focus on elderly patients. Blood Cells Mol Dis. 2021;86:102505. doi:10.1016/j.bcmd.2020.102505

63. Crickx E, Mahévas M, Michel M, Godeau B. Older Adults and Immune Thrombocytopenia: Considerations for the Clinician. Clin Interv Aging. 2023;18:115-30. doi:10.2147/CIA.S369574

64. Cooper N, Kruse A, Kruse C, Watson S, Morgan M, Provan D, et al. Immune thrombocytopenia (ITP) World Impact Survey (iWISh): Patient and physician perceptions of diagnosis, signs and symptoms, and treatment. Am J Hematol. 2021;96(2):188-98. doi:10.1002/ajh.26045

65. Rüfer A, Terrell DR. Burden of immune thrombocytopenia (ITP): Special considerations for refractory ITP. Br J Haematol. 2023;203(1):79-85. doi:10.1111/bjh.19068

66. van Dijk WEM, Punt MC, van Galen KPM, van Leeuwen J, Lely AT, Schutgens REG. Menstrual problems in chronic immune thrombocytopenia: A monthly challenge - a cohort study and review. Br J Haematol. 2022;198(4):753-64. doi:10.1111/bjh.18291

67. Kontogiannis A, Matsas A, Valsami S, Livanou ME, Panoskaltsis T, Christopoulos P. Primary Hemostasis Disorders as a Cause of Heavy Menstrual Bleeding in Women of Reproductive Age. J Clin Med. 2023;12(17):5702. doi:10.3390/jcm12175702

68. Llaneza AJ, Beebe LA, Campbell JE, Cheney MK, Zhang Y, Terrell DR. Implementation of Primary Immune Thrombocytopenia Clinical Practice Guidelines for Management of Pregnancy. J Clin Med. 2024;13(21):6477. doi:10.3390/jcm13216477

69. Dahiphale SM, Dewani D, Agrawal M, Dahiphale JM, Jyotsna G, Saloni, et al. Navigating Primary Immune Thrombocytopenia During Pregnancy With Management Strategies and Considerations: A Comprehensive Review. Cureus. 2024;16(8):e67449. doi:10.7759/cureus.67449

70. Merz LE, Fogerty AE. Treatment options for immune thrombocytopenia (ITP) in pregnancy and postpartum. Expert Opin Pharmacother. 2025;26(13):1441-9. doi:10.1080/14656566.2025.2557448

71. Thakre R, Gharde P, Raghuwanshi M. Idiopathic Thrombocytopenic Purpura: Current Limitations and Management. Cureus. 2023;15(11):e49313. doi:10.7759/cureus.49313

72. Waghmare BV, Jajoo S. Navigating Primary Immune Thrombocytopenia During Pregnancy: Management Strategies and Considerations: A Comprehensive Review. Cureus. 2024;16(8):e67284. doi:10.7759/cureus.67284

73. Therme F, Viallard JF, Rueter M, Comont T, Cheze S, Audia S, et al. Incidence, Characteristics, and Management of Venous Thrombosis in Adult Patients With Immune Thrombocytopenia: Results From the Multicenter, Prospective Registry CARMEN-France. Am J Hematol. 2026;101(3):456-66. doi:10.1002/ajh.70192

74. Ali EA, Rasheed M, Al-Sadi A, Awadelkarim AM, Saad EA, Yassin MA. Immune Thrombocytopenic Purpura and Paradoxical Thrombosis: A Systematic Review of Case Reports. Cureus. 2022;14(10):e30279. doi:10.7759/cureus.30279

75. Ma Y, Yao W, Lang H, Cheng Y, Ren R, Chen Y, et al. Geographic and diagnostic variations in thrombosis risk among patients with immune thrombocytopenia: A systematic review and meta-analysis. Thromb Res. 2025;254:109450. doi:10.1016/j.thromres.2025.109450

76. Kochhar M, Neunert C. Immune thrombocytopenia: A review of upfront treatment strategies. Blood Rev. 2021;49:100822. doi:10.1016/j.blre.2021.100822

77. Tahir F, Ahmed J, Malik F. Post-splenectomy Sepsis: A Review of the Literature. Cureus. 2020;12(2):e6898. doi:10.7759/cureus.6898

78. Caocci G, Efficace F, Mulas O, Cottone F, Maxia A, Costa A, et al. Health-related quality of life profile of patients with immune thrombocytopenia in the real life is impaired by splenectomy. Ann Hematol. 2022;101(4):749-54. doi:10.1007/s00277-021-04750-2

79. Enger C, Bennett D, Forssen U, Fogarty PF, McAfee AT. Comorbidities in patients with persistent or chronic immune thrombocytopenia. Int J Hematol. 2010;92(2):289-95. doi:10.1007/s12185-010-0636-3

REFERENCIAS

80. Cramer JA, Roy A, Burrell A, Fairchild CJ, Fuldeore MJ, Ollendorf DA, et al. Medication compliance and persistence: terminology and definitions. Value Health. 2008;11(1):44-7. doi:10.1111/j.1524-4733.2007.00213.x

81. Arnold DM, Nazy I, Clare R, Jaffer AM, Aubie B, Li N, et al. Misdiagnosis of primary immune thrombocytopenia and frequency of bleeding: lessons from the McMaster ITP Registry. Blood Adv. 2017;1(25):2414-20. doi:10.1182/bloodadvances.2017010942

82. Kosmidou A, Gavriilaki E, Tragiannidis A. The Challenge for a Correct Diagnosis of Refractory Thrombocytopenia: ITP or MDS with Isolated Thrombocytopenia? Cancers (Basel). 2024;16(8):1462. doi:10.3390/cancers16081462

83. Ghanima W, Cooper N, Bozzi S, Daak A, Gouia I, Cordoba M, et al. A Qualitative Study on Patient Experience with Signs, Symptoms, and Daily Impacts of Immune Thrombocytopenia. Patient. 2026;19(1):69-82. doi:10.1007/s40271-025-00762-6

84. Gemici Karaaslan HB, Turkkan E, Goksoy Topal E, Karaaslan F, Dag H, Arica V. Association of depression and social anxiety symptom scores with disease characteristics in pediatric patients with chronic immune thrombocytopenia: a cross-sectional study. Int J Hematol. 2024;120(3):356-64. doi:10.1007/s12185-024-03826-9

85. Yahia S, Wahba Y, El-Gilany AH, Abdelmabood S, El-Hadidy MA, Darwish A, et al. Psychiatric Disorders and Quality of Life in Egyptian Patients with Chronic Immune Thrombocytopenic Purpura: A Single Center Study. Indian J Hematol Blood Transfus. 2019;35(2):347-51. doi:10.1007/s12288-018-1031-0

86. Mannering N, Hansen DL, Pottegård A, Andersen K, Frederiksen H. Mental health and use of psychotropic prescription drugs in adult patients with primary immune thrombocytopenia: a nationwide population-based cohort study. Haematologica. 2024;109(9):2944-54. doi:10.3324/haematol.2024.285364

87. Zwaginga JJ, Nagalla S, Linden M, Lindberg MH, Kruse C, Morgan M, et al. Impact of Primary Chronic Immune Thrombocytopenia and Thrombopoietin Receptor Agonists Treatment Instructions on Daily Living: Results of a Multinational Cross-Sectional Survey. Patient Prefer Adherence. 2025;19:2445-58. doi:10.2147/PPA.S505337

88. Al-Samkari H, Neufeld EJ. Novel therapeutics and future directions for refractory immune thrombocytopenia. Br J Haematol. 2023;203(1):65-78. doi:10.1111/bjh.19078

89. Cooper N, Cuker A, Bonner N, Ghanima W, Provan D, Morgan M, et al. Qualitative study to support the content validity of the immune thrombocytopenia (ITP) Life Quality Index (ILQI). Br J Haematol. 2021;194(4):759-66. doi:10.1111/bjh.17694

90. Viana R, D'Alessio D, Grant L, Cooper N, Arnold D, Morgan M, et al. Psychometric Evaluation of ITP Life Quality Index (ILQI) in a Global Survey of Patients with Immune Thrombocytopenia. Adv Ther. 2021;38(12):5791-808. doi:10.1007/s12325-021-01934-0

91. Cooper N, Kruse A, Kruse C, Watson S, Morgan M, Provan D, et al. Immune thrombocytopenia (ITP) World Impact Survey (I-WISh): Impact of ITP on health-related quality of life. Am J Hematol. 2021;96(2):199-207. doi:10.1002/ajh.26036

92. Mathias SD, Gao SK, Rutstein M, Snyder CF, Wu AW, Cella D. Evaluating clinically meaningful change on the ITP-PAQ: preliminary estimates of minimal important differences. Curr Med Res Opin. 2009;25(2):375-83. doi:10.1185/03007990802634119

93. Mathias SD, Bussel JB, George JN, McMillan R, Okano GJ, Nichol JL. A disease-specific measure of health-related quality of life for use in adults with immune thrombocytopenic purpura: its development and validation. Health Qual Life Outcomes. 2007;5:11. doi:10.1186/1477-7525-5-11

94. Klaassen RJ, Blanchette V, Burke TA, Wakefield C, Grainger JD, Gaedicke G, et al. Quality of life in childhood immune thrombocytopenia: International validation of the kids' ITP tools. Pediatr Blood Cancer. 2013;60(1):95-100. doi:10.1002/pbc.24257

95. Klaassen RJ, Blanchette VS, Barnard D, Wakefield CD, Curtis C, Bradley CS, et al. Validity, reliability, and responsiveness of a new measure of health-related quality of life in children with immune thrombocytopenic purpura: the Kids' ITP Tools. J Pediatr. 2007;150(5):510-5, 515.e1. doi:10.1016/j.jpeds.2007.01.037

96. Kumar M, Lambert MP, Breakey V, Buchanan GR, Neier M, Neufeld EJ, et al. Sports Participation in Children and Adolescents with Immune Thrombocytopenia (ITP). Pediatr Blood Cancer. 2015;62(12):2223-5. doi:10.1002/pbc.25644

97. El Sherif NHK, Wassel MOM, Mostafa S, Abd El Maged FRR, Nathan SE, Hamdy D, et al. The impact of oral health promotion on the quality of life of children with bleeding disorders: fighting misconceptions. Expert Rev Hematol. 2024;17(12):967-75. doi:10.1080/17474086.2024.2432354

98. Ansteatt KT, Unzicker CJ, Hurn ML, Olaiya OO, Nugent DJ, Tarantino MD. The Need for Comprehensive Care for Persons with Chronic Immune Thrombocytopenic Purpura. J Blood Med. 2020;11:457-63. doi:10.2147/JBM.S289390

REFERENCIAS

99. Tarantino MD, Mathias SD, Snyder CF, Isitt JJ, Gernsheimer T, Young J. Impact of ITP on physician visits and workplace productivity. Curr Med Res Opin. 2010;26(2):319-28. doi:10.1185/03007990903451298

100. Giordano P, Lassandro G, di Meo NA, Palladino V, Lovrencic B, Spinelli M, et al. A Narrative Approach to Describe QoL in Children With Chronic ITP. Front Pediatr. 2019;7:163. doi:10.3389/fped.2019.00163

101. ActualFarma. España actualiza la Estrategia Nacional de Enfermedades Raras [Internet]. 2025 [citado 20 feb 2026]. Disponible en: *https://actualfarma.es/estrategia-nacional-enfermedades-raras-espana-2025/*

102. Federación Española de Enfermedades Raras. Participamos en el lanzamiento de los Grupos de Trabajo del Ministerio de Sanidad para la actualización de la Estrategia Nacional en Enfermedades Raras [Internet]. 2025 [citado 20 feb 2026]. Disponible en: *https://www.enfermedades-raras.org/actualidad/noticias/participamos-en-el-lanzamiento-de-los-grupos-de-trabajo-del-ministerio-de-sanidad-para-la-actualizacion-de-la-estrategia-nacional-en-enfermedades-raras*

103. Sociedad Española de Directivos de la Salud. Programa para desarrollar el Plan Estratégico de EERR [Internet]. 2025 [citado 17 nov 2025]. Disponible en: *https://sedisa.net/eventos/programa-para-desarrollar-el-plan-estrategico-de-eerr/*

104. Climente Martí M, Edo Solsona MD, Abad Sazatornil MR, Bachiller Cacho MP, Fernández Espinola S, Guijarro Martínez P, et al. Plan Estratégico OrPhar-SEFH 2024–2027. Farm Hosp. 2025;49(4):243-51. doi:10.1016/j.farma.2025.03.001

105. Mititelu A, Onisâi MC, Roșca A, Vlădăreanu AM. Current Understanding of Immune Thrombocytopenia: A Review of Pathogenesis and Treatment Options. Int J Mol Sci. 2024;25(4):2163. doi:10.3390/ijms25042163

106. Dolph M, Roy A, Bhor M, Hearnden J, Kwon CS, Forsythe A, et al. A decision framework for treating chronic immune thrombocytopenia with thrombopoietin receptor agonists. J Comp Eff Res. 2018;7(8):775-84. doi:10.2217/cer-2018-0034

107. McDonald V, Guterres S, James S, Zakrzewski M, Pochopień M. The costs of treating bleeding episodes in patients with immune thrombocytopaenia in the United Kingdom. Hematology. 2025;30(1):2458359. doi:10.1080/16078454.2025.2458359

108. Weycker D, Hanau A, Hatfield M, Wu H, Sharma A, Bensink ME, et al. Primary immune thrombocytopenia in US clinical practice: incidence and healthcare burden in first 12 months following diagnosis. J Med Econ. 2020;23(2):184-92. doi:10.1080/13696998.2019.1669329

109. CEU – Centro de Estudios, Formación y Análisis Social. El sistema sanitario español: fortalezas, deficiencias y mejoras [Internet]. 2025 [citado 29 ene 2026]. Disponible en: *https://cefas.ceu.es/wp-content/uploads/Informe_14_CEU-CEFAS_SANIDAD.pdf*

110. The Lancet Global Health. The landscape for rare diseases in 2024. Lancet Glob Health. 2024;12(3):e341. doi:10.1016/S2214-109X(24)00056-1

111. World Health Organization. Rare diseases: a global health priority for equity and inclusion [Internet]. 2025 [citado 29 ene 2026]. Disponible en: *https://apps.who.int/gb/ebwha/pdf_files/WHA78/A78_R11-en.pdf*

Conexión PTI 360

15 RETOS, UN PLAN EN TROMBOCITOPENIA INMUNE PRIMARIA

Realizado por: Weber FUNDACIÓN

Patrocinado por: sanofi

Con el aval de:

SEHH Social Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia

Apoya esta iniciativa

fedhemo Federación Española de Hemofilia