



AVANÇOS NO TRATAMENTO DA PÚRPURA TROMBOCITOPÊNICA TROMBÓTICA (PTT) ADQUIRIDA

Henrique Jorge Rebouças Júnior¹, Gabriel Antonio Mouta Gomes¹, Gabriel dos Santos Medeiros¹, Livia Layanne Lopes Fernandes Rodrigues¹, Felipe Modesto Almeida Rebouças¹, Nadson Lopes Nunes¹, Karem Gabrielle Penha Carvalho¹, Mariana Moura de Farias¹, Yan Carlos de Sousa Diniz¹, Thayná Rakel Quirino Lucena¹, Adson Justino da Silva¹.



<https://doi.org/10.36557/2674-8169.2026v8n1p505-518>

Artigo recebido em 16 de Dezembro e publicado em 16 de Janeiro de 2026

REVISÃO INTEGRATIVA

RESUMO

Introdução: A Púrpura Trombocitopênica Trombótica (PTT) é uma microangiopatia trombótica grave, impulsionada pela deficiência de ADAMTS13 e consequente microtrombose. Apesar das terapias padrão, o surgimento do caplacizumabe, um inibidor do fator de von Willebrand, representa um avanço no tratamento da PTT adquirida (PTTa).

Objetivo: Identificar como a adição do Caplacizumabe influencia os principais desfechos clínicos e laboratoriais de interesse em pacientes com PTTa. **Metodologia:** Trata-se de uma Revisão Integrativa da Literatura, que utilizou descritores específicos relacionados à PTT adquirida e ao Caplacizumabe. Foram definidos critérios de inclusão (inglês/português, descritores no título, recorte de 5 anos e artigos completos) e exclusão (duplicados e não pertinentes). A busca inicial identificou 218 estudos, dos quais 15 atenderam plenamente aos critérios e compuseram a amostra final. **Conclusão:** Conclui-se que o Caplacizumabe se destaca como terapia essencial na PTTa, acelerando a recuperação e reduzindo complicações. Sua eficácia consistente redefine o tratamento, tornando-o mais seguro e menos invasivo.

Palavras-chave: Trombose, Purpura Trombocitopênica, Tratamento.

ADVANCES IN THE TREATMENT OF ACQUIRED THROMBOTIC THROMBOCYTOPENIC PURPURA (TTP)

ABSTRACT

Introdução: Thrombotic Thrombocytopenic Purpura (TTP) is a severe thrombotic microangiopathy driven by ADAMTS13 deficiency and subsequent microthrombosis. Despite standard therapies, the emergence of caplacizumab, a von Willebrand factor inhibitor, represents an advancement in the treatment of acquired TTP (aTTP). **Objective:** To identify how the addition of Caplacizumab influences the main clinical and laboratory outcomes in patients with acquired TTP. **Methods:** This is an Integrative Literature Review that used specific descriptors related to acquired TTP and Caplacizumab. Inclusion criteria were defined as English/Portuguese language, presence of descriptors in the title, a five-year time frame, and availability of full articles; exclusion criteria included duplicates and studies not relevant to the research question. The initial search identified 218 studies, of which 15 met all criteria and formed the final sample. **Conclusion:** Caplacizumab stands out as an essential therapy in acquired TTP, accelerating recovery and reducing complications. Its consistent efficacy is reshaping treatment, making it safer and less invasive.

Keywords: Thrombosis, Thrombocytopenic Purpura, Treatment.

Instituição afiliada – Centro Universitário de Patos (UNIFIP)

Autor correspondente: *Henrique Jorge Rebouças Júnior* email: henry.junior010@gmail.com

This work is licensed under a [Creative Commons Attribution 4.0 International License](https://creativecommons.org/licenses/by/4.0/).





INTRODUÇÃO

A Púrpura Trombocitopênica Trombótica (PTT) representa uma condição hematológica rara, mas grave, pertencente ao grupo das microangiopatias trombóticas. Sua taxa de mortalidade ultrapassa 90% na ausência de tratamento adequado (Elverdi; Eskazan, 2019). A PTT manifesta-se pela formação disseminada de trombos plaquetários nas arteríolas e capilares, culminando em uma tríade característica: anemia hemolítica microangiopática, trombocitopenia e lesão orgânica potencial. Os órgãos mais frequentemente afetados incluem cérebro, coração e rins, o que resulta em significativa morbidade e mortalidade (Elverdi; Eskazan, 2019).

Fisiopatologicamente, a PTT adquirida (PTTa) é impulsionada pela produção de autoanticorpos que inibem a atividade da protease ADAMTS13, responsável pela clivagem do fator de von Willebrand (vWF). Essa deficiência resulta no acúmulo de multímeros ultragrandes de vWF, levando ao consumo de plaquetas nesses agregados e à subsequente trombose microvascular. A isquemia tecidual e a disfunção de múltiplos órgãos que se seguem são as principais causas de eventos tromboembólicos e óbito (Scully *et al.*, 2019).

O diagnóstico de PTT baseia-se na avaliação clínica e nos resultados laboratoriais, sendo subsequentemente confirmado pela documentação de uma deficiência grave de ADAMTS13, definida por níveis de atividade inferiores a 10% (Scully *et al.*, 2019).

Historicamente, o tratamento padrão tem se concentrado na plasmaférese diária para fornecer ADAMTS13 funcional e remover os multímeros de vWF e autoanticorpos, combinada com terapia imunossupressora para suprimir a produção de autoanticorpos (Scully *et al.*, 2019). Contudo, a PTT refratária, que se desenvolve em aproximadamente um sexto dos pacientes e é caracterizada pela falha ou lentidão no aumento da contagem de plaquetas, está associada a prognósticos desfavoráveis (Scully *et al.*, 2019). Ademais, apesar dos avanços na compreensão da doença e nas terapias de reposição e imunossupressoras, os episódios de PTTa ainda apresentam uma mortalidade aguda de até 20%, e as abordagens terapêuticas atuais não atuam diretamente no mecanismo da microtrombose (Sargentini-Maier *et al.*, 2019).

Nesse contexto, uma nova abordagem terapêutica surgiu com a introdução do

caplacizumabe, um medicamento que recebeu sua primeira aprovação na União Europeia para o tratamento de pacientes adultos com PTTa, em adição à plasmaférese e à imunossupressão (Elverdi; Eskazan, 2019). O caplacizumabe é uma imunoglobulina humanizada de domínio único variável que tem como alvo o domínio A1 do vWF, impedindo especificamente sua interação com o receptor plaquetário glicoproteína Ib-IX-V (Peyvandi *et al.*, 2016). Ao bloquear essa interação, o caplacizumabe oferece uma intervenção terapêutica direta e rápida, fundamental para interromper a microtrombose. A combinação de caplacizumabe com plasmaférese e imunossupressão representa, portanto, um avanço notável e potencialmente crucial no manejo de pacientes com PTTa (Sargentini-Maier *et al.*, 2019)..

Diante da introdução desse novo agente e de seu mecanismo de ação inovador, o presente estudo busca, por meio de uma revisão integrativa da literatura, identificar como a adição do Caplacizumabe influencia os principais desfechos clínicos e laboratoriais de interesse em pacientes com PTTa.

METODOLOGIA

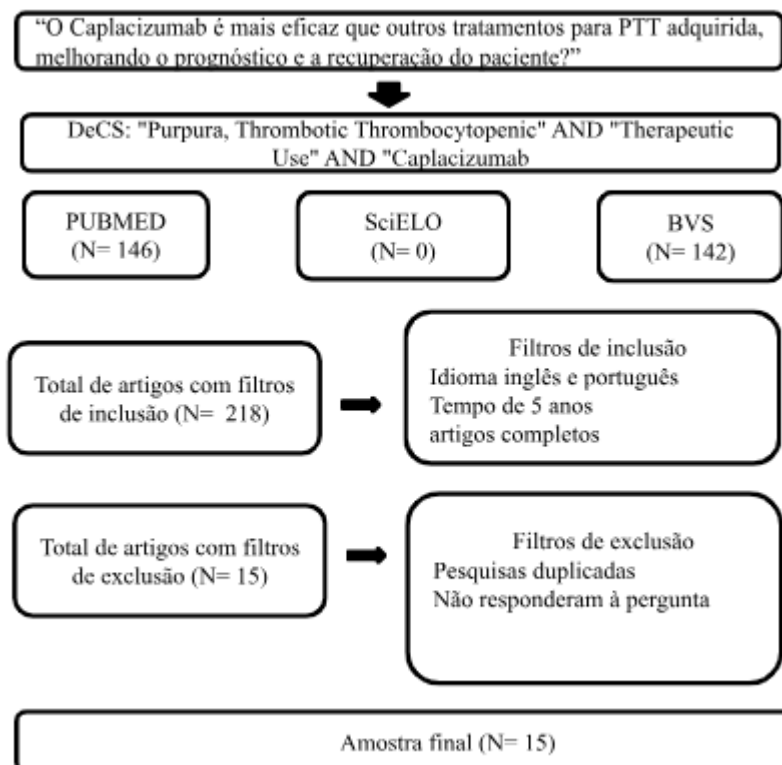
A pesquisa foi desenvolvida através do método de Revisão Integrativa da Literatura (RIL), a qual possibilitou a produção de resultados e conclusões com base em diversos estudos sobre o tema proposto. Ela foi realizada seguindo uma sequência de passos descritos a seguir: 1 – Formar a questão de pesquisa, 2 - Procurar literatura existente, 3 - Organização de dados, 4 - Interpretação dos artigos selecionados, 5 - Desenvolvimento dos resultados, 6 - Síntese da pesquisa (De Sousa, 2023).

A partir disso, foi definido como questão de pesquisa “Em pacientes com A púrpura trombocitopênica trombótica (PTT) adquirida, o uso do Caplacizumab em comparação com placebo ou outras intervenções apresenta melhoras na morbimortalidade ou tempo de internação ou melhora clínica?”, a qual foi pesquisada nas bases de dados e/ou bibliotecas virtuais Medical Literature Analysis and Retrieval System Online (MEDLINE/PubMed), Scientific Electronic Library Online (SciELO) e Biblioteca Virtual em Saúde (BVS) com os Descritores em Ciências da Saúde (DECS/BIREME): "Purpura, Thrombotic Thrombocytopenic" AND "Therapeutic Use" AND

"Caplacizumab".

Para seleção dos artigos utilizaram-se como critérios de inclusão - idioma inglês e português, presença de descritores no título, tempo de 5 anos e artigos completos - enquanto os de exclusão - pesquisas duplicadas, e que não respondiam à pergunta. Com isso, totalizou-se 218 artigos para a avaliação específica e, por fim, 15 trabalhos compondo a amostra final para a produção da presente revisão.

Figura 1: Fluxograma da extração de artigos das bases de dados online.



Fonte: Os autores, 2025.

Após isso, os artigos foram avaliados individualmente e seus resultados foram extraídos em tabelas de categorias e subcategorias para uma melhor compreensão, assim como proposto por Bardin (1997), o que conclui as etapas metodológicas de produção de uma RIL. Dessa forma, foi possível realizar a pesquisa proposta e compreender como o uso do Caplacizumab, em comparação com placebo ou outras intervenções, apresenta melhoras na morbimortalidade, tempo de internação ou melhora clínica em pacientes com PTT.

RESULTADOS E DISCUSSÃO

O Quadro 1 representa a análise da distribuição geográfica dos estudos incluídos o qual um predomínio significativo de publicações provenientes do Reino Unido, representando 26,6% (n=4). Na sequência, Itália aparece com 20% (n=3) do conjunto analisado. Por outro lado, Catar, França, Tunísia e Austrália figuram com apenas um estudo cada, equivalendo a 6,67% por país. De forma geral, observa-se uma distribuição assimétrica entre os países, com concentração da produção científica em nações de maior tradição em pesquisa biomédica.

Além disso, observa-se que a maioria pertence ao grupo dos estudos de coorte, que correspondem aproximadamente a 33,3% (n=5). Já os estudos de caráter analítico mais robusto, como ensaios clínicos, aparecem de forma mais limitada, compondo apenas cerca de 20% (n=3).

Quadro 1: Caracterização geral dos artigos selecionados para compor a RIL. Patos, 2020.

Autores	País	Tipo de estudo
AL-MASHDALI <i>et al.</i> , 2025	Catar	Revisão sistemática
COPPO P <i>et al.</i> , 2021	França	Estudo de coorte
DANE K e CHATURVEDIS, 2018	Estados Unidos	Revisão narrativa
DUTT T <i>et al.</i> , 2021	Inglaterra	Estudo de coorte
ELVERDI T e ESKAZAN AE, 2019	Turquia	Revisão terapêutica
KNOEBL P <i>et al.</i> , 2020	Áustria	Ensaio clínico randomizado
KÜHNE <i>et al.</i> , 2024	Alemanha	Estudo de Coorte
PEYVANDI F <i>et al.</i> , 2016	Itália	Ensaio clínico randomizado
PEYVANDI F <i>et al.</i> , 2017	Itália	Análise <i>post-hoc</i>
PEYVANDI F <i>et al.</i> , 2021	Itália	Revisão integrativa

SCULLY M <i>et al.</i> , 2019	Inglaterra	Ensaio clínico randomizado
SCULLY M <i>et al.</i> , 2022	Inglaterra	Estudo de Coorte
TAYLOR A <i>et al.</i> , 2024	Inglaterra	Estudo de Coorte
VÖLKER LA <i>et al.</i> , 2020	Alemanha	Série de casos
VÖLKER, L. A. <i>et al.</i> , 2020b	Alemanha	Estudo de mundo real

Fonte: Dados de pesquisa, 2025.

A partir da categorização metodológica dos artigos apresentada no Quadro 2, observou-se um predomínio marcante de publicações em língua inglesa, que correspondem a praticamente 100% dos artigos listados. Quanto aos periódicos de publicação, os artigos estão distribuídos entre revistas consolidadas, sendo que a mais prevalente foi a Blood em 53,34% dos estudos, seguido pelo Journal of Thrombosis and Haemostasis em 26,67%.

Quadro2: Caracterização metodológica dos artigos selecionados para compor a RIL. Patos, 2025.

Autores	Idioma da publicação	Revista de publicação
AL-MASHDALI <i>et al.</i> , 2025	Inglês	Blood Reviews
COPPO P <i>et al.</i> , 2021	Inglês	Blood
DANE K e CHATURVEDIS, 2018	Inglês	Hematology
DUTT T <i>et al.</i> , 2021	Inglês	Blood
ELVERDI T e ESKAZAN AE, 2019	Inglês	Drug design, development and therapy
KNOEBL P <i>et al.</i> , 2020	Inglês	Journal of Thrombosis and Haemostasis



AVANÇOS NO TRATAMENTO DA PÚRPURA TROMBOCITOPÊNICA TROMBÓTICA (PTT) ADQUIRIDA

Rebouças Júnior *et. al.*

KÜHNE <i>et al.</i> , 2024	Inglês	Blood
PEYVANDI F <i>et al.</i> , 2016	Inglês	Blood advances
PEYVANDI F <i>et al.</i> , 2017	Inglês	Blood advances
PEYVANDI F <i>et al.</i> , 2021	Inglês	Journal of Thrombosis and Haemostasis
SCULLY M <i>et al.</i> , 2019	Inglês	The New England journal of medicine
SCULLY M <i>et al.</i> , 2022	Inglês	Journal of Thrombosis and Haemostasis
TAYLOR A <i>et al.</i> , 2024	Inglês	Blood advances
VÖLKER LA <i>et al.</i> , 2020	Inglês	Journal of Thrombosis and Haemostasis
VÖLKER, L. A. <i>et al.</i> , 2020b	Inglês	Blood Advances

Fonte: Dados da pesquisa, 2025.

O Quadro 3 sintetiza os principais desfechos avaliados nos estudos incluídos. Entre eles, o desfecho mais prevalente foi o aumento precoce das plaquetas, correspondendo a 32,3% do total. Em seguida, surgem dois desfechos com igual frequência: diminuição do tempo de internação e aumento do sangramento, cada um descrito em 6 estudos, representando 17,6% dos achados.

A diminuição da mortalidade aparece em 5 estudos, perfazendo 14,7%, demonstrando moderada consistência entre as evidências acerca desse desfecho. Já a diminuição da necessidade de plasmaférese foi observada 11,7% dos documentos. Por fim, o desfecho aumento de eventos tromboembólicos foi reportado em 2 estudos, correspondendo a 5,8% dos achados.

Quadro 3: Categorização dos estudos. Patos, 2025.

Desfechos	Achados nos estudos	Nº
Diminuição da Mortalidade	AL-MASHDALI <i>et al.</i> , 2025; COPPO P <i>et al.</i> , 2021; ELVERDI T e ESKAZAN AE, 2019; GALENDI JSC <i>et al.</i> , 2025; PEYVANDI F <i>et al.</i> , 2021;	5
Aumento precoce das plaquetas	AL-MASHDALI <i>et al.</i> , 2025; COPPO P. <i>et al.</i> , 2021;	11



	DUTT T. <i>et al.</i> , 2021; ELVERDI T e ESKAZAN AE, 2019; KNOEBL P. <i>et al.</i> , 2020; PEYVANDI F <i>et al.</i> , 2016; PEYVANDI F <i>et al.</i> , 2021; SCULLY M <i>et al.</i> , 2019; TAYLOR A <i>et al.</i> , 2024; VÖLKER LA <i>et al.</i> , 2020a; VÖLKER LA <i>et al.</i> , 2020b	
Diminuição do tempo de internação	AL-MASHDALI <i>et al.</i> , 2025; COPPO P <i>et al.</i> , 2021; DANE K e CHATURVEDI S., 2018; DUTT T <i>et al.</i> , 2021; ELVERDI T e ESKAZAN AE, 2019; TAYLOR <i>et al.</i> , 2024;	6
Diminuição da necessidade de plasmaférese	KÜHNE <i>et al.</i> , 2024; PEYVANDI F <i>et al.</i> , 2021; SCULLY M <i>et al.</i> , 2019; TAYLOR A <i>et al.</i> , 2024;	4
Aumento do sangramento	COPPO P. <i>et al.</i> , 2021; ELVERDI T E ESKAZAN AE, 2019; KNOEBL, P. <i>et al.</i> , 2020; PEYVANDI F <i>et al.</i> , 2016; SCULLY M <i>et al.</i> , 2019; SCULLY M <i>et al.</i> , 2022;	6
Aumento de eventos tromboembólicos	KNOEBL, P. <i>et al.</i> , 2020; SCULLY M <i>et al.</i> , 2022;	2

Fonte: Dados de pesquisa, 2025.

DISCUSSÃO

A introdução do Caplacizumabe no arsenal terapêutico da Púrpura Trombocitopênica Trombótica adquirida (PTTa) representa uma mudança de paradigma significativa, transitando de uma gestão baseada puramente na reposição de ADAMTS13 e imunossupressão para uma abordagem que bloqueia mecanicamente a microtrombose mediada pelo fator de von Willebrand (vWF). A análise dos estudos incluídos nesta revisão demonstra que o mecanismo de ação deste anticorpo, ao inibir a interação entre os multímeros ultragrandes de vWF e a glicoproteína Ib-IX-V plaquetária, traduz-se em benefícios clínicos tangíveis, independentemente do cenário de aplicação, seja em ensaios clínicos controlados ou na prática de mundo real (Elverdi; Eskazan, 2019; Scully, *et al.*, 2019).

O desfecho mais consistentemente relatado através da literatura analisada é a aceleração na normalização da contagem de plaquetas. Os ensaios clínicos TITAN e



HERCULES estabeleceram a eficácia primária da droga, demonstrando uma redução significativa no tempo para a resposta plaquetária em comparação com o placebo (Peyvandi *et al.*, 2016; Scully, *et al.*, 2019).

É imperativo notar que esses achados não ficaram restritos ao ambiente controlado dos ensaios clínicos randomizados. Estudos de vida real conduzidos no Reino Unido e na Alemanha corroboraram esses dados, evidenciando que a adição de Caplacizumabe ao tratamento padrão resulta em uma recuperação plaquetária rápida, geralmente dentro de 3 a 4 dias, comparável aos dados dos ensaios clínicos (Dutt *et al.*, 2021; Völker *et al.*, 2020b). Essa consistência entre os ambientes de pesquisa e a prática clínica reforça a robustez farmacodinâmica do medicamento na interrupção do consumo plaquetário periférico.

Além da resposta hematológica, a redução da morbimortalidade associada à PTTa é um ponto central na discussão da eficácia do fármaco. A análise integrada dos estudos TITAN e HERCULES demonstrou que o Caplacizumabe reduz significativamente a mortalidade, a refratariedade ao tratamento e a ocorrência de eventos tromboembólicos maiores durante o período de tratamento (Peyvandi *et al.*, 2021).

Esse impacto na redução de eventos tromboembólicos e exacerbações é crucial, visto que estas são as principais causas de óbito e sequelas a longo prazo na fase aguda da doença (Peyvandi *et al.*, 2017). A eficácia na prevenção de desfechos desfavoráveis foi ainda mais validada por um estudo de coorte francês que utilizou um regime triplo (plasmaférese, imunossupressão e Caplacizumabe) como linha de frente, observando uma redução drástica na combinação de morte e refratariedade quando comparado a outras coortes históricas (Coppo *et al.*, 2021).

A capacidade do Caplacizumabe de proteger contra a formação de microtrombos permitiu, conseqüentemente, uma reavaliação da necessidade e intensidade da plasmaférese terapêutica (PEX). Diversos estudos apontam para uma redução no número de sessões de PEX e no tempo de internação hospitalar (Scully *et al.*, 2019; Dutt *et al.*, 2021; Coppo *et al.*, 2021).

Mais notavelmente, a literatura recente começa a desafiar o dogma da obrigatoriedade da PEX em todos os casos. Estudos observacionais sugerem que, em pacientes selecionados e sob monitoramento rigoroso, o manejo da PTTa pode ser



realizado com segurança utilizando Caplacizumabe e imunossupressão sem a necessidade de PEX, alcançando recuperação clínica e laboratorial comparável ao tratamento padrão (Völker *et al.*, 2020a; Kühne *et al.*, 2024). Essa abordagem "livre de PEX" (PEX-free) representa um avanço potencial na redução dos riscos associados ao uso de cateteres venosos centrais e à exposição a hemoderivados, embora exija uma seleção criteriosa dos pacientes e vigilância contínua.

No que tange à segurança, o perfil de eventos adversos do Caplacizumabe é consistente com seu mecanismo de ação, sendo o aumento do risco de sangramento o evento mais frequentemente relatado. A maioria dos episódios hemorrágicos descritos é de gravidade leve a moderada, predominantemente mucocutânea, como epistaxe e sangramento gengival (Scully *et al.*, 2019; Völker *et al.*, 2020b). Embora o risco de sangramento seja inerente à inibição da função do vWF, as análises de segurança indicam que o benefício na prevenção de eventos trombóticos microvasculares e mortalidade supera o risco hemorrágico na maioria dos pacientes (Peyvandi *et al.*, 2021). Contudo, a vigilância deve ser mantida, especialmente em pacientes com comorbidades ou em uso concomitante de anticoagulantes.

A aplicabilidade do Caplacizumabe estende-se também a populações e cenários clínicos complexos não amplamente cobertos nos ensaios iniciais. Dados de registros do Reino Unido e revisões sistemáticas indicam que o medicamento é eficaz e seguro em populações pediátricas, apresentando perfis de recuperação plaquetária e segurança similares aos observados em adultos (Al-Mashdali *et al.*, 2025; Taylor *et al.*, 2024).

Adicionalmente, a eficácia do fármaco se mantém em situações de exacerbação da doença ou recidiva, permitindo o reuso seguro do medicamento para tratar novos episódios de PTTa, sem evidências de toxicidade aumentada ou perda de eficácia devido à imunogenicidade a longo prazo (Knoebl *et al.*, 2020; Scully *et al.*, 2022). A manutenção da terapia até a recuperação da atividade da ADAMTS13 é fundamental para prevenir recaídas precoces, uma vez que o Caplacizumabe não corrige a autoimunidade subjacente, mas sim protege contra a trombose enquanto a imunossupressão atua (Dane; Chaturvedi, 2018; Scully *et al.*, 2022).

Em síntese, a integração dos dados analisados confirma que o Caplacizumabe é uma adição transformadora ao tratamento da PTTa. Ao atuar diretamente na



fisiopatologia da microtrombose, ele oferece uma resolução mais rápida da fase aguda, reduz a mortalidade e a refratariedade, diminui a carga de procedimentos invasivos como a plasmaférese e demonstra eficácia em diversos subgrupos, incluindo crianças e casos de recidiva. A narrativa emergente dos estudos aponta para uma evolução do tratamento em direção a regimes menos invasivos e mais direcionados, onde a monitorização da atividade da ADAMTS13 guia a duração da terapia para otimizar os desfechos clínicos.

CONSIDERAÇÕES FINAIS

Conclui-se que os estudos demonstram a consolidação do Caplacizumabe como uma intervenção decisiva na transformação do manejo da PTTa, ao atuar diretamente no cerne da fisiopatologia microtrombótica da doença. Seus benefícios — expressos na rápida recuperação plaquetária, na redução consistente da mortalidade, refratariedade e eventos tromboembólicos, e na diminuição da necessidade de procedimentos invasivos como a plasmaférese — evidenciam um avanço clínico significativo. A robustez dos achados, reproduzida tanto em ensaios clínicos quanto em estudos de vida real e em populações especiais, como pediátricas e casos recorrentes, reforça a segurança e a aplicabilidade ampliada do fármaco. Assim, o Caplacizumabe não apenas aprimora o prognóstico imediato dos pacientes, mas também redefine o paradigma terapêutico da PTTa, apontando para um futuro em que abordagens mais direcionadas, menos invasivas e guiadas pela atividade da ADAMTS13 se tornem o novo padrão de cuidado.

REFERÊNCIAS

AL-MASHDALI, Abdulrahman F. *et al.* Caplacizumab for pediatric immune thrombotic thrombocytopenic Purpura: A scoping review of current evidence. **Blood reviews**, v. 74, n. 101326, p. 101326, 2025.

COPPO, Paul *et al.* A regimen with caplacizumab, immunosuppression, and plasma exchange prevents unfavorable outcomes in immune-mediated TTP. **Blood**, v. 137, n. 6, p. 733–742, 2021.

DANE, Kathryn; CHATURVEDI, Shruti. Beyond plasma exchange: novel therapies for thrombotic



- thrombocytopenic purpura. **Hematology**, v. 2018, n. 1, p. 539–547, 2018.
- DUTT, Tina *et al.* Real-world experience with caplacizumab in the management of acute TTP. **Blood**, v. 137, n. 13, p. 1731–1740, 2021.
- ELVERDI, Tugrul; ESKAZAN, Ahmet Emre. Caplacizumab as an emerging treatment option for acquired thrombotic thrombocytopenic purpura. **Drug design, development and therapy**, v. 13, p. 1251–1258, 2019.
- KNOEBL, Paul *et al.* Efficacy and safety of open-label caplacizumab in patients with exacerbations of acquired thrombotic thrombocytopenic purpura in the HERCULES study. **Journal of thrombosis and haemostasis: JTH**, v. 18, n. 2, p. 479–484, 2020.
- KÜHNE, Lucas *et al.* Management of immune thrombotic thrombocytopenic purpura without therapeutic plasma exchange. **Blood**, v. 144, n. 14, p. 1486–1495, 2024.
- PEYVANDI, F. *et al.* Caplacizumab reduces the frequency of major thromboembolic events, exacerbations and death in patients with acquired thrombotic thrombocytopenic purpura. **Journal of thrombosis and haemostasis: JTH**, v. 15, n. 7, p. 1448–1452, 2017.
- PEYVANDI, Flora *et al.* Caplacizumab for acquired thrombotic thrombocytopenic Purpura. **The New England journal of medicine**, v. 374, n. 6, p. 511–522, 2016.
- PEYVANDI, Flora *et al.* Caplacizumab prevents refractoriness and mortality in acquired thrombotic thrombocytopenic purpura: integrated analysis. **Blood advances**, v. 5, n. 8, p. 2137–2141, 2021.
- SCULLY, Marie *et al.* Caplacizumab treatment for acquired thrombotic thrombocytopenic Purpura. **The New England journal of medicine**, v. 380, n. 4, p. 335–346, 2019.
- SCULLY, Marie *et al.* Long-term follow-up of patients treated with caplacizumab and safety and efficacy of repeat caplacizumab use: Post-HERCULES study. **Journal of thrombosis and haemostasis: JTH**, v. 20, n. 12, p. 2810–2822, 2022.
- TAYLOR, Alice *et al.* Caplacizumab in pediatric immune thrombotic thrombocytopenic purpura: the UK TTP Registry experience. **Blood advances**, v. 8, n. 17, p. 4563–4567, 2024.
- VÖLKER, Linus A. *et al.* Treatment of acquired thrombotic thrombocytopenic purpura without plasma exchange in selected patients under caplacizumab. **Journal of thrombosis and haemostasis: JTH**, v. 18, n. 11, p. 3061–3066, 2020a.
- VÖLKER, Linus A. *et al.* Real-world data confirm the effectiveness of caplacizumab in acquired thrombotic thrombocytopenic purpura. **Blood advances**, v. 4, n. 13, p. 3085–3092, 2020b.