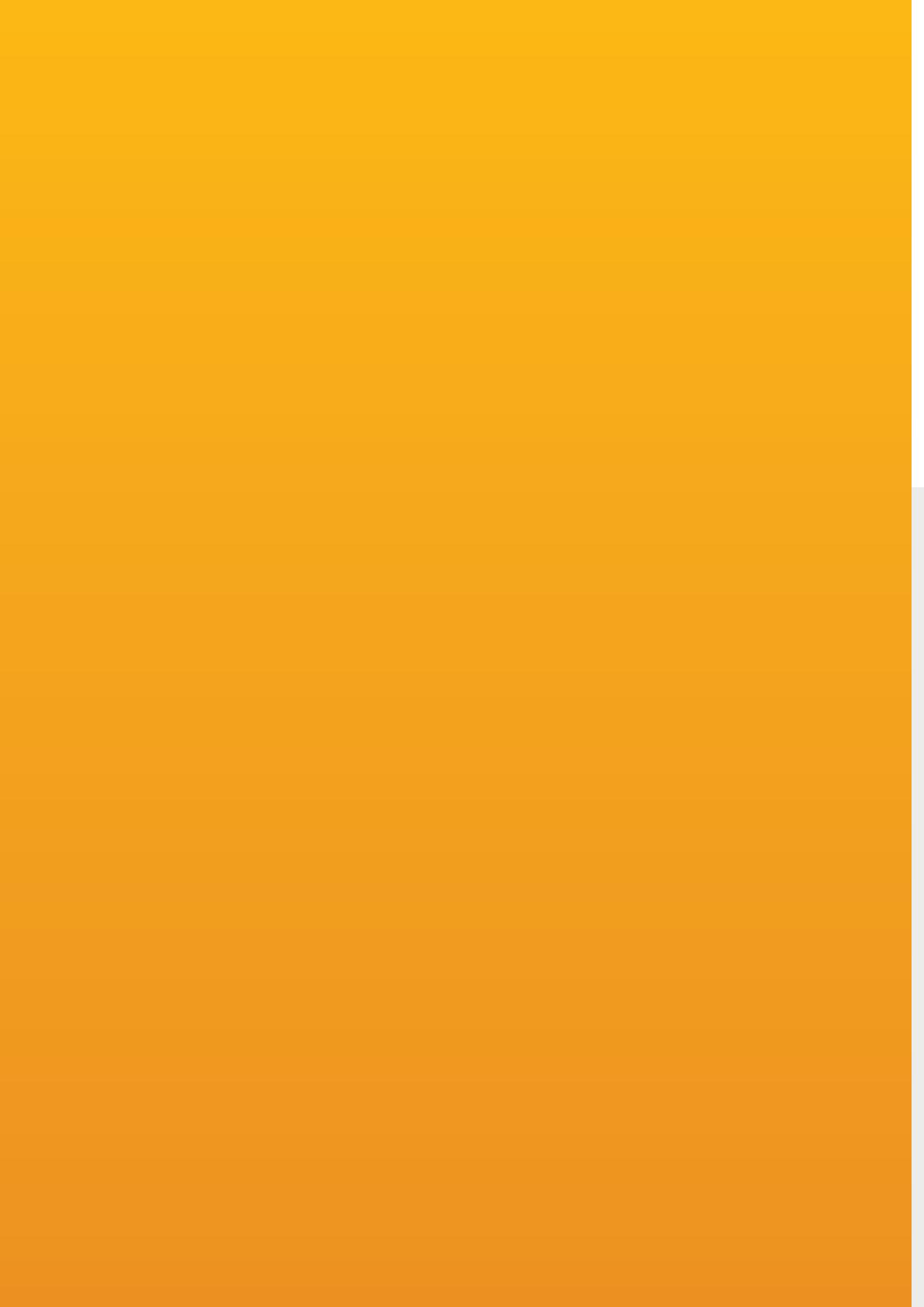




Mi voz
El cuidado de
mi HPN

Hemos diseñado este folleto
para apoyarte en lograr el mejor
de tus cuidados





Recibir el diagnóstico de la HPN puede tener un gran impacto emocional, pero conocer la información sobre la enfermedad puede permitirte que tu vida diaria sea más sencilla. Continúa leyendo para descubrir cómo...

Contenidos:

4	Comprendiendo la HPN ¿Qué es? Más sobre hemólisis Diagnóstico y monitorización HPN – Entendiendo los términos que podrías escuchar Síntomas de HPN
8	Vivir con HPN Salud física y bienestar Salud mental y bienestar Trabajo y vida familiar La comunicación es clave
13	Seguimiento de síntomas
14	Notas
17	Glosario
18	Referencias

Comprendiendo la HPN

¿Qué es la HPN?

La Hemoglobinuria Paroxística Nocturna, o HPN, es una enfermedad de la sangre en la que las células responsables de formar los glóbulos rojos (que ayudan a llevar el oxígeno alrededor del cuerpo) mutan y producen glóbulos rojos defectuosos.¹ Esto desencadena la activación del sistema inmune – una sofisticada red de defensa que mantiene el cuerpo a salvo de peligros como enfermedades e infecciones – para atacar y destruir esos glóbulos rojos defectuosos. Este proceso se denomina hemólisis.²

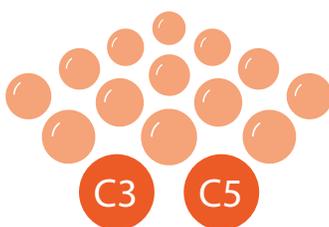
La HPN es una enfermedad rara, que puede afectar a personas de cualquier edad, raza o sexo. Nadie nace con HPN. Es conocida como una "enfermedad adquirida", lo que significa que no puede ser heredada ni contagiosa.³

Sobre la hemólisis

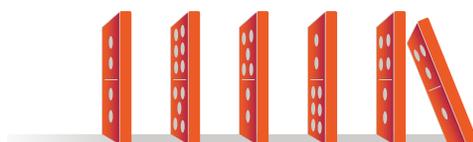
La hemólisis es el proceso en el que varios glóbulos rojos son "desintegrados" por diferentes factores, como, por ejemplo, el sistema inmunitario. Se produce tras iniciarse una cascada de actividad en el "sistema del complemento".³



El sistema del complemento ayuda a destruir las toxinas, virus o bacterias peligrosas y se deshace de las células dañadas o moribundas.⁴



Hay un ejército de más de 60 tipos diferentes de **proteínas** que juegan un papel en el sistema del complemento. Dos proteínas clave son **C3** y **C5**.⁴

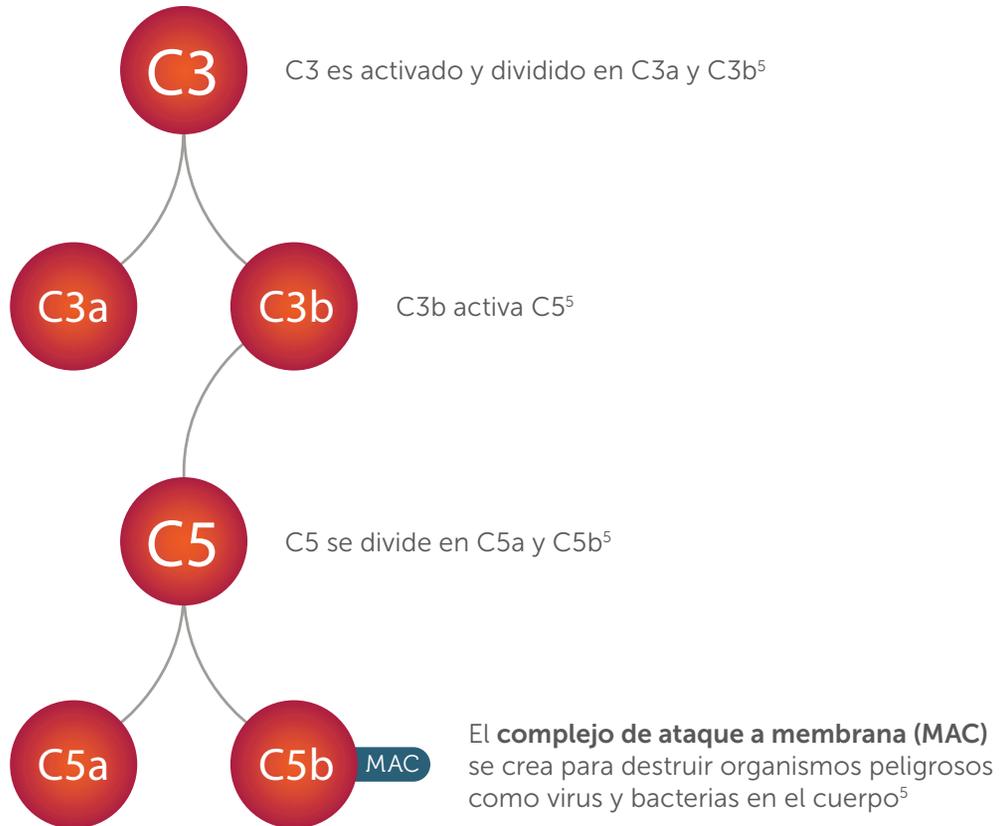


Como fichas de dominó, las proteínas C3 y C5 se activan en un orden específico cuando el sistema inmunitario detecta virus, bacterias o estructuras extrañas (toxinas).⁴

El sistema del complemento

El sistema inmunitario es una sofisticada red de defensa que mantiene el cuerpo a salvo de peligro como enfermedades o infecciones. Un componente muy complejo de esta red es el denominado "sistema del complemento".⁴

A continuación, puedes ver una gráfica de la función de las **moléculas C3 y C5 dentro de la cascada de activación del complemento**



Hay 2 tipos de hemólisis: intravascular y extravascular

Ambos tipos pueden ocurrir en tu organismo al mismo tiempo y causar síntomas de HPN^{1,2}



HEMÓLISIS INTRAVASCULAR (IVH)

Hemólisis Intravascular (IVH) ocurre cuando los glóbulos rojos son destruidos dentro de los vasos sanguíneos – canales a través de los cuales la sangre es distribuida a los tejidos corporales^{1,2}



HEMÓLISIS EXTRAVASCULAR (EVH)

Hemólisis Extravascular (EVH) ocurre cuando los glóbulos rojos son destruidos en el hígado y el bazo.^{1,2}

Diagnóstico y monitorización de la HPN

Tu médico evaluará todos los signos y síntomas para diagnosticar y monitorizar la HPN. Además, revisará los diferentes resultados de los test, como la analítica sanguínea, ya que pueden dar valiosas pistas sobre lo que está ocurriendo en tu organismo.⁷ Es importante que entiendas alguno de los términos que escucharás:

Hemoglobina (Hb):

Es una proteína de los glóbulos rojos que lleva el oxígeno y el dióxido de carbono. La HPN se caracteriza por niveles bajos de glóbulos rojos y hemoglobina^{1,6}

Lactato Deshidrogenasa (LDH):

Es una enzima que se encuentra en todas las células. La destrucción de los glóbulos rojos da lugar a la liberación de LDH en sangre por lo que un aumento de LDH puede ser un indicador de que IVH está en curso^{1,6,7}

Reticulocitos:

Son glóbulos rojos inmaduros. Un número alto de reticulocitos significa que tu cuerpo está realizando un gran esfuerzo para reemplazar los glóbulos rojos que están siendo destruidos¹

Bilirrubina:

Es un pigmento producido por la destrucción de los glóbulos rojos. Las personas con HPN pueden presentar niveles altos de bilirrubina⁶

Siempre es recomendable hablar con tu médico sobre los últimos resultados y lo que significan para tu salud.

Síntomas de la HPN

Los síntomas de la HPN varían de una persona a otra.

Algunas tienen síntomas leves mientras que otras pueden presentar síntomas más graves y debilitantes que pueden impactar en su vida diaria.^{1,7-11}

Estos posibles síntomas incluyen:^{1,7-11}



Fatiga – cansancio



Dificultad para concentrarse – 'brain fog'



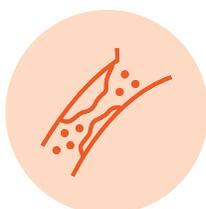
Anemia



Dolor de espalda y abdominal



Dolor de cabeza severo



Coágulos sanguíneos



Hemoglobinuria
– presencia de hemoglobina en exceso en la orina, que causa la coloración de la misma



La contracción de musculatura en órganos internos puede causar complicaciones como:

- **Disnea** – dificultad para respirar
- **Disfagia** – dificultad para deglutir
- **Disfunción eréctil**

Anemia

La anemia se define como un **número bajo de glóbulos rojos por debajo de lo normal**. Una cifra baja de glóbulos rojos puede producirse debido a *una reducida producción* de estos, resultado de una baja funcionalidad por parte de la médula ósea, o debido a *un incremento en su destrucción* (hemólisis).⁷

Una de las primeras características de la HPN clásica es la **anemia hemolítica**.^{1,7} Un reducido número de glóbulos rojos significa que la capacidad de la sangre de llevar oxígeno a los tejidos también está reducida, resultando en síntomas como **fatiga, debilidad, mareos y falta de aliento**.¹²

Fatiga

Hasta un **96%** de las personas que viven con HPN clásica, experimentan fatiga.⁸

Vivir con HPN

Salud física & bienestar

La HPN puede afectar de manera significativa a tu calidad de vida, con la fatiga apareciendo a menudo como el síntoma más desafiante que tiene un impacto sobre la vida diaria.¹³

Como la HPN es una enfermedad compleja que afecta a cada persona de forma diferente, no todos los cambios en los estilos de vida funcionan para todo el mundo. Puede que tú necesites experimentar con estilos de vida diferentes hasta encontrar cuál es el que se adapta mejor a ti.



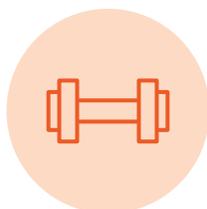
Descanso

Asegurarte de que **descansas** lo suficiente – con siestas cuando sea posible - puede ayudarte con la fatiga.¹³

Puede ser de ayuda **mantener un patrón regular de sueño** y un **ligero ejercicio** durante el día para ayudarte a tener un buen descanso nocturno.¹⁴

Trata de **evitar bebidas que contienen cafeína y alcohol** que pueden interferir en la capacidad corporal para descansar.¹⁴

La preocupación y la ansiedad puede impactar en el sueño. Para ayudar a tu relajación, podrías **darte un baño caliente antes de ir a dormir**. También podría ayudarte **leer un libro o escuchar música** antes de dormir.¹⁴



Ejercicio

Puede ser de ayuda hacer **actividad física** si te ves preparado.¹⁵

La actividad puede variar desde **ejercicio suave**, como andar, hace yoga o ligeras tareas del hogar, hasta **actividades más intensas** como ciclismo o **correr**.¹⁵

Habla con tu equipo de atención sanitaria sobre lo que podría ser bueno para ti.¹⁵



Dieta

Aunque no existe una dieta especial que pueda aliviar los síntomas de la HPN, es importante **comer de manera equilibrada**, con mucha **fruta y verdura**.¹⁵

Tu equipo de atención sanitaria puede aconsejarte.

Salud mental & bienestar

La salud mental y el bienestar son importantes para tener una buena calidad de vida. El diagnóstico de la HPN normalmente cambia la vida de cada persona y es normal experimentar estrés o ansiedad por este hecho, los síntomas o el tratamiento.¹⁶

El ejercicio suave, la meditación y escribir tus experiencias puede ser útil para manejar el estrés y la ansiedad.^{17,18}

Si tu diagnóstico te ha hecho sentir solo o desconectado, hablarlo o compartir tus experiencias con otros pacientes con HPN puede ayudarte.

Ayudar a las asociaciones, en tu comunidad o de forma online, puede ayudarte a conectar con otros pacientes con HPN, quienes pueden estar experimentando los mismos sentimientos que tú. HPN Global Alliance es una buena fuente para encontrar estos colectivos de pacientes.

Al igual que las estrategias para mejorar tu bienestar físico, para controlar tu salud mental y bienestar, puede resultar útil mantener una **mente abierta** y **probar diferentes enfoques** hasta que establezcas lo que funciona mejor para ti. Mind o The Mental Health Foundation son fuentes muy buenas de orientación.



Trabajo y vida familiar

Equilibrar el trabajo y la vida familiar puede ser un desafío encontrándote bien y sin enfermedad. Equilibrar ambos mientras intentas sobrellevar los síntomas y las emociones que resultan de la HPN puede ser aún más difícil. Por este motivo, es importante **planificar** con anticipación y **pedir ayuda**.

¡Optimiza!

Piensa en tus prioridades y en lo que puedes gestionar de manera realista cada día. Donde sea posible, ahorra energía para los asuntos que son más importantes.

¡No lo hagas solo!

Es posible que necesites el apoyo de familiares y amigos para aliviar algunas de las presiones adicionales causadas por la HPN, así que pide ayuda si la necesitas. Se muy específico sobre lo que necesitas.

Informar a un jefe sobre un problema de salud crónico y sobre la necesidad de tratamientos frecuentes puede resultar estresante y provocar ansiedad.

Puede ser útil ser abierto y honesto con tus jefes acerca de los desafíos que presenta tu enfermedad y qué tiempo adicional y apoyo podrías necesitar.

Tu equipo de atención sanitaria puede ser tu aliado en estas situaciones y brindarte apoyo, como, por ejemplo, firmando un informe médico.



La comunicación es clave



Familia y amigos

La HPN es una afección relativamente desconocida, lo que significa que es posible que tengas que explicársela a tus **amigos, familiares, vecinos o compañeros**. Esto puede ser difícil, pero ayudará a quienes te rodean a entender la mejor manera de ayudarte.

Puede ser útil ser abierto y honesto cuando alguien te pregunte cómo te sientes, para que pueda entender cómo te está afectando la enfermedad.

También puede ser útil informar a quienes te rodean a medida que cambien tus necesidades, ya que ayudará a que se sientan conectados contigo.



Profesionales de la salud

Una buena relación con tu equipo de profesionales sanitarios es importante para el éxito en el manejo de la enfermedad. Cada consulta y conversación es importante. Prepararte para tu cita puede llevarte un poco de tiempo, pero ayudará al equipo médico a proporcionarte el mejor apoyo.

1. Antes de la consulta

La planificación de tu cita puede ayudarte a aprovechar al máximo las conversaciones con tu equipo sanitario. Considera escribir las preguntas que deseas hacer antes de la cita. Por ejemplo:

- “¿Qué significan mis resultados?”*
- “¿Qué pruebas adicionales requerirán?”*
- “¿Cuáles son mis opciones de tratamiento? ¿Cómo podrían hacerme sentir?”*
- “¿Cuándo me volverán a evaluar?”*

2. Durante la consulta

- **Comparte la mayor cantidad de información posible:** es fundamental que médicos y enfermeras estén plenamente informados de todos los síntomas, incluso si no parecen ser importantes o estar relacionados con la HPN. Esto podría incluir información sobre cómo te sientes física o emocionalmente.

Ten en cuenta:

¿Con qué frecuencia te sientes fatigado y cuál es su impacto? *Se específico sobre cómo te sientes - Usar números puede ayudar (p.e.: "Tuve que faltar al trabajo 3 veces el último mes debido a la fatiga")*

¿Con qué frecuencia sientes dificultad para respirar y esto te impide disfrutar de la vida? *(p.e.: "He tenido que dejar mi clase de ejercicio porque no puedo seguir el ritmo con el grupo")*

¿Qué estás encontrando especialmente difícil? *(p.e.: "Todavía tengo que pedir a mis padres que cuiden de mis hijos porque estoy demasiado cansado para disfrutar actividades de fin de semana")*

- Solicita orientación a los servicios sanitarios
- Solicita aclaraciones sobre lo que no entiendas
- Define los próximos pasos con claridad: sal con una comprensión completa de qué va a pasar y cuándo

3. Después de tu consulta

- Lleva un registro:** anota cómo los cambios en tu rutina o plan de tratamiento están afectándote, así como nuevos temas u observaciones para discutir con el equipo de profesionales sanitarios en tu próxima cita.
- Organízate:** mantén un registro de todas tus citas y resultados en un lugar común para que puedas compartirlo fácilmente con nuevos médicos o especialistas.

Seguimiento de síntomas

Es posible que no pienses que los cambios mínimos en tus síntomas de un día a otro son importantes, o incluso notarlos. Pero los signos y síntomas con el tiempo, combinados con tus resultados de los análisis sangre, son importantes para reconocer los cambios en tu salud. Lleva un registro de síntomas o un diario.

Registro de síntomas

Elige la respuesta que mejor describe tu experiencia de vida con HPN

Cuántas veces al mes experimentas:

Dolor abdominal y/o dolor de pecho

Nunca 1 o 2 días 3-5 días 6+ días

Dolor de pierna y/o espalda

Nunca 1 o 2 días 3-5 días 6+ días

Dificultad para tragar

Nunca 1 o 2 días 3-5 días 6+ días

Dificultad para concentrarse o pensar con claridad

Nunca 1 o 2 días 3-5 días 6+ días

Cuántas veces al mes experimentas:

Fatiga

Nunca 1 o 2 veces 3-5 veces 6+ veces

Si experimentas fatiga, cómo clasificarías su severidad

Leve Moderada Grave

Dolor de cabeza

Nunca 1 o 2 veces 3-5 veces 6+ veces

Dificultad para respirar

Nunca 1 o 2 veces 3-5 veces 6+ veces

Dificultad para dormir / sentirte débil

Nunca 1 o 2 veces 3-5 veces 6+ veces

Incapacidad para estar al día con tu vida debido a la HPN

Nunca 1 o 2 veces 3-5 veces 6+ veces

Pérdida de apetito

Nunca 1 o 2 veces 3-5 veces 6+ veces



Después de verificar tu respuesta, comparte los resultados con tu médico para iniciar una conversación sobre tu experiencia con la HPN

Glosario de términos

Anemia

- Estado que ocurre cuando no hay suficientes glóbulos rojos para transportar el oxígeno de forma efectiva por todo el cuerpo. Puede causar fatiga, dificultad para respirar y dolores de cabeza.

C3

- Proteína en sangre que actúa como punto central del sistema del complemento, regulando su activación.

C5

- Proteína ubicada en la sangre que juega un papel importante en la inflamación y la hemólisis intravascular causada por el sistema del complemento.

Complejo de ataque a membrana (MAC)

- Estructura que se forma dentro de la cadena de activación del sistema del complemento. Se adhiere a las células que el cuerpo cree que son amenazadora y ayuda a destruirlas.

Fatiga

- Cansancio extremo. La fatiga es una de las causas más comunes de HPN.

Glóbulos rojos

- El tipo más común de célula sanguínea. Su trabajo es transportar oxígeno, utilizando una molécula importante, la hemoglobina, alrededor del cuerpo.

Glóbulos rojos PNH

- Glóbulos rojos a los que les faltan proteínas protectoras, que son atacadas por el sistema del complemento, causando la destrucción de glóbulos rojos. Este proceso se denomina hemólisis.

Hemólisis

- La "destrucción" de glóbulos rojos puede ocurrir cuando el sistema inmune ataca estas células como si fuesen virus o bacterias peligrosas. Cuando los glóbulos rojos se rompen, se libera hemoglobina. La hemólisis causa muchos de los síntomas de la HPN.

Hemólisis Extravascular (EVH)

- Destrucción de glóbulos rojos que ocurre en el hígado o el bazo.

Hemólisis Intravascular (IVH)

- Es la destrucción de glóbulos rojos dentro de los vasos sanguíneos.

Proteínas

- Moléculas grandes y complejas que desempeñan muchas funciones importantes en el cuerpo y pueden considerarse como "caballos de batalla" de células. Las proteínas son necesarias para la estructura, función y regulación de los órganos y tejidos del cuerpo.

Sistema de complemento

- El sistema del complemento, también conocido como la cascada del complemento, es un ejército de más de 60 proteínas diferentes que trabajan juntas para deshacerse de las células peligrosas y combatir las infecciones.

Sistema inmune

- Es una sofisticada red de defensa empleada para proteger el organismo de peligros como la enfermedad o la infección.

Referencias

- 1 Hill A, DeZern AE, Kinoshita T & Brodsky RA. Paroxysmal nocturnal haemoglobinuria. *Nat Rev Dis Primers*. 2017;3:17028
- 2 Britannica. Hemolysis. Available at: <https://www.britannica.com/science/hemolysis> [Last accessed: September 2022].
- 3 Devos T, Meers S, Boeckx N, et al. Diagnosis and management of PNH: Review and recommendations from a Belgian expert panel. *Eur J Haematol*. 2018;101:737–749.
- 4 Cho H. Complement regulation: physiology and disease relevance. *Korean J Pediatr*. 2015;58:239–44.
- 5 Merle NS, Church SE, Fremeaux-Bacchi V & Roumenina LT. Complement System Part I - Molecular Mechanisms of Activation and Regulation. *Front Immunol*. 2015;6:262.
- 6 Barcellini W & Fattizzo B. Clinical Applications of Hemolytic Markers in the Differential Diagnosis and Management of Hemolytic Anemia. *Dis Markers*. 2015;635670.
- 7 Brodsky RA. Paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. *Blood*. 2014;124(18):2804–2811.
- 8 Meyers G, et al. Disease-related symptoms reported across and broad population of patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. *Blood*. 2007;110(11):3683.
- 9 Mitchell R, et al. Path to diagnosis of paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: the results of an exploratory study conducted by the aplastic anemia and MDS international foundation and the national organization for rare disorders utilizing an internet-based survey. *SM Clinical and Medical Oncology*. 2017;1(1):1001.
- 10 Dingli D, Matos JE, Lehrhaupt K, et al. The burden of illness in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria receiving treatment with the C5-inhibitors eculizumab or ravulizumab: results from a US patient survey. *Ann Hematol*. 2022;101(2):251–263.
- 11 Bektas et al. Paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: patient journey and burden of disease. *Manag Care Spec Pharm*. 2020;26:S8-S14.
- 12 Chaparro C, Suchdev PS. Anemia epidemiology, pathophysiology, and etiology in low- and middle-income countries. *Ann N Y Acad Sci*. 2019;1450:1.
- 13 Sakai K. Even mild hemolysis in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria could severely compromise the quality of life due to long-term sustained intolerant fatigue. *Leuk Res Rep*. 2020;14:100224.
- 14 AASM. Sleep education. Available at: <https://sleepeducation.org/healthy-sleep/healthy-sleep-habits/> [Last accessed: September 2022].
- 15 AA.MDA International Foundation. Caring for Yourself. Available at: <https://www.aamds.org/treatments/self-care>. [Last accessed: September 2022].
- 16 Mercer SW, Gunn J, Bower P, et al. Managing patients with mental and physical multimorbidity. *BMJ* 2012.
- 17 Mental Health Foundation. How to manage and reduce stress. Available at: <https://www.mentalhealth.org.uk/publications/how-manage-and-reduce-stress>. [Last accessed: September 2022].
- 18 Smyth T. Online Positive Affect Journaling in the Improvement of Mental Distress and Well-Being in General Medical Patients With Elevated Anxiety Symptoms: A Preliminary Randomized Controlled Trial. *JMIR Ment Health*. 2018;5(4):e11290.

Está leyendo un material informativo. En caso de duda, consulte con su médico



Mejorando la vida de las personas con HPN

Contenido avalado por la **Asociación de Hemoglobinuria Paroxística Nocturna (HPNE)**

NP-25178 (Marzo de 2023)

© 2022 Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) – All rights reserved.

Más información
en la web sobi.es

