

Púrpura trombótica trombocitopénica: descripción y análisis de 23 casos tratados en Chile entre 2017 y 2022

Daniel Cathalifaud^{a, b} , Jean-Paul Manríquez^{a, b}, Benjamín Rodríguez^{a, b} , Gonzalo Eymin^{a, b} , Benjamín Sanfuentes^{a, b} , Joel Castellano^c , Andrés Valenzuela^{a, b*} 

^aEscuela de Medicina, Pontificia Universidad Católica de Chile, Santiago, Chile; ^bDepartamento de Medicina Interna, Hospital Clínico Red de Salud UC-Christus, Santiago, Chile; ^cFacultad de Ciencias de la Salud, Universidad Bernardo O'Higgins, Santiago, Chile

RESUMEN

INTRODUCCIÓN Desde la primera descripción de la púrpura trombótica trombocitopénica, causada por una deficiencia severa de ADAMTS13, el procedimiento de plasmaféresis y la inmunosupresión se han instaurado como estándares de tratamiento, permitiendo disminuir su elevada mortalidad. Los registros prospectivos de esta afección han proporcionado información valiosa sobre su fisiopatología, presentación clínica y desenlaces. El objetivo de este estudio es actualizar la experiencia local chilena sobre el diagnóstico y manejo de esta enfermedad, mediante una serie de casos de pacientes atendidos entre 2017 y 2022.

MÉTODOS Estudio tipo serie de casos que incluyó pacientes mayores de 18 años diagnosticados con púrpura trombótica trombocitopénica, atendidos entre junio de 2017 y agosto de 2022, en el Hospital Clínico UC Christus. Se recolectó información desde registros clínicos, que se utilizaron para describir la cohorte y cálculos estadísticos. Para la descripción de desenlaces se utilizaron las definiciones aceptadas en la literatura.

RESULTADOS Nuestra serie presentó pacientes de mayor edad y prevalencia de comorbilidades que las reportadas en la literatura. Las manifestaciones clínicas más importantes incluyeron síntomas constitucionales, gastrointestinales, hemorragíparos y neurológicos, con frecuencias de presentación distintas a las descritas internacionalmente. Encontramos una menor capacidad del puntaje PLASMIC para la pesquisa de casos de púrpura trombótica trombocitopénica en nuestra serie. La estrategia terapéutica predominante fue la combinación de glucocorticoides y plasmaféresis (61% de los pacientes). Hubo una alta tasa de mortalidad (56,5%) y eventos adversos relacionados con plasmaféresis, especialmente infecciones asociadas a su uso.

CONCLUSIONES Este estudio destaca los desafíos diagnósticos y terapéuticos de la púrpura trombótica trombocitopénica en el contexto local. Asimismo, releva la necesidad de mejorar nuestras estrategias de manejo mediante la estandarización del cuidado y de una mejor aplicación de las guías clínicas con el objeto de disminuir la elevada mortalidad en estos pacientes.

KEYWORDS Thrombotic Thrombocytopenic Purpura, Thrombotic Microangiopathies, ADAMTS13 Protein, Plasma Exchange, Case Series

INTRODUCCIÓN

Desde la descripción inicial de la púrpura trombótica trombocitopénica por Eli Moschowitz en 1924, caracterizada por una alta mortalidad, el entendimiento de la enfermedad ha progresado significativamente [1–3]. La

introducción del recambio plasmático en la década de 1970 marcó un hito, reduciendo notablemente su letalidad [1,2,4–7]. Posteriormente la incorporación de tratamientos inmunosupresores como glucocorticoides, rituximab y, más recientemente, caplacizumab; ha refinado aún más la estrategia terapéutica, disminuyendo la mortalidad entre un 10 y 20% [8,9].

La púrpura trombótica trombocitopénica se caracteriza por un déficit severo de la proteasa ADAMTS13 (*a disintegrin and metalloproteinase with a thrombospondin type 1 motif, member 13*), esencial para la regulación de los multímeros de Factor Von Willebrand. En su forma congénita, conocida como síndrome de Upshaw-Schulman, o en la variante adquirida, mediada por autoanticuerpos inhibitorios; esta deficiencia conduce a la

* Autor de correspondencia avalenzuelas@ucchristus.cl

Citación Cathalifaud D, Manríquez J-P, Rodríguez B, Eymin G, Sanfuentes B, Castellano J, et al. Púrpura trombótica trombocitopénica: descripción y análisis de 23 casos tratados en Chile entre 2017 y 2022. *Medwave* 2025;25(06):e3002

DOI 10.5867/medwave.2025.06.3002

Fecha de envío Aug 26, 2024, **Fecha de aceptación** Apr 21, 2025,

Fecha de publicación Jul 21, 2025

Correspondencia a Medicina Interna, Hospital Clínico UC Christus, Diagonal Paraguay 362, Santiago, Chile

IDEAS CLAVE

- La púrpura trombótica trombocitopénica es una enfermedad rara y de alta letalidad.
- Nuestra serie presenta datos sobre la experiencia chilena en el enfrentamiento y manejo de esta enfermedad.
- El carácter retrospectivo y bajo número de pacientes limitan la interpretabilidad de este estudio.

acumulación de multímeros de Factor Von Willebrand de gran tamaño. Estos promueven la agregación plaquetaria anómala y la formación de trombos en la microcirculación, desencadenando microangiopatía trombótica y daño tisular por isquemia. Ello permite comprender las manifestaciones de la enfermedad y los criterios diagnósticos que la definen: la presencia de anemia hemolítica microangiopática, trombocitopenia y daño tisular en el contexto de un déficit severo en la actividad de ADAMTS13 (inferior a 10%) [1,2,9,10].

Inicialmente, la púrpura trombótica trombocitopénica fue definida por una “péntada clásica” de síntomas que incluía anemia hemolítica microangiopática, trombocitopenia, fiebre, síntomas neurológicos e insuficiencia renal. Sin embargo, cohortes más recientes han mostrado que esta presentación es muy infrecuente, observándose en menos del 10% de los casos. Actualmente, se reconoce que la púrpura trombótica trombocitopénica puede manifestarse de manera muy variada, generando desafíos en su diagnóstico temprano y preciso [11–17]. El diagnóstico moderno de esta patología se sustenta en la demostración de una actividad de ADAMTS13 inferior a 10%, que tiene una especificidad superior a 97%, cuando se aplica en el contexto clínico adecuado. A pesar de su utilidad diagnóstica, la medición de la actividad de ADAMTS13 no está ampliamente disponible. Esta situación puede conducir a retrasos en el diagnóstico y tratamiento de púrpura trombótica trombocitopénica [2,18]. Con el objetivo de resolver esta problemática, se han desarrollado herramientas como el puntaje PLASMIC, que utiliza antecedentes clínicos y variables de laboratorio, para la predicción de púrpura trombótica trombocitopénica en casos sospechosos y así tomar conductas terapéuticas precozmente [19,20].

Dada la rareza de la púrpura trombótica trombocitopénica, los registros prospectivos han sido esenciales para acumular información sobre su fisiopatología, presentación clínica y desenlaces a largo plazo. El grupo de Oklahoma fue pionero al establecer el primer registro sistemático de pacientes con púrpura trombótica trombocitopénica y otras microangiopatías trombóticas. Dicho modelo ha inspirado iniciativas similares en diversos países, incluidos el Reino Unido, Australia, Nueva Zelanda, Japón, Corea, Italia, España y Francia. Estos registros internacionales han permitido superar las limitaciones propias de los estudios monocéntricos y contrastar datos de diferentes poblaciones, enriqueciendo nuestra comprensión de la enfermedad [1,12–16,21,22].

A nivel nacional, la púrpura trombótica trombocitopénica fue abordada en una serie retrospectiva de 18 casos atendidos en el Hospital Clínico de la Red de Salud UC-Christus, un centro

universitario radicado en Chile, publicada por Eymín *et al* el año 2008 [23]. Desde entonces, se han observado avances significativos, tanto en el diagnóstico como en el manejo de esta enfermedad. En particular, la medición de la actividad de ADAMTS13 se ha consolidado como un estándar diagnóstico en la práctica clínica. En términos terapéuticos, además del recambio plasmático y los corticoides sistémicos, se ha clarificado el papel de otras terapias coadyuvantes o de segunda línea, incluyendo rituximab y caplacizumab.

El objetivo de este estudio es actualizar la experiencia local respecto del diagnóstico y manejo de la púrpura trombótica trombocitopénica, utilizando los registros de los casos atendidos en el Hospital Clínico de la Red de Salud UC-Christus entre los años 2017 y 2022. Para ello, se describen y comparan las características clínicas iniciales, las intervenciones terapéuticas empleadas y los desenlaces observados. Además, se exploran posibles asociaciones entre el puntaje PLASMIC y la carga de comorbilidades del paciente (cuantificada mediante el índice de comorbilidades de Charlson), entre variables clínicas de presentación y mortalidad, distintos tratamientos y mortalidad, y entre eventos adversos de recambio plasmático y mortalidad. Se presenta a continuación una caracterización del cuadro clínico al momento de la presentación, las medidas terapéuticas utilizadas y los desenlaces observados en esta serie.

MÉTODOS

Este es un estudio tipo serie de casos (observacional descriptivo retrospectivo), correspondiente a los casos de púrpura trombótica trombocitopénica atendidos en el Hospital Clínico de la Red de Salud UC-Christus entre los años 2017 y 2022. Se incluyó dentro de la serie a todos los pacientes mayores de 18 años, con un déficit severo en la actividad de ADAMTS13 (esto es, menor o igual a 10%), que fueron atendidos entre el 8 de junio de 2017 y el 23 de agosto de 2022, en el Hospital Clínico de la Red de Salud UC-Christus (en adelante, el hospital). Se recolectó información desde los registros clínicos incluyendo variables demográficas, manifestaciones clínicas, parámetros de laboratorio, modalidades de tratamiento y desenlaces, cuidando la anonimización de los datos mediante codificación de estos al incluirlos en la base de datos. Se consideraron los tiempos de hospitalización desde el ingreso a cualquier centro terciario hasta el momento del egreso del hospital. Para los datos de seguimiento, solo se consideró a aquellos pacientes de los que se pudieron obtener datos clínicos desde la ficha clínica y registros públicos nacionales.

Se calcularon el puntaje PLASMIC (herramienta para predecir el diagnóstico de púrpura trombótica trombocitopénica) y el

índice de comorbilidades de Charlson (un sistema de puntuación de la carga de comorbilidades que se asocia a sobrevivida a 10 años para cada paciente), usando la información disponible hasta el momento de la sospecha de la enfermedad [20,24,25]. Para la descripción de desenlaces se utilizaron las definiciones actualmente aceptadas en la literatura, que se incluyen en la Tabla 1 [9].

En caso de datos faltantes, se utilizó un enfoque de delección pareada (*pairwise deletion*), dejando el dato respectivo como faltante. Para el análisis se incluyeron aquellas observaciones con datos completos en las variables de interés, lo que puede variar el tamaño muestral (n) para cada variable. De esta forma, no se elimina la variable completa ni se descarta todo el caso, sino solo la observación faltante para el análisis correspondiente.

La actividad de ADAMTS13 fue medida utilizando el método de transferencia de energía por resonancia de fluorescencia (FRETs), con el uso del sustrato de apagado de fluorescencia para ADAMTS-13 (FRETs-VW73, Peptide Institute, JP), calibrado contra el primer Estándar Internacional de Plasma ADAMTS-13 de la OMS, Plasma NIBSC 12/25. La búsqueda de inhibidor se realizó mediante test de mezcla con *pool* de plasma, considerándose como positivo todo resultado igual o superior a 0,7 unidades Bethesda por mililitro.

Análisis estadístico

Para la descripción de las características basales de la población de estudio y su análisis, se utilizaron diferentes métodos estadísticos en función del tipo y la distribución de los datos. Las variables continuas se presentaron como media más/menos desviación estándar (SD) para aquellas con distribución normal, o como mediana acompañada del rango intercuartil (IQR) en caso de no seguir esta distribución. Por otro lado, las variables categóricas se describieron mediante frecuencias absolutas y relativas (porcentajes). La normalidad de las variables numéricas se evaluó usando la prueba de Shapiro-Wilk. La comparación entre variables continuas con distribución normal se realizó mediante la prueba de T de Student, mientras que para aquellas sin distribución normal se utilizó la prueba de Kruskal-Wallis. Para examinar la relación entre variables categóricas, se empleó la prueba de Chi-cuadrado de Pearson o la prueba exacta de Fisher, según correspondiera a la característica de las variables. Las diferencias entre variables numéricas se analizaron mediante la prueba T de Student o la prueba de Mann-Whitney, según correspondiera a su distribución (normal y no normal, respectivamente).

Para buscar una posible asociación entre el puntaje PLASMIC y variables clínicas, incluyendo edad, comorbilidades individuales y el índice de comorbilidades de Charlson, se utilizó el Rho de Spearman (ρ , coeficiente de correlación no paramétrico que mide la fuerza y dirección de la asociación), y análisis de regresión logística.

Para todos los análisis, se estableció un valor de $p < 0,05$ como umbral para la significancia estadística. Todos los análisis

estadísticos se realizaron utilizando el software STATA, versión 17,0. Esta serie de casos ha sido reportada siguiendo la directriz del informe preferente de series de casos en cirugía (*Preferred reporting of case series in surgery*, PROCESS) [26].

El estudio fue aprobado por el comité de ética local id 220524001, con fecha 30 de marzo de 2023. Dada la naturaleza retrospectiva de la investigación y el uso de datos clínicos existentes, se obtuvo una dispensa del consentimiento informado para la revisión de las fichas clínicas.

RESULTADOS

Durante el período descrito se atendieron 23 pacientes adultos con déficit severo de ADAMTS13 en nuestra institución. Todos ellos con presencia de anticuerpos inhibitorios contra ADAMTS13. De estos, un paciente presentaba registros clínicos incompletos, por lo que en el análisis solo se incluyeron aquellos datos disponibles para este paciente (como se describió previamente, aquellos datos faltantes fueron eliminados del análisis). Siete pacientes fueron referidos a nuestro hospital desde otros centros, donde realizaron la consulta inicial. Adicionalmente, un paciente fue trasladado a otro centro luego de la consulta inicial en nuestro hospital, por lo que no se tuvo acceso a información sobre su evolución clínica después del traslado. En la Tabla 2 se muestra un resumen de los 23 casos, junto con sus variables demográficas y clínicas más relevantes al momento de la sospecha del diagnóstico de púrpura trombótica trombocitopénica.

Datos demográficos, antecedentes y presentación

Se presentan los datos clínicos y de laboratorio del momento de la presentación clínica en la Tabla 3. Cabe destacar que, de los 23 pacientes incluidos en la serie, el 91% (21) ingresó a una unidad monitorizada, incluyendo 30,4% (7) a cuidados intensivos.

Puntaje PLASMIC y asociación con variables clínicas

La mediana del puntaje PLASMIC fue de 5 (rango intercuartil 4 a 5,5), un 70% tuvo un puntaje igual o superior a 5 al momento de la sospecha, y un 26,1% un PLASMIC igual o superior a 6. Como se describió previamente, se evaluó la correlación entre el puntaje PLASMIC y distintas variables clínicas, entre ellas la edad y la carga de comorbilidades, ya fuera con las enfermedades en particular o la carga de enfermedades como tal. Para ello se utilizó el Índice de Charlson, escogiéndose como valores de corte para el puntaje PLASMIC tanto igual o superior a 5 como igual o superior a 6. Pese a que no se encontró asociación entre comorbilidades aisladas y un menor puntaje PLASMIC, sí se observó una tendencia hacia un menor PLASMIC a mayor carga de comorbilidades. Esto se refrendó con un *Odds ratio* 0,74 para PLASMIC inferior a 5, sin lograr la significancia estadística mediante regresión logística ($p = 0,059$, intervalo de confianza 95%: 0,54 a 1,01).

Tabla 1. Desenlaces clínicos en PTT propuestos.

Respuesta clínica	Recuento plaquetario $\geq 150\ 000$ y LDH $< 1,5$ veces el LSN, sostenidos (por ejemplo, al menos 2 días consecutivos) y sin evidencia de daño orgánico isquémico nuevo o progresivo.
Remisión (cualquiera que ocurra primero)	
Clínica	Respuesta clínica sostenida luego de la suspensión del PEX, por al menos 30 días. Suele asociarse al menos a una estabilización del daño orgánico producido por la enfermedad.
De laboratorio	Demostración de ADAMTS13 $\geq 20\%$. Puede ser considerada remisión parcial ($\geq 20\%$ pero menor al LSN) o total ($>$ LSN).
Exacerbación	Disminución de plaquetas bajo 150 000 (habiéndose excluido otras causas de trombocitopenia), antes de 30 días desde que se logró la respuesta clínica por ejemplo antes de lograr criterios de remisión), con o sin evidencias de nuevo daño orgánico.
Recurrencia o recaída	
Clínica	Existe una caída de plaquetas bajo 150 000, independiente de si presenta o no daño orgánico, luego de haber logrado remisión, ya sea clínica o de laboratorio.
De laboratorio	Caída de la actividad de ADAMTS13 bajo el 20%, luego de haber logrado remisión, ya sea clínica o de laboratorio.
Enfermedad refractaria	Trombocitopenia $< 50\ 000$ persistente o falta de aumento sostenido del recuento plaquetario, con LDH $> 1,5$ veces el LSN, a pesar de 5 PEX y tratamiento corticoidal. Además, se la define como severa si las plaquetas son $< 30\ 000$.

LSN: límite superior normal. PEX: recambio plasmático. PTT: púrpura trombótica trombocitopénica. LDH: láctico deshidrogenasa.

Desenlaces actualmente aceptados en la literatura.

Fuente: adaptado de Scully *et al* [10].

Terapias utilizadas y desenlaces

En nuestra cohorte, la estrategia terapéutica predominante fue la combinación de glucocorticoides y recambio plasmático, en el 61% de los pacientes (14). Todos ellos fueron tratados con dosis equivalentes a altas o muy altas de prednisona, y 11 de ellos (48%) recibieron dosis en pulso (dosis equivalentes iguales o mayores a 125 miligramos de metilprednisolona al día) al inicio del tratamiento. Las terapias, estrategias de tratamiento utilizados y desenlaces se resumen y esquematizan en la Tabla 4 y Figura 1.

Se encontró una asociación significativa entre un lactático deshidrogenasa mayor a tres veces el límite superior normal y mortalidad, y una menor mortalidad en los pacientes que debutaron con manifestaciones hemorragíparas ($p < 0,05$).

Del total de pacientes que recibieron recambio plasmático (14), todos presentaron algún efecto adverso: 6 de ellos leves y 8 graves (43 y 57%, respectivamente). Entre los leves se cuentan dos casos de parestesias, uno de hipocalcemia y tres de reacciones febriles aisladas. Por otro lado, los efectos adversos graves incluyeron cuatro pacientes con hipotensión severa y necesidad de drogas vasoactivas, dos con sobrecarga de volumen, uno con lesión pulmonar aguda y uno con hemorragia subaracnoidea. Siete de estos pacientes (87%) fallecieron durante su estadía hospitalaria, mientras que ninguno de los que experimentaron efectos adversos leves falleció, mostrando una asociación estadísticamente significativa entre el presentar efectos adversos graves durante recambio plasmático y mortalidad ($p = 0,001$). Diecisiete pacientes (74%) presentaron infecciones intrahospitalarias, lo que se asoció de forma estadísticamente significativa con el uso de recambio plasmático ($p = 0,021$), mas no al uso de glucocorticoides en pulsos o rituximab. De ellos, 10 (59%) fallecieron durante su estadía versus 3 (50%) del grupo que no presentó infecciones. Con lo anterior, la mortalidad intrahospitalaria fue de 56,5%, atribuible directa o indirectamente al púrpura trombótica

trombocitopénica en el 92% de los fallecidos. Además, solo siete pacientes lograron respuesta clínica durante el tratamiento, y de ellos tres presentaron exacerbaciones.

De los 10 pacientes que sobrevivieron a la estadía hospitalaria, se cuenta con un seguimiento promedio de 719 días (mediana 515, rango intercuartil 235 a 841). Uno de los pacientes fue dado de alta a otro hospital previo al diagnóstico de púrpura trombótica trombocitopénica, y falleció antes de los 30 días desde el alta. Este grupo presentó dos casos de recurrencia clínica, uno a los 47 días de alcanzada la respuesta y otro a los 1311 días.

Un caso ilustrativo de la evolución clínica de los pacientes con púrpura trombótica trombocitopénica en nuestra serie de casos, es el de una paciente con antecedente de lupus eritematoso sistémico y síndrome antifosfolípidos que presentó cuadro de 12 horas de evolución de síntomas respiratorios y compromiso de conciencia progresivo. Ingresó a urgencias en otro hospital con insuficiencia respiratoria severa, hipotensa y mal perfundida. Se intubó, estabilizó y trasladó a nuestro hospital por necesidad de cama crítica. Al examen neurológico del ingreso destacó con hemiplejía derecha y afasia. El hemograma con frotis mostró anemia (Hb 5,2), trombocitopenia (PLT 39 000) y esquistocitos ++. El puntaje de PLASMIC al momento de la sospecha fue de 5 puntos. La serología antifosfolípidos resultó triple positiva con títulos altos de anticuerpos inmunoglobulina G contra cardiolipinas y contra B2-glicoproteína I. La actividad de ADAMTS13 era inferior a 10% y se detectó la presencia de un inhibidor. La tomografía computarizada de cerebro mostró signos compatibles con un accidente vascular cerebral agudo en arteria cerebral media izquierda, y en la angiografía computarizada de tórax se demostraron signos de tromboembolismo pulmonar agudo bilateral. Casos como este reflejan las dificultades diagnósticas que es posible enfrentar en cuadros de microangiopatías trombóticas. En particular, este caso cumplía tanto con los criterios diagnósticos para

Tabla 2. Resumen de casos clínicos incluidos en la serie.

Paciente	Edad (años)	Género	Índice de comorbilidad de Charlson	Presentación clínica	Hemoglobina (g/dL)	Plaquetas (N ^o /mm ³)	Creatinina sérica (mg/dL)	LDH (U/L)	Hemólisis ¹	PLASMIC ²	Actividad ADAMTS1 3 (%)	Tratamiento
Caso 1	33	F	0	Respiratoria/gastrointestinal	7,2	7000	0,99	1279	Sí	6	9	GC + PEX + RTX
Caso 2	40	F	3	Gastrointestinal/neurológica	5,4	21 000	1,3	763	Sí	4	6	GC
Caso 3	40	F	0	Hemorrágica/cutánea	8,6	10 000	0,63	617	Sí	7	10	GC + PEX + RTX
Caso 4	72	F	4	Neurológica	9	9000	0,72	382	Sí	6	7	GC + PEX + RTX
Caso 5	71	F	5	Gastrointestinal/neurológica	8,1	47 000	2,23	1479	Sí	5	6	GC + PEX + RTX
Caso 6	89	M	10	Neurológica	5,1	113 000	1,71	324	No	4	6	GC
Caso 7	70	M	5	Gastrointestinal/cutánea	4,5	82 000	0,92	384	Sí	4	9	GC
Caso 8	68	M	6	Neurológica/fatiga	8,2	18 000	6,21	1413	No	3	6	GC + PEX
Caso 9	79	F	6	Hemodinámica/respiratoria/neurológica	5,2	39 000	1,72	4908	Sí	5	7	GC + PEX
Caso 10	77	F	9	Respiratoria/neurológica	6,3	27 000	4,5	293	Sí	5	5	GC + PEX + RTX
Caso 11	78	F	9	Fiebre/neurológica	8,2	10 000	1,38	250	Sí	4	8	GC
Caso 12	27	M	0	Gastrointestinal/cutánea	8,9	6000	0,91	1112	Sí	5	10	GC
Caso 13	35	F	4	Gastrointestinal/cutánea	11,2	140 000	0,85	537	Sí	6	6	GC + PEX + RTX
Caso 14	85	F	5	Gastrointestinal/neurológica	8,7	17 000	1,3	164	Sí	5	6	GC + PEX
Caso 15	61	M	2	Fiebre/baja de peso	7,9	36 000	0,77	787	Sí	6	6	GC
Caso 16	62	F	6	Respiratoria/hemorrágica/neurológica	10,2	18 000	2,87	240	No	5	9	GC
Caso 17	32	F	3	Gastrointestinal	6	6000	2,31	413	Sí	6	9	GC + PEX + RTX
Caso 18	38	M	0	Hemodinámica/respiratoria	9,4	32 000	2,32	908	Sí	5	6	GC + PEX + RTX
Caso 19	88	F	10	Respiratoria/gastrointestinal/neurológica	6,2	18 000	1,34	1145	No	5	7	PEX + RTX
Caso 20	74	F	10	neurológica	7,9	93 000	2,24	223	No	3	10	Ninguno

(Continued)

(Continued)

Paciente	Edad (años)	Género	Índice de comorbilidad de Charlson	Presentación clínica	Hemoglobina (g/dL)	Plaquetas (N ^o /mm ³)	Creatinina sérica (mg/dL)	LDH (U/L)	Hemólisis ¹	PLASMIC ²	Actividad ADAMTS1 3 (%)	Tratamiento
Caso 21	41	F	0	Hemorrágica/hemodinámica	6,9	7000	4,43	575	Sí	5	7	GC + PEX
Caso 22	26	F	3	Hemorrágica	6,7	184 000	4,79	645	Sí	3	4	GC + PEX
Caso 23	52	M	1	Respiratoria	5,8	605	4,26	3716	Sí	5	10	Ninguno

F: femenino. GC: glucocorticoides. LDH: lactático deshidrogenasa. M: masculino. PEX: recambio plasmático. PTT: púrpura trombótica trombocitopénica. RTX: rituximab.

¹ Hemólisis definida como la presencia de: reticulocitos superior a 2,5%, haptoglobina indetectable o bilirrubina indirecta superior a 2, acorde a la definición entregada por Bendapudi *et al.* en la creación del puntaje PLASMIC [20].

² Puntaje PLASMIC: 0 a 4 riesgo bajo; 5 riesgo intermedio; 6 a 7 riesgo alto [20].

Resumen incluye datos demográficos y clínicos más relevantes de los pacientes, presentes al momento de la sospecha de PTT. Fuente: preparado por los autores a partir de los resultados del estudio.

Tabla 3. Antecedentes demográficos, clínicos, síntomas y de laboratorio.

Total de pacientes	23
Mujeres (%)	16 (70%)
Edad (mediana en años e IQR)	62 (38 a 77)
Presencia de comorbilidades (%)	19 (83%)
Índice de comorbilidades de Charlson (puntos e IQR)	4 (1,5 a 6,0)
Antecedentes encontrados (n y %)	
Neoplasias hematológicas	4 (17%)
Trasplante de precursores hematopoyéticos	0
Enfermedad renal crónica	6 (26%)
Hemodiálisis	2 (8,7%)
Anemia	5 (22%)
Cirrosis	3 (13%)
Enfermedades reumatológicas	4 (17%)
Lupus eritematoso sistémico	2 (8,7%)
Síndrome antifosfolípidos	1 (4,3%)
Condiciones neurológicas	6 (26%)
ACV/TIA	5 (22%)
Epilepsia	1 (4,3%)
Secuelas de poliomielitis	1 (4,3%)
Hipertensión arterial	10 (44%)
Diabetes mellitus	7 (30%)
Enfermedades pulmonares	4 (17%)
Insuficiencia cardíaca	3 (13%)
Infecciones activas ¹	6 (26%)
Síntomas presentados (n y %)	
Constitucionales	19 (86%)
Gastrointestinales	12 (52%)
Hemorragíparos	10 (44%)
Neurológicos	8 (35%)
Escala de coma de Glasgow < 9	4 (17%)
Convulsiones	2 (8,7%)
VARIABLES DE LABORATORIO (mediana y IQR)	
Plaquetas	18 000/mcL (9 500 a 43 000)
LDH	617 U/L (353 a 1129)
Hemoglobina	7,9 g/dL (6,1 a 8,7)
Creatinina	1,71 mg/dL (0,96 a 2,6)

ACV: accidente vascular cerebral. TIA: accidente isquémico transitorio. IQR: rango intercuartil. LDH: láctico deshidrogenasa.

¹ Infecciones activas incluyeron sepsis periodontal, sepsis intra abdominal, neumonía por SARS-CoV-2 y nefropatía asociada a virus BK. Antecedentes identificados al momento de la presentación de la enfermedad.

Fuente: preparado por los autores a partir de los resultados del estudio.

púrpura trombótica trombocitopénica como para síndrome antifosfolípido catastrófico y más aún, es imposible descartar cierto nivel de sobreposición de ambas entidades. Fisiopatológicamente ambas son enfermedades autoinmunes mediadas principalmente por anticuerpos. A pesar de que la paciente inició anticoagulación, recibió corticoides en pulso y plasmaféresis el mismo día del ingreso a nuestro centro, evolucionó con sobrecarga de volumen y edema pulmonar agudo, obligando a suspender la terapia. En las horas subsiguientes desarrolló falla orgánica múltiple progresiva y falleció 48 horas después del ingreso.

DISCUSIÓN

Este trabajo aporta una perspectiva local actualizada sobre la presentación y manejo de pacientes con púrpura trombótica trombocitopénica en Chile, edificando sobre los cimientos establecidos por Eymín *et al* en 2008 [23]. Nuestra serie de pacientes presentó características clínicas y demográficas distintivas en comparación con las series internacionales previamente publicadas. Los pacientes fueron de mayor edad (mediana de 62 años) y tuvieron una alta prevalencia de comorbilidades significativas, incluyendo neoplasias hematológicas (17,4%) y enfermedad renal crónica (26%). Clínicamente, predominó la presentación con síntomas constitucionales (86,4%), gastrointestinales (52,2%) y neurológicos (34,8%), con una menor frecuencia de síntomas neurológicos severos respecto a otras cohortes. El puntaje PLASMIC mostró una sensibilidad reducida en nuestra población, lo que podría estar relacionado con la mayor carga de comorbilidades. En términos terapéuticos, el 61% de los pacientes recibió recambio plasmático combinado con glucocorticoides, pero la tasa de mortalidad intrahospitalaria fue alta (56,5%). Esta se asoció tanto a infecciones nosocomiales como a eventos adversos graves, relacionados con recambio plasmático. A continuación se analizan en profundidad algunos de estos hallazgos.

Nuestra cohorte se caracteriza por una edad promedio muy superior a los 50 años, contrastando con la edad menor observada en registros internacionales. Esta mayor edad se acompaña de una prevalencia elevada de comorbilidades, particularmente neoplasias hematológicas y enfermedad renal crónica. Con respecto a las manifestaciones clínicas, observamos una incidencia significativamente mayor de síntomas gastrointestinales (superior a 50%) y una menor presencia de síntomas neurológicos (35%) que series nacionales (83%, de Eymín *et al*) e internacionales (superior a 50%) [12–15,23,27,28].

Continuando con el diagnóstico, en primer lugar quisiéramos hacer notar diferencias respecto a la serie previa publicada por el equipo de Eymín. En ella, no todos los pacientes tenían una actividad de ADAMTS13 inferior a 10%, lo que refleja un cambio en los criterios y estrategias de diagnóstico en los últimos años. Aun así, es posible que pacientes con ADAMTS13 igual o superior a 10% representen variantes atípicas de púrpura trombótica trombocitopénica, según lo descrito por George *et al* [17]. En la actualidad la púrpura trombótica trombocitopénica continúa siendo un desafío diagnóstico, con un promedio de 32 días desde la admisión hasta la sospecha clínica en nuestra serie, pero sin encontrar un retraso significativo entre la sospecha y la solicitud del examen de actividad de ADAMTS13 (mediana de 1 día). Al emplear el puntaje PLASMIC, encontramos una menor capacidad para detectar púrpura trombótica trombocitopénica que la reportada en la literatura. Utilizando un puntaje de corte igual o superior a 5 se pesquió un 70% de pacientes, en contraposición al 97 y 99% reportados por Bendapudi *et al* y Paydary *et al.*, respectivamente [20,24]. Estas diferencias pueden deberse a la alta prevalencia de enfermedad

Tabla 4. Resumen de tratamientos y desenlaces clínicos de la serie.

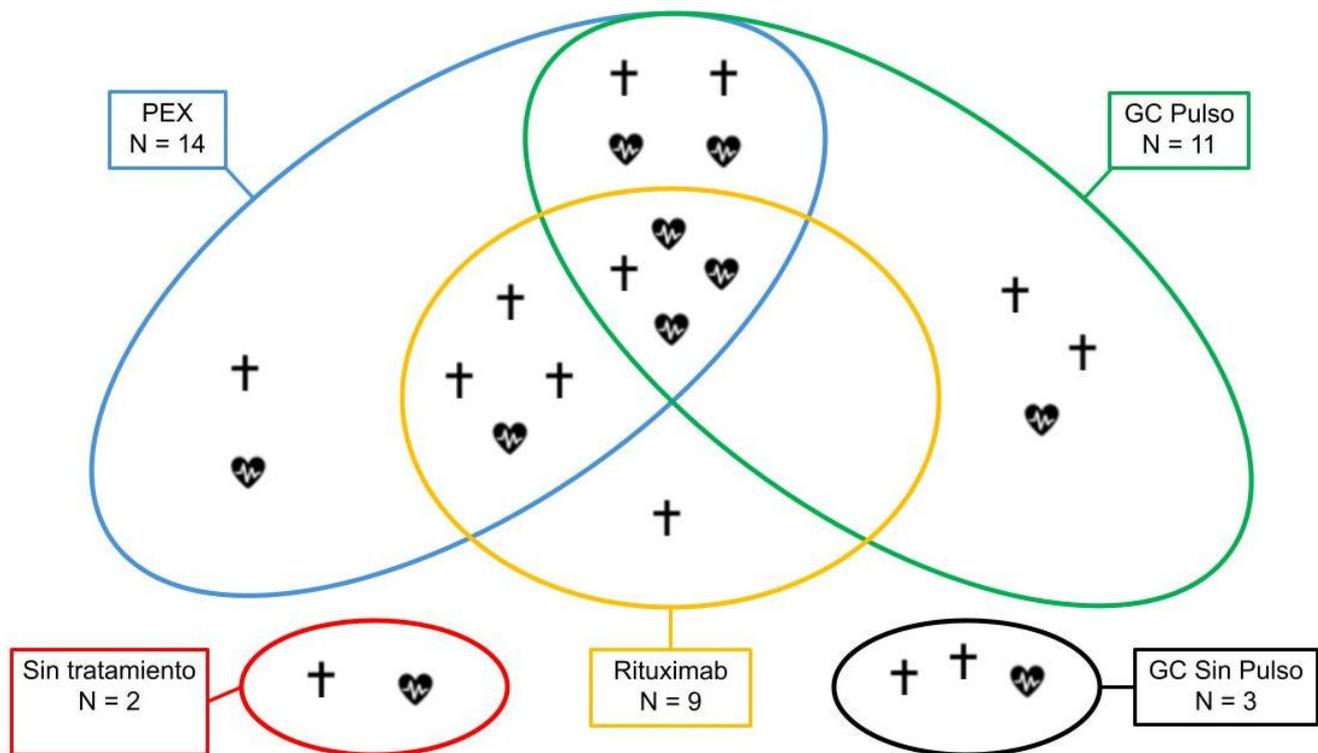
Estadía hospitalaria en días (mediana y IQR)	22 (15 a 37,5)
Tiempo desde presentación clínica de PTT y su sospecha (días y IQR)	5 (1 a 12 días)
Mortalidad intrahospitalaria (n y %)	13 (56,5%)
Recidiva posterior al alta hospitalaria (n y %)	2 (20%)
Tratamientos utilizados	
Glucocorticoides (n y %)	21 (91%)
Glucocorticoides + plasmaféresis (n y %)	14 (61%)
Rituximab (n y %)	9 (39%)
Otros inmunosupresores o inmunomoduladores ¹	7 (30%)
Sin tratamiento (n y %)	2 (9%)
Eventos adversos durante hospitalización (n y %)	
Infecciones intrahospitalarias (n y %)	17 (74%)
Eventos adversos durante plasmaféresis (n y %)	14 (100%)
Leves (n y %)	6 (43%)
Graves (n y %)	8 (57%)

IQR: rango intercuartil. n: número. PTT: púrpura trombótica trombocitopénica.

¹ Otros inmunosupresores e inmunomoduladores incluyen: 1 paciente que utilizó rituximab, ciclofosfamida y vincristina; 1 paciente rituximab y vincristina; 1 paciente rituximab y mesalazina; 1 paciente ciclofosfamida; 1 paciente ciclosporina; 1 paciente hidroxycarbamida; 1 paciente mesalazina, 1 paciente tacrolimus.

Fuente: preparado por los autores a partir de los resultados del estudio.

Figura 1. Tratamientos utilizados y sobrevida hospitalaria en la cohorte descrita.



†: fallecido durante estadía hospitalaria. ♥: egreso hospitalario vivo. GC: glucocorticoides; PEX: recambio plasmático.

Fuente: preparado por los autores a partir de los resultados del estudio.

renal crónica y a la mayor edad en nuestra serie (mediana de 62 años) comparada con la de Bendapudi (47 años). Este fenómeno se ilustra con la potencial asociación observada entre un mayor índice de Charlson y puntajes más bajos en el PLASMIC. Sin embargo, no logramos establecer una correlación estadísticamente significativa entre estas variables. Este aspecto

podría atribuirse a una limitación en el poder estadístico de nuestro estudio por su número reducido de pacientes. Ante la ausencia de otro puntaje predictivo, consideramos que el de PLASMIC sigue siendo una herramienta útil en la población chilena. No obstante, se requieren más estudios para validarlo en el contexto local.

En términos terapéuticos, la utilización del recambio plasmático en nuestra cohorte fue del 61%, considerablemente menor que lo reportado a nivel mundial (superior a 90%). El uso de corticoides fue concordante con el 91% reportado internacionalmente, mientras que rituximab se administró en 40% de los casos. Ningún paciente fue tratado con caplacizumab, aún no aprobado en Chile [12,15,29]. El análisis caso por caso reveló que la omisión del recambio plasmático se debió a la gravedad de los pacientes y a decisiones de proporcionalidad terapéutica. Sin embargo, se identificaron situaciones donde no se usó recambio plasmático, a pesar de adoptar medidas terapéuticas intensivas. Ello sugiere una carencia de estandarización en el tratamiento de la púrpura trombótica trombocitopénica y una divergencia de las recomendaciones otorgadas por guías clínicas [29].

En consecuencia, resulta esencial abordar la alta tasa de letalidad hospitalaria de nuestra serie, que asciende a más del 50%, notablemente superior al rango de 10 a 20% documentado en la literatura [8,30]. Esta alta tasa podría estar parcialmente influenciada por la mayor edad y prevalencia de comorbilidades, pero también por otros factores críticos como la baja utilización del recambio plasmático y rituximab; una respuesta terapéutica limitada (con solo 7 pacientes logrando un recuento plaquetario superior a 150 000), y una incidencia elevada de infecciones nosocomiales. Estas últimas y su mortalidad asociada están posiblemente vinculadas al uso de recambio plasmático debido al requerimiento de acceso venoso central, como se describió previamente. La falta de asociación a mortalidad de las distintas terapias probablemente se explique también por la ausencia de poder estadístico de nuestro estudio. Con lo anterior, estos resultados podrían no ser representativos de otras cohortes o poblaciones. Otros factores clínicos asociados a mayor mortalidad en nuestra cohorte fueron los niveles de láctico deshidrogenasa al ingreso, sobre tres veces el límite superior normal, y la ausencia de síntomas hemorragíparos al momento de la sospecha. Esto último probablemente se explica por generar retraso en el diagnóstico. El caso clínico descrito en la sección de resultados ejemplifica lo difícil que es el enfrentamiento, diagnóstico y tratamiento de este grupo de pacientes, pues no necesariamente cada paciente en particular se ajusta a las descripciones de la enfermedad encontradas en la literatura.

Nuestro estudio presenta fortalezas significativas, incluyendo la amplia cantidad de datos disponibles para la evaluación de cada caso, la caracterización detallada del diagnóstico y tratamiento de estos pacientes en el contexto local, subrayando los retos diagnósticos y terapéuticos que implica esta enfermedad en nuestro país. Sin embargo, enfrentamos limitaciones notables: el tamaño reducido de la cohorte, la naturaleza retrospectiva de la investigación, y los desafíos asociados con la búsqueda en registros no digitalizados. Además, la pérdida de datos y la complejidad en la interpretación de la información disponible, han sido obstáculos considerables. Esto fue particularmente evidente en la interpretación de casos con

niveles bajos de ADAMTS13, pero sin diagnóstico formal de púrpura trombótica trombocitopénica durante la hospitalización. Todos estos factores finalmente determinan que la serie de pacientes presentada, junto con sus características y resultados clínicos, no sean representativas ni aplicables a otras poblaciones.

A pesar de lo anterior, nuestro estudio permite esbozar un corolario interesante: el puntaje PLASMIC podría no ser aplicable a pacientes o poblaciones con alta carga de comorbilidades, disminuyendo su rendimiento. Ello puede dificultar el diagnóstico e inicio de terapias precoces en pacientes que debutan con púrpura trombótica trombocitopénica. Creemos que seguir el ejemplo de las series internacionales citadas e implementar bases de datos prospectivas locales, sería beneficioso para el estudio de esta enfermedad. Esto, con el fin de proponer explicaciones y soluciones a los conflictos diagnósticos y terapéuticos planteados en nuestro trabajo. Específicamente la validación del puntaje PLASMIC en nuestra población, esclarecer su asociación con comorbilidades y estandarizar las medidas terapéuticas utilizadas para su tratamiento.

CONCLUSIONES

La púrpura trombótica trombocitopénica continúa siendo un desafío diagnóstico y terapéutico, con una elevada tasa de mortalidad.

Aunque nuestra serie aporta datos valiosos para una mejor caracterización de la púrpura trombótica trombocitopénica en Chile, resulta imperativo realizar estudios prospectivos. Idealmente, estos deben ser a escala nacional para que permitan validar las herramientas de apoyo diagnóstico como el puntaje PLASMIC y estandarizar las intervenciones terapéuticas. Tal esfuerzo nos ayudará a optimizar el diagnóstico y tratamiento de la púrpura trombótica trombocitopénica, con el objetivo primordial de reducir su mortalidad.

Autoría Todos los miembros nombrados como autores de esta investigación cumplen las recomendaciones de autoría del ICMJE para autores. DC: conceptualización, administración del proyecto, curación de datos, investigación, redacción del borrador original, redacción - revisión y edición. JPM: recopilación de datos, investigación. BR: recopilación de datos, investigación. GE: supervisión, redacción-revisión y edición. BS: conceptualización, redacción del borrador original, redacción-revisión y edición. JC: metodología y análisis formal, redacción del borrador original, redacción-revisión y edición. AV: conceptualización, supervisión, búsqueda de financiación, redacción de borradores originales, redacción-revisión y edición.

Conflictos de intereses Los autores no reportan tener conflictos de intereses con la materia de este trabajo.

Financiamiento Este estudio fue financiado por el Fondo Departamental de Medicina Interna de la Escuela de Medicina de la Pontificia Universidad Católica de Chile.

Idioma del envío Español.

Origen y revisión por pares No solicitado. Con revisión por pares externa, por tres pares revisores, a doble ciego.

REFERENCIAS

1. Graça NAG, Joly BS, Voorberg J, Vanhoorelbeke K, Béranger N, Veyradier A, et al. TTP: From empiricism for an enigmatic disease to targeted molecular therapies. *Br J Haematol*. 2022;197: 156–170. <http://dx.doi.org/10.1111/bjh.18040> <https://doi.org/10.1111/bjh.18040>
2. Joly BS, Coppo P, Veyradier A. Thrombotic thrombocytopenic purpura. *Blood*. 2017;129: 2836–2846. <https://doi.org/10.1182/blood-2016-10-709857>
3. Moschcowitz E. AN ACUTE FEBRILE PLEIOCHROMIC ANEMIA WITH HYALINE THROMBOSIS OF THE TERMINAL ARTERIOLES AND CAPILLARIES. *Arch Intern Med (Chic)*. 1925;36: 89. <https://jamanetwork.com/journals/jamainternalmedicine/article-abstract/534853> <https://doi.org/10.1001/archinte.1925.00120130092009>
4. Bukowski RM, King JW, Hewlett JS. Plasmapheresis in the treatment of thrombotic thrombocytopenic purpura. *Blood*. 1977;50: 413–7. <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/560229/>
5. Rock GA, Shumak KH, Buskard NA, Blanchette VS, Kelton JG, Nair RC, et al. Comparison of plasma exchange with plasma infusion in the treatment of thrombotic thrombocytopenic purpura. Canadian Apheresis Study Group. *N Engl J Med*. 1991;325: 393–7. <https://doi.org/10.1056/NEJM199108083250604>
6. Byrnes JJ, Khurana M. Treatment of thrombotic thrombocytopenic purpura with plasma. *N Engl J Med*. 2010; Available from: 14–15. <https://doi.org/10.1056/NEJM197712222972507>
7. Michael M, Elliott EJ, Craig JC, Ridley G, Hodson EM. Interventions for hemolytic uremic syndrome and thrombotic thrombocytopenic purpura: a systematic review of randomized controlled trials. *Am J Kidney Dis*. 2009;53: 259–72. <http://dx.doi.org/10.1053/j.ajkd.2008.07.038> <https://doi.org/10.1053/j.ajkd.2008.07.038>
8. Zheng XL. The standard of care for immune thrombotic thrombocytopenic purpura today. *J Thromb Haemost*. 2021;19: 1864–1871. <http://dx.doi.org/10.1111/jth.15406> <https://doi.org/10.1111/jth.15406>
9. Sukumar S, Lämmle B, Cataland SR. Thrombotic Thrombocytopenic Purpura: Pathophysiology, Diagnosis, and Management. *J Clin Med*. 2021;10. <http://dx.doi.org/10.3390/jcm10030536> <https://doi.org/10.3390/jcm10030536>
10. Scully M, Cataland S, Coppo P, de la Rubia J, Friedman KD, Kremer Hovinga J, et al. Consensus on the standardization of terminology in thrombotic thrombocytopenic purpura and related thrombotic microangiopathies. *J Thromb Haemost*. 2017;15: 312–322. <http://dx.doi.org/10.1111/jth.13571> <https://doi.org/10.1111/jth.13571>
11. Amorosi EL, Ultmann JE. Thrombotic thrombocytopenic purpura: report of 16 cases and review of the literature. *Medicine (Baltimore)*. 1966; Available from: 139–59. https://journals.lww.com/md-journal/Citation/1966/03000/THROMBOTIC_THROMBOCYTOPENIC_PURPURA_REPORT_OF_16_CASES_AND_REVIEW_OF_THE_LITERATURE <https://doi.org/10.1097/00005792-196603000-00003>
12. Page EE, Kremer Hovinga JA, Terrell DR, Vesely SK, George JN. Thrombotic thrombocytopenic purpura: diagnostic criteria, clinical features, and long-term outcomes from 1995 through 2015. *Blood Adv*. 2017;1: 590–600. <https://doi.org/10.1182/bloodadvances.2017005124>
13. Mariotte E, Azoulay E, Galicier L, Rondeau E, Zouiti F, Boisseau P, et al. Epidemiology and pathophysiology of adulthood-onset thrombotic microangiopathy with severe ADAMTS13 deficiency (thrombotic thrombocytopenic purpura): a cross-sectional analysis of the French national registry for thrombotic microangiopathy. *Lancet Haematol*. 2016;3: e237–45. [http://dx.doi.org/10.1016/S2352-3026\(16\)30018-7](http://dx.doi.org/10.1016/S2352-3026(16)30018-7) [https://doi.org/10.1016/S2352-3026\(16\)30018-7](https://doi.org/10.1016/S2352-3026(16)30018-7)
14. Scully M, Yarranton H, Liesner R, Cavenagh J, Hunt B, Benjamin S, et al. Regional UK TTP registry: correlation with laboratory ADAMTS 13 analysis and clinical features. *Br J Haematol*. 2008;142: 819–26. <http://dx.doi.org/10.1111/j.1365-2141.2008.07276.x> <https://doi.org/10.1111/j.1365-2141.2008.07276.x>
15. Blombery P, Kivivali L, Pepperell D, McQuilten Z, Engelbrecht S, Polizzotto MN, et al. Diagnosis and management of thrombotic thrombocytopenic purpura (TTP) in Australia: findings from the first 5 years of the Australian TTP/thrombotic microangiopathy registry. *Intern Med J*. 2016;46: 71–9. <http://dx.doi.org/10.1111/imj.12935> <https://doi.org/10.1111/imj.12935>
16. Fujimura Y, Matsumoto M. Registry of 919 patients with thrombotic microangiopathies across Japan: database of Nara Medical University during 1998–2008. *Intern Med*. 2010;49: 7–15. <http://dx.doi.org/10.2169/internalmedicine.49.2706> <https://doi.org/10.2169/internalmedicine.49.2706>
17. George JN. The remarkable diversity of thrombotic thrombocytopenic purpura: a perspective. *Blood Adv*. 2018;2: 1510–1516. <http://dx.doi.org/10.1182/bloodadvances.2018018432> <https://doi.org/10.1182/bloodadvances.2018018432>
18. Zheng XL, Vesely SK, Cataland SR, Coppo P, Geldziler B, Iorio A, et al. ISTH guidelines for the diagnosis of thrombotic thrombocytopenic purpura. *J Thromb Haemost*. 2020;18: 2486–2495. <http://dx.doi.org/10.1111/jth.15006> <https://doi.org/10.1111/jth.15006>
19. Jamme M, Rondeau E. The PLASMIC score for thrombotic thrombocytopenic purpura. *Lancet Haematol*. 2017;4: e148–e149. [http://dx.doi.org/10.1016/S2352-3026\(17\)30024-8](http://dx.doi.org/10.1016/S2352-3026(17)30024-8) [https://doi.org/10.1016/S2352-3026\(17\)30024-8](https://doi.org/10.1016/S2352-3026(17)30024-8)
20. Bendapudi PK, Hurwitz S, Fry A, Marques MB, Waldo SW, Li A, et al. Derivation and external validation of the PLASMIC score for rapid assessment of adults with thrombotic microangiopathies: a cohort study. *Lancet Haematol*. 2017;4: e157–e164. [http://dx.doi.org/10.1016/S2352-3026\(17\)30023-6](http://dx.doi.org/10.1016/S2352-3026(17)30023-6) [https://doi.org/10.1016/S2352-3026\(17\)30023-6](https://doi.org/10.1016/S2352-3026(17)30023-6)

21. Vesely SK, George JN, Lämmle B, Studt J-D, Alberio L, El-Harake MA, et al. ADAMTS13 activity in thrombotic thrombocytopenic purpura-hemolytic uremic syndrome: relation to presenting features and clinical outcomes in a prospective cohort of 142 patients. *Blood*. 2003;102: 60–8. <http://dx.doi.org/10.1182/blood-2003-01-0193> <https://doi.org/10.1182/blood-2003-01-0193>
22. Yamada Y, Ohbe H, Yasunaga H, Nakamoto H, Miyakawa Y. Clinical characteristics, treatments, and outcomes of thrombotic thrombocytopenic purpura treated with plasma exchange in Japan: a nationwide inpatient database study. *Ren Replace Ther*. 2023;9: 1–7. <https://rrtjournal.biomedcentral.com/articles/10.1186/s41100-023-00481-4> <https://doi.org/10.1186/s41100-023-00481-4>
23. Eymin LG, Andrade AM, Andresen HM, Pereira GJ. Thrombotic thrombocytopenic purpura: experience in 18 cases and literature review. *Rev Méd Chile*. 2008; Available from: 1518–27. <https://doi.org/10.4067/S0034-98872008001200003>
24. Paydary K, Banwell E, Tong J, Chen Y, Cuker A. Diagnostic accuracy of the PLASMIC score in patients with suspected thrombotic thrombocytopenic purpura: A systematic review and meta-analysis. *Transfusion*. 2020;60: 2047–2057. <http://dx.doi.org/10.1111/trf.15954> <https://doi.org/10.1111/trf.15954>
25. Frenkel WJ, Jongerius EJ, Mandjes-van Uitert MJ, van Munster BC, de Rooij SE. Validation of the Charlson Comorbidity Index in Acutely Hospitalized Elderly Adults: A Prospective Cohort Study. *J American Geriatrics Society*. 2014;62: 342–346. <https://agsjournals.onlinelibrary.wiley.com/toc/15325415/62/2> <https://doi.org/10.1111/jgs.12635>
26. Mathew G, Sohrabi C, Franchi T, Nicola M, Kerwan A, Agha R, et al. Preferred reporting of case series in surgery (PROCESS) 2023 guidelines. *Int J Surg*. 2023; Available from: 3760–9. <http://dx.doi.org/10.1097/JS9.0000000000000940> <https://doi.org/10.1097/JS9.0000000000000940>
27. Sun RX, Xu J, Zhu HD, Yu XZ, Yang J. Clinical presentation and management of acquired thrombotic thrombocytopenic purpura: A case series of 55 patients. *Ther Apher Dial*. 2021;25: 118–123. <http://dx.doi.org/10.1111/1744-9987.13502> <https://doi.org/10.1111/1744-9987.13502>
28. Deng M, Zhang G, Zhang Y, Xiao H, Dai C, Xu Y, et al. Analysis of clinical and laboratory characteristics in 42 patients with thrombotic thrombocytopenic purpura from a single center in China. *Transfus Apher Sci*. 2013;49: 447–52. <http://dx.doi.org/10.1016/j.transci.2013.07.026> <https://doi.org/10.1016/j.transci.2013.07.026>
29. Zheng XL, Vesely SK, Cataland SR, Coppo P, Geldziler B, Iorio A, et al. ISTH guidelines for treatment of thrombotic thrombocytopenic purpura. *J Thromb Haemost*. 2020;18: 2496–2502. <http://dx.doi.org/10.1111/jth.15010> <https://doi.org/10.1111/jth.15010>
30. Völker LA, Brinkkoetter PT, Cataland SR, Masias C. Five years of caplacizumab – lessons learned and remaining controversies in immune-mediated thrombotic thrombocytopenic purpura. *J Thromb Haemost*. 2023;21: 2718–2725. <http://dx.doi.org/10.1016/j.jtha.2023.07.027> <https://doi.org/10.1016/j.jtha.2023.07.027>

Thrombotic thrombocytopenic purpura: Description and analysis of 23 cases treated in Chile between 2017 and 2022

ABSTRACT

INTRODUCTION Since the first description of Thrombotic Thrombocytopenic Purpura, caused by a severe deficiency of ADAMTS13, plasma exchange and immunosuppression have become standard treatments, allowing to decrease its high mortality rate. Prospective records of Thrombotic Thrombocytopenic Purpura have provided valuable information on its pathophysiology, clinical presentation, and outcomes. The objective of this study is to update the local Chilean experience in the diagnosis and management of this disease, through a case series of patients treated between 2017 and 2022.

METHODS Case series study that included patients over 18 years old diagnosed with Thrombotic Thrombocytopenic Purpura, treated between June 2017 and August 2022 at Hospital Clínico UC Christus. Information was collected from clinical records, which were used for cohort description and statistical analysis. Accepted definitions from the literature were used to describe the outcomes. The study was approved by the local ethics committee (ID 220524001).

RESULTS Our series had higher age and prevalence of comorbidities compared to those reported in the literature. The most important clinical manifestations included constitutional, gastrointestinal, hemorrhagic, and neurological symptoms, with different presentation frequencies than those described internationally. We found a lower capacity of the PLASMIC Score for the detection of Thrombotic Thrombocytopenic Purpura in our series. The predominant therapeutic strategy was a combination of glucocorticoids and plasma exchange (61% of the patients). There was a high mortality rate (56.5%) and adverse events related to plasma exchange, especially of infections related to its use.

CONCLUSIONS This study highlights the diagnostic and therapeutic challenges of Thrombotic Thrombocytopenic Purpura in the local context and the need to improve our management strategies through standardizing care and better application of clinical guidelines to reduce the high mortality rate in these patients.



This work is licensed under a Creative Commons Attribution 4.0 International License.