

Abordaje terapéutico y carga de la enfermedad  
Image



## Abordaje terapéutico y carga de la enfermedad

El principal objetivo del tratamiento de la HPN debe de ser reducir la hemólisis y minimizar el riesgo de complicaciones dado el impacto sistémico de la enfermedad<sup>1</sup>

**A pesar de los tratamientos actuales, las manifestaciones clínicas de la HPN pueden persistir<sup>2,3</sup>**

Algunos pacientes siguen experimentando anemia, fatiga, necesidad de transfusiones, y deterioro de su calidad de vida, a pesar del tratamiento con inhibidores de C5<sup>4</sup>.

Image



Los niveles de Hb > 12 g/dL en mujeres y > 13 g/dL en hombres se consideran normales<sup>5</sup>.

Los niveles de hemoglobina sistemáticamente por debajo de 12 g/dL a lo largo del tiempo pueden significar que la HPN no está bien controlada<sup>6</sup>.

Image



Hasta el **82%** de los pacientes con HPN tratados con inhibidores de C5 **no alcanzan niveles normales de hemoglobina y siguen presentando anemia**\*<sup>7</sup>.

Image



Hasta el **39%** de los pacientes con HPN siguen dependiendo de las transfusiones debido a la hemólisis continua, que causa una anemia persistente<sup>8</sup>.

Image



El **75%-89%** de los pacientes con HPN tratados con inhibidores de C5 padecen fatiga, el

síntoma considerado como más discapacitante en esta enfermedad\*\*<sup>3,9</sup>.

Image



Los síntomas de la HPN pueden tener un **impacto negativo en la calidad de vida** de los pacientes<sup>3</sup>.

La anemia persistente puede atribuirse a diversos factores:

Image



La causa principal es la aparición de HEV (presente en hasta el 50% de los pacientes) como consecuencia de la inhibición del complemento terminal<sup>10-13</sup>.

Image



HIV residual farmacocinética o farmacodinámica por una inhibición incompleta o subóptima de C5, que puede provocar episodios agudos de hemólisis<sup>14</sup>.

Image



Las **infecciones** o la **inflamación** provocan una fuerte activación del complemento y pueden causar hemólisis en brecha<sup>14</sup>.

Image



El **fallo de la médula** ósea también está implicado en la hemólisis<sup>15</sup>.

Una mejora en los niveles de hemoglobina se asocia con mejoras significativas en la fatiga, lo que a su vez se asocia con una mejora de la función física, emocional y bienestar general<sup>16</sup>.

Image

---

## **Los pacientes continúan experimentando una carga considerable de la enfermedad<sup>4</sup>**

Los pacientes tratados con inhibidores de C5 padecen las consecuencias **asociadas a la necesidad de infusiones** continuas de los tratamientos<sup>4</sup>:

Image



Teniendo que adaptar su vida alrededor de las infusiones<sup>4</sup>.

Image



La programación continua de infusiones afecta a la vida personal y laboral de los pacientes y reduce significativamente su calidad de vida<sup>4</sup>.

Image

---

\*Estudio retrospectivo en vida real que describe patrones de tratamiento y cambios en los resultados de monitorización hematológica en pacientes en EEUU tratados con inhibidores de C5. El 50-82% de los pacientes continuaban anémicos a los 12 meses, con niveles de Hb por debajo del límite normal (12 g/dL).

\*\*Estudio transversal que encuestó a 122 pacientes en EE.UU. en tratamiento para la HPN con anticuerpos monoclonales dirigidos a C5, eculizumab o ravulizumab. EL síntoma más común reportado fue la fatiga (eculizumab: 88,6%; n=31/35; ravulizumab: 74,4%; n=65/87).

**EE.UU:** Estados Unidos; **HPN:** hemoglobinuria paroxística nocturna; **LDH:** lactato deshidrogenasa.

## Referencias

1. Villegas A, *et al.* Consenso español para el diagnóstico y tratamiento de la hemoglobinuria paroxística nocturna. *Med Clin (Barc)*. 2016;146(6):278.e1-278.e7.
2. Risitano AM, *et al.* Complement fraction 3 binding on erythrocytes as additional mechanism of disease in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria patients treated by eculizumab. *Blood*. 2009 Apr 23;113(17):4094-100.
3. Dingli D, *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 Feb;101(2):251-263.
4. Bektas M, *et al.* Paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: current treatments and unmet needs. *J Manag Care Spec Pharm*. 2020 Dec;26(12-b Suppl):S14-S20.
5. Cappellini MD, Motta I. Anemia in Clinical Practice-Definition and Classification: Does Hemoglobin Change With Aging? *Semin Hematol*. 2015 Oct;52(4):261-9.
6. Peffault de Latour R, *et al.* Paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: natural history of disease subcategories. *Blood*. 2008 Oct 15;112(8):3099-106.
7. Fishman J, *et al.* Changes in Hematologic Lab Measures Observed in Patients with

Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria Treated with C5 Inhibitors, Ravulizumab and Eculizumab: Real-World Evidence from a US Based EMR Network. *Hematol Rep.* 2023 Apr 21;15(2):266-282.

8. Debureau P-E, et al. Categorizing hematological response to eculizumab in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: a multicenter real-life study. *Bone Marrow Transplant.* 2021 Oct;56(10):2600-2602.
9. Young NS, et al. The management of paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: recent advances in diagnosis and treatment and new hope for patients. *Semin Hematol.* 2009 Jan;46(1 Suppl 1):S1-S16.
10. Risitano AM, et al. Anti-complement treatment for Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria: Time for Proximal Complement Inhibition? A Position Paper From the SAAWP of the EBMT. *Front Immunol.* 2019 Jun 14;10:1157.
11. Shammo J, et al. P796: Hospitalization in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria: a retrospective analysis of observational study data from the United States. *Hemasphere.* 2023 Aug 8;7(Suppl):e22585a2.
12. Levy AR, et al. Comparison of Lost Productivity Due to Eculizumab and Ravulizumab Treatments for Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria in France, Germany, Italy, Russia, Spain, the United Kingdom, and the United States. *Blood* (2019) 134 (Supplement\_1): 4803.
13. Brodsky RA. Paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. *Blood.* 2014 Oct 30;124(18):2804-11.
14. Notaro R, Luzzatto L. Breakthrough Hemolysis in PNH with Proximal or Terminal Complement Inhibition. *N Engl J Med.* 2022 Jul 14;387(2):160-166.
15. Kelly R, et al. The pathophysiology of paroxysmal nocturnal hemoglobinuria and treatment with eculizumab. *Ther Clin RiskManag.* 2009;5:911-21.
16. Cella D, et al. The longitudinal relationship of hemoglobin, fatigue and quality of life in anemic cancer patients: results from five randomized clinical trials. *Ann Oncol.* 2004 Jun;15(6):979-86.

---

**Source URL:**

<https://www.pro.novartis.com/es-es/hematopro/patologias/hemoglobinuria-paroxistica-nocturna/todo-sobre-hpn/abordaje-terapeutico-y>