Manifiesto

DESENMASCARA
la Hemoglobinuria Paroxística Nocturna **(HPN)**



- **El 80% de las personas con HPN muestra preocupación por causar inconvenientes a otras personas de su entorno[1].**

- **Para el 56,7% de las personas con HPN, la enfermedad impacta en su trabajo o estudios[1].**

- **El 53,3% de las personas con HPN tiene limitaciones en las actividades personales y sociales[1].**

- **Hasta el 50% de las personas con HPN tiene limitaciones para poder realizar actividad física[1].**

sobi rare strength

EN COLABORACION CON
NP-54797 (Octubre de 2026)
acERca las Enfermedades Raras

HPN HEMATOLOGÍAS RARAS

feder

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 destruirlos[2].

La HPN se puede manifestar a cualquier edad, aunque es más frecuente que aparezca entre los 30 y 40 años de edad[4], 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 habitantes[6].

¿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].

sobi rare strength

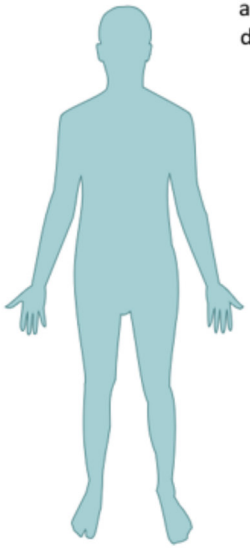
EN COLABORACION CON
NP-54797 (Octubre de 2026)
acERca las Enfermedades Raras

HPN HEMATOLOGÍA PARA PADRES

feder

El valor de los cuidados

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



Hasta un 96%

Fatiga[8]: puede llegar a afectar hasta un 96% de los pacientes con HPN. La fatiga o cansancio extremo está relacionado con la anemia.

Hasta un 41%

Disfagia[8]
Dificultad para tragar

Hasta un 65%

Daño o disfunción renal[9]
Resultado de la hemólisis a largo plazo
Por trombosis microvascular o depósito de hierro

Hasta un 57%

Dolor abdominal[8]

Hasta un 47%

Disfunción eréctil[8]
En algunos casos, la HPN puede afectar la función sexual masculina

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 transfusiones[2].

Hasta un 88%

Disnea[8,10]
Dificultad para respirar

Hasta un 66%

Trombosis[11-13]
Es la formación de trombos o coágulos de sangre, y supone la principal causa de mortalidad entre los pacientes con HPN.

Hasta un 40%

Dolor de espalda[10]

Hasta un 53%

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.

Hasta un 26%

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 pacientes[14-16], 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 pacientes[2].

sobi rare strength

EN COLABORACION CON
NP-54797 (Octubre de 2026)

acERca las Enfermedades Raras

HPN HEMATOLOGÍA RARA

feder

La importancia de normalizar la LDH para controlar la HPN

La LDH (lactato deshidrogenasa) es una enzima que se libera a la sangre cuando los glóbulos rojos se destruyen. En la HPN, unos niveles elevados de LDH pueden indicar una mayor actividad de la enfermedad. Por eso, alcanzar niveles normales de LDH es una señal importante de que la hemólisis está mejor controlada. Esto se asocia a una menor actividad de la HPN y una reducción del riesgo de algunas complicaciones relacionadas con la HPN. Normalizar la LDH no significa solo mejorar una cifra en una analítica, sino acercarse a un mejor control de la enfermedad y sus consecuencias en el día a día[17-19].

El impacto de la HPN en la vida de los pacientes

La HPN puede limitar la capacidad para llevar a cabo actividades diarias[2], afectando al rendimiento laboral, la interacción social y el bienestar emocional[20]. 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 frustrados[20]. 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 demás[1].
  - Hasta un 76,7% tiene preocupación, ansiedad o miedo[1].

- **Limitaciones en la vida diaria:** la fatiga y la anemia pueden dificultar las actividades cotidianas[1].
  - 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.

'Desenmascara la HPN 2026: el valor de los cuidados

En este contexto, el papel del cuidador —tanto formal como informal— resulta fundamental. Los cuidadores contribuyen de manera decisiva a la mejora de la gestión de la enfermedad, a la monitorización de los síntomas y a la continuidad asistencial. Sin embargo, esta función se asocia frecuentemente con una carga física y emocional significativa, lo que hace necesario reconocer su rol e implementar medidas específicas de apoyo, prevención de la sobrecarga y acompañamiento psicosocial[21].

Paralelamente, el autocuidado del paciente es un pilar esencial en el manejo de la HPN. La identificación precoz de síntomas, la gestión de la propia enfermedad y el desarrollo de estrategias de afrontamiento adecuadas se asocian con una mejor evolución clínica y una reducción del impacto de la enfermedad. Para que este autocuidado sea efectivo, resulta imprescindible promover la alfabetización en salud, facilitar el acceso a información rigurosa y reforzar la relación con los profesionales sanitarios[22,23].

sobi rare strength
EN COLABORACION CON
NP-54797 (Octubre de 2026)
acERca las Enfermedades Raras
HPN HEMATOLOGÍA RARA
feder FEDERACIÓN ESPAÑOLA DE ENFERMEDADES RARAS

El fortalecimiento de los cuidados exige, además, un enfoque de corresponsabilidad. Pacientes, cuidadores, profesionales sanitarios, profesionales psicosociales e instituciones pueden colaborar de manera coordinada para garantizar una atención continua, multidisciplinar y centrada en las necesidades reales de las personas afectadas[24].

Así, 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**.

Coincidiendo con el Día Mundial de la HPN, la compañía biofarmacéutica especializada en enfermedades raras Sobi, en colaboración con la asociación de pacientes HPNE y la Federación Española de Enfermedades Raras, FEDER, distribuimos este manifiesto con el fin de "desenmascarar" la realidad de la HPN y poner de relevancia la importancia de los cuidados.
Porque es el momento de que el conjunto de la sociedad trabaje unido para mejorar la vida de las personas afectadas por enfermedades poco frecuentes, poniendo el acento en la importancia de los cuidados.

Porque es el momento de "Desenmascarar la HPN" para reducir el impacto psicológico, social y laboral y mejorar la salud de las personas con HPN.

¡Haz tuyos estos mensajes y súmate a nuestra campaña!
Aquí te explicamos cómo: **www.sobi.es**.

NP-54797 (Octubre de 2026)

sobi rare strength
EN COLABORACION CON
NP-54797 (Octubre de 2026)
acERca las Enfermedades Raras
HPN HEMATOLOGÍA RARA
feder

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. Brodsky RA. Paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. Blood. 2014;124(18):2804-2811.
18. Schrezenmeier H, Muus P, Socié G, Szer J, Urbano-Ispizua A, Maciejewski JP, et al. Baseline characteristics and disease burden in patients in the International Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria Registry. Haematologica. 2014;99(5):922-929.
19. Lee JW, Jang JH, Kim JS, Yoon SS, Lee JH, Kim YK, et al. Clinical signs and symptoms associated with increased risk for thrombosis in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria from a Korean Registry. Int J Hematol. 2013;97(6):749-757.
20. Bektas M, Copley-Merriman C, Khan S, et al. J Manag Care Spec Pharm. 2020;26(12-b):S8-S14.
21. Sandilands K, Williams A, Rylands AJ. Carer burden in rare inherited diseases: a literature review and conceptual model. Orphanet J Rare Dis. 2022;17(1):428. doi:10.1186/s13023-022-02561-w.
22. Huang Y, Li S, Lu X, Chen W, Zhang Y. The effect of self-management on patients with chronic diseases: a systematic review and meta-analysis. Healthcare (Basel). 2024;12(21):2151. doi:10.3390/healthcare12212151.
23. Stenberg U, Westfal L, Dybesland Rosenberger A, Ørstavik K, Flink M, Holmen H, et al. A scoping review of health literacy in rare disorders: key issues and research directions. Orphanet J Rare Dis. 2024;19(1):328. doi:10.1186/s13023-024-03332-5.
24. Walton H, Hudson E, Simpson A, Ramsay AIG, Kai J, Morris S, Sutcliffe AG, Fulop NJ. Defining coordinated care for people with rare conditions: a scoping review. Int J Integr Care. 2020;20(2):14. doi:10.5334/ijic.5464.

sobi rare strength

EN COLABORACION CON
NP-54797 (Octubre de 2026)
acERca las Enfermedades Raras

HPN HEMATOLOGÍA RARA

feder