

Manifiesto

DESENMASCARA

la Hemoglobinuria Paroxística Nocturna (HPN)



- El 80% de las personas con HPN muestra preocupación por causar inconvenientes a otras personas de su entorno¹.
- Para el 56,7% de las personas con HPN, la enfermedad impacta en su trabajo o estudios¹.
- El 53,3% de las personas con HPN tiene limitaciones en las actividades personales y sociales¹.
- Hasta el 50% de las personas con HPN tiene limitaciones para poder realizar actividad física¹.



Manifiesto

Desenmascara la HPN

La **Hemoglobinuria Paroxística Nocturna (HPN)** es una enfermedad ultrarrara que afecta a las células sanguíneas. La HPN se caracteriza por la destrucción de los glóbulos rojos (hemólisis), lo que puede provocar anemia, fatiga severa, complicaciones graves en órganos vitales, así como la formación de trombos^{2,3}.

Como los glóbulos rojos son las células de la sangre que transportan el oxígeno, en algunas personas la orina puede aparecer de color oscuro, por la hemoglobina que se libera al destruirlos².

La HPN se puede manifestar a cualquier edad, aunque es más frecuente que aparezca entre los 30 y 40 años de edad⁴, y puede aparecer tanto en mujeres como en hombres^{2,5}. La prevalencia de esta enfermedad es de 0,7 casos por cada 100.000 habitantes⁶.

¿Qué supone vivir con HPN?

La destrucción de los glóbulos rojos ocurre principalmente dentro de los vasos sanguíneos, lo que se conoce como **hemólisis intravascular**. Sin embargo, como consecuencia de algunos tratamientos, los glóbulos rojos pueden seguir siendo destruidos fuera de los vasos sanguíneos, principalmente en el bazo y en el hígado, lo que se conoce como **hemólisis extravascular**⁷.



EN COLABORACION CON
NP-44633 (Octubre de 2025)



Una vida con síntomas no es una vida normal

La destrucción de los glóbulos rojos tanto por la hemólisis intravascular como por la hemólisis extravascular tiene algunas consecuencias que se manifiestan en forma de signos y síntomas. Estos pueden ser:



Fatiga⁸: puede llegar a afectar hasta un 96% de los pacientes con HPN. La fatiga o cansancio extremo está relacionado con la anemia.



Disfagia⁸
Dificultad para tragar



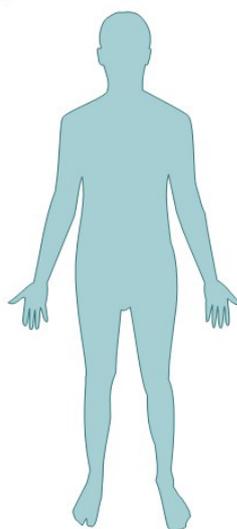
Daño o disfunción renal⁹
Resultado de la hemólisis a largo plazo
Por trombosis microvascular o depósito de hierro



Dolor abdominal⁸



Disfunción eréctil⁸
En algunos casos, la HPN puede afectar la función sexual masculina debido a la fatiga y a los efectos vasculares asociados a la enfermedad



Anemia severa: afecta hasta a un 88% de los pacientes. Impacta sobre la capacidad de realizar actividades cotidianas, como trabajar, practicar deporte o disfrutar de tiempo con la familia^{5,10}. Necesidad de transfusiones².



Disnea^{8,10}
Dificultad para respirar



Trombosis¹¹⁻¹³
Es la formación de trombos o coágulos de sangre, y supone la principal causa de mortalidad entre los pacientes con HPN.



Dolor de espalda¹⁰



Hemoglobinuria^{3,14}
Sangre en la orina. Se manifiesta de color oscuro debido a la destrucción de glóbulos rojos y que se eliminan por la orina.



La presencia de anemia y fatiga severa en pacientes con HPN representa un desafío importante para la calidad de vida y el bienestar de los afectados. La anemia puede afectar gravemente a la función cognitiva de los pacientes¹⁴⁻¹⁶, y la fatiga severa y la posibilidad de tener que recibir transfusiones son los dos aspectos que tienen un impacto realmente negativo en la calidad de vida de los pacientes².



Impacto de la HPN en diferentes órganos vitales

Además de los signos y síntomas indicados, la HPN puede afectar a diferentes órganos:

Riñones:

- Daño en los riñones o fallo renal crónico: la hemólisis crónica producida por una HPN no controlada puede dañar los riñones por trombosis microvascular, acumulación de depósitos de hierro en los riñones o ambos, afectando su capacidad para filtrar la sangre y aumentando el riesgo de insuficiencia renal⁹. Este daño puede ocurrir hasta en un 65% de los pacientes⁹. Además, la insuficiencia renal es una de las principales causas de muerte entre el 8 y el 18% de las personas con HPN¹⁷.

Pulmones:

- Hipertensión pulmonar: ocurre hasta en un 47% de los pacientes^{18,19} cuando la presión sanguínea de las arterias pulmonares es anormalmente alta. Se manifiesta con la falta de aire y puede incrementar la fatiga^{2,20}.

Corazón:

- Enfermedad cardiovascular: como el infarto agudo de miocardio. La enfermedad cardiovascular es otra causa importante de muerte en pacientes con HPN. Esta complicación se ha registrado como causa de muerte en el 22% de los fallecimientos entre las personas con HPN clásica¹⁹.





Impacto de la HPN en la vida de los pacientes

Los síntomas mencionados pueden limitar su capacidad para llevar a cabo actividades diarias², afectando su rendimiento laboral, su interacción social y su bienestar emocional²¹. La HPN no solo afecta la salud física, sino también la emocional, social y laboral de quienes la padecen. Las personas con HPN se enfrentan a desafíos como:

- Impacto psicológico: los pacientes pueden llegar a sentirse aislados, tristes, sin motivación y frustrados²¹. Entre los problemas notificados con mayor frecuencia relacionados con el bienestar emocional, cabe destacar que:
 - Hasta un 86,7% siente ser una carga para los demás¹.
 - Hasta un 76,7% tiene preocupación, ansiedad o miedo¹.
- Limitaciones en la vida diaria: la fatiga y la anemia pueden dificultar las actividades cotidianas¹.
 - El 80% muestra preocupación por causar inconvenientes a otras personas de su entorno, ya sean miembros de su familia, amigos o compañeros de trabajo.
 - Para el 56,7% la HPN impacta en su trabajo o en los estudios.
 - El 53,3% tiene limitaciones en las actividades personales y sociales.
 - Hasta el 50% tiene limitaciones para poder realizar actividad física.



Una vida con síntomas no es una vida normal

Las personas con HPN no tienen por qué resignarse a vivir con síntomas. La fatiga, la falta de energía o las limitaciones en la vida diaria no deben normalizarse.

Y esta campaña pretende revelar y desenmascarar que no hay por qué vivir una vida con síntomas, ya que eso no es una vida normal, porque, como dice **Adriana Reyes**, presidenta de la Asociación de HPN de España, la HPN **"es una enfermedad que, bien controlada, se puede llegar a hacer una vida normal"**²². Esto significa que, con un manejo adecuado y un plan personalizado, es posible abordar los síntomas, prevenir complicaciones y recuperar la calidad de vida.

La **Asociación de Hemoglobinuria Paroxística Nocturna de España (HPNE)** ofrece información y proporciona soporte, acompañamiento y orientación a pacientes y familiares de esta enfermedad. Desde la asociación, Jordi Cruz, fundador y portavoz de HPNE remarca que "hacemos hincapié en la importancia de que los pacientes hablen abiertamente con el hematólogo sobre cómo la enfermedad afecta a su vida, desde la fatiga hasta las actividades, trabajos y hobbies que han tenido que abandonar. Es importante que los pacientes no se acostumbren a vivir con síntomas: la fatiga, la falta de energía o las limitaciones no deben aceptarse como algo inevitable. Es posible vivir sin síntomas con un buen control de la HPN. Todo esto, puede contribuir a evitar complicaciones a largo plazo, ya que un manejo adecuado de la HPN no solo mejora la calidad de vida, sino que también protege órganos vitales como los riñones".

Puedes encontrar más información sobre la Asociación de Hemoglobinuria Paroxística Nocturna de España en www.hpne.es.

Porque es el momento de trabajar juntos

En **Sobi**, compartimos el propósito de mejorar la vida de las personas con enfermedades raras como la HPN. Por ello, y con motivo del Día Mundial de la HPN, el 12 de octubre, y junto a la Asociación de Hemoglobinuria Paroxística Nocturna de España, queremos dar visibilidad a esta enfermedad rara a través de la campaña "Desenmascara la HPN".

A través de nuestro programa "**acERca**" y campañas como "**Hoy Puedes Normalizarla**", buscamos sensibilizar a los pacientes sobre la importancia de un buen control de su enfermedad y ofrecer soluciones que respondan a sus necesidades.

Porque es el momento de "Desenmascarar la HPN" y de dar voz a quienes conviven con esta enfermedad rara para que puedan tener más conocimiento, más control y más calidad de vida. Porque una vida con síntomas no es una vida normal. ¡Haz tuyos estos mensajes y súmate a nuestra campaña! Aquí te explicamos cómo: www.sobi.es

NP-44633 (Octubre de 2025)



EN COLABORACION CON
NP-44633 (Octubre de 2025)



Referencias

1. Ueda Y, Obara N, Ueno S, et al. *Annals of Hematology*. 2025;104:3575-3584.
2. Hill A, DeZern AE, Kinoshita T, Brodsky RA. *Nat Rev Dis Primers*. 2017;3:17028.
3. Parker C, Omine M, Richards S, Nishimura J, Bessler M, Ware R, et al. *Blood*. 2005;106(12):3699-709.
4. Peffault de Latour. *Seminars in Hematology* 59 (2022) 38–46.
5. Schrezenmeier H, et al. *Annals of Hematology* 2020;99:1514.
6. Morado M, Subirá D, López Rubio M. *Med Clin (Barc)*. 2010;134(8):369–74.
7. Risitano AM, Peffault de Latour R. *Br J Haematol*. 2022 Jan;196(2):288-303.
8. Meyers G, Weitz I, Lamy T, et al. *Blood* 2007;110:3683.
9. Hillmen P, Elebute M, Kelly R, et al. *Am J Hematol* 2010;85:553-9.
10. Mitchell R, Salkeld E, Chisolm S, et al. *SM Clin Med Oncol* 2017;1:1001.
11. Hill A, Kelly RJ & Hillmen P. *Blood* 2013;121:4985-96.
12. Devalet B, Mullier F, Chatelain B, Dogné JM, Chatelain C. *J Extracell Vesicles*. 2014 Mar 24;3:23304.
13. Hillmen P, Lewis SM, Bessler M, et al. *N Engl J Med*. 1995;333:1253-1258.
14. Nishimura J, Kanakura Y, Ware RE, et al. *Medicine (Baltimore)* 2004;83:193-207.
15. Fishman J, Min J, Arnett L, et al. *Blood*. 2023;142(Suppl 1):5637.
16. Oliva EN, Risitano AM, Di Bona E, et al. *Blood*. 2024;144(Suppl 1):2321.
17. Kokoris SI, Gavriilaki E, Miari A, et al. *Hematology* 2018;23:558-66.
18. Hill A, Rother RP, Wang X, et al. *Br J Haematol*. 2010 May;149(3):414-425.
19. Socié G, Schrezenmeier H, Muus P, et al. *try. Intern Med J* 2016;46:1044-53.
20. Kanakura Y, Kinoshita T & Nishimura J. 2017. Tokyo: Springer Japan.
21. Bektas M, Copley-Merriman C, Khan S, et al. *J Manag Care Spec Pharm*. 2020;26(12-b):S8-S14.
22. Reyes A, entrevistada en: Swedish Orphan Biovitrum (Sobi). Revelando lo invisible: un día con una paciente de HPN [video]. 2023 Oct. Disponible en: <https://www.sobi.com/spain/es/te-inspiramos/revelando-lo-invisible>. (Último acceso: octubre 2025).



EN COLABORACION CON
NP-44633 (Octubre de 2025)
acERca
las Enfermedades Raras

