

**SALUD:**

# Hemoglobinuria Paroxística Nocturna (HPN), desafíos de una patología poco conocida

La HPN es una enfermedad poco frecuente y mortal que afecta tanto a hombres como a mujeres. En la actualidad, con tratamiento, los pacientes pueden hacer una vida normal.

En octubre se conmemora el Día Mundial y el Día Iberoamericano de la Hemoglobinuria Paroxística Nocturna (HPN), una enfermedad poco frecuente, que se presenta en hombres y mujeres de cualquier edad y que sin un tratamiento adecuado es mortal. Tiene una incidencia de uno cada un millón de personas por año por lo que en Chile se debiesen diagnosticar unos 20 pacientes nuevos anualmente.

A modo general, la enfermedad consiste en una hemólisis constante, esto significa que los glóbulos rojos se rompen en los vasos sanguíneos, lo que lleva al paciente a presentar anemia, tinte pálido amarillento en su piel, orinas oscuras (hemoglobinuria), sensación de fatiga, ahogo y dolor abdominal. Estos síntomas afectan la calidad de vida de los pacientes, pero, sin duda, la complicación más temida de la enfermedad es la trombosis, que puede ser catastrófica y explica la muerte de la mayoría de los pacientes.

El Dr. Miguel López, hematólogo del Instituto Nacional del Cáncer y Clínica Alemana, especialista en

trasplante de médula ósea, explica que la HPN es una enfermedad de las células madre de la sangre donde estas adquieren una mutación genética que les impide a las células sanguíneas defenderse contra proteínas del complemento, lo cual hace que los glóbulos rojos se rompan de manera constante provocando los síntomas y complicaciones antes descritos.

**TRATAMIENTOS**

El diagnóstico de la HPN se realiza por citometría de flujo y las personas que reciben los tratamientos adecuados pueden llevar una vida normal. "Esta es una enfermedad mortal. Sin tratamiento fallece la mitad de los pacientes a los cinco años del diagnóstico. Se debe destacar que desde el año 2006 están disponibles tratamientos que permiten que los pacientes no tengan hemólisis y con esto se evitan las complicaciones derivadas de la enfermedad", destaca el Dr. López.

Debido a estos tratamientos, la sobrevida de los pacientes con HPN ha pasado a ser de 50% a 97,5% a cinco años y, además, logran



Fatiga, dolor abdominal y orina oscura son algunos de los síntomas que tienen las personas que sufren HPN.



Dr. Miguel López, hematólogo del Instituto Nacional del Cáncer y Clínica Alemana, especialista en trasplante de médula ósea.

recuperar una muy buena calidad de vida.

**CHILE**

Si bien en nuestro país desde hace unos 10 años se usan estos tratamientos para combatir la HPN, el acceso enfrenta varias dificultades. Por ejemplo, existen pocos especialistas que conozcan la enfermedad, por lo que su sospecha es escasa, lo cual conlleva a un subdiagnóstico. "En Chile existen pacientes

con hemólisis por HPN que no tienen hecho el diagnóstico", refiere el Dr. Miguel López.

La otra dificultad es el acceso a los tratamientos. "El gran desafío que tenemos como país es garantizar el acceso de todos los pacientes con HPN al tratamiento adecuado. Son terapias de alto costo, pero altamente efectivas. Debemos, como sociedad, encontrar los

mecanismos que permitan financiar el acceso", acota el especialista.

"Por ello, es clave establecer mesas de diálogo y conversaciones con las autoridades de salud para abordar esta problemática y que los médicos hematólogos enseñen además en las distintas facultades de Medicina del país que existe esta patología", concluye.