

Precisamos falar sobre a HPN



A Hemoglobinúria Paroxística Noturna (HPN) é uma doença rara, complexa e marcada por desafios importantes no acompanhamento clínico e no controle abrangente dos pacientes.

Embora o avanço dos inibidores de C5 (iC5) tenha transformado o tratamento da doença nas últimas décadas, **ainda persistem questões relevantes** relacionadas à anemia residual, fadiga, necessidade transfusional e impacto na qualidade de vida, mesmo em pacientes considerados controlados sob parâmetros tradicionais.

Por isso, especialistas têm ampliado a discussão sobre novos objetivos terapêuticos na HPN, incorporando **desfechos mais centrados no paciente e na restauração hematológica**.^{1,2}

Entre os parâmetros que ganham destaque nesse novo cenário estão: ¹⁻³

Normalização da hemoglobina (Hb \geq 12 g/dL)

Representa restauração hematológica, não apenas “redução de hemólise”.

Contagem absoluta de reticulócitos (\leq 150.000/ μ L)

Indica cessação do estresse eritropoiético e melhor controle da hemólise extravascular. É um dos discriminadores entre resposta completa/ maior e respostas subótimas nas categorias propostas.

LDH \leq 1,5 \times LSN

Continua essencial como marcador de hemólise intravascular e atua como parâmetro de segurança no tratamento da HPN.

Independência transfusional

Um dos parâmetros essenciais no controle abrangente da HPN e da qualidade de vida dos pacientes. Indica redução de hemólise extravascular.

Fadiga como desfecho centrado no paciente

A fadiga é um dos sintomas mais incapacitantes e persistentes da HPN, mesmo em pacientes em uso de iC5. Deve ganhar destaque entre as metas terapêuticas e no controle abrangente da doença.

Nesse contexto, dados recentes publicados no New England Journal of Medicine trouxeram evidências relevantes sobre o uso da iptacopana oral em monoterapia em pacientes com HPN, demonstrando melhora de parâmetros hematológicos importantes, incluindo níveis de hemoglobina e independência transfusional.¹

Vamos juntos ampliar a discussão sobre o controle abrangente e restauração funcional na HPN?

A evolução do manejo da HPN reforça a importância de revisitar metas terapêuticas, acompanhar desfechos clínicos além do LDH e manter o foco em qualidade de vida, funcionalidade e resposta hematológica consistente.¹⁻³

Referências:

1. Peffault de Latour R et al. Oral Iptacopan Monotherapy in Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria. N Engl J Med. 2024 Mar 14;390(11):994-1008.
2. Oliver M, Patriquin CJ. Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria: Current Management, Unmet Needs, and Recommendations. J Blood Med. 2023;14:613-628.
3. Hill A, DeZern AE, Kinoshita T, Brodsky RA. Paroxysmal nocturnal haemoglobinuria. Nat Rev Dis Primers. 2017;3:17028.



Novartis Biociências S.A.
Av. Prof. Vicente Rao, 90 - São Paulo, SP - CEP 04636-000
www.novartis.com.br | www.portal.novartis.com.br

Material destinado aos profissionais habilitados a prescrever e/ou dispensar medicamentos.
Direitos reservados © – Novartis Biociências S.A. Proibida a reprodução total ou parcial sem a autorização do titular. BR-38836.

SIC - Serviço de Informações ao Cliente 0800 888 3003 sic.novartis@novartis.com
Para reportar um evento adverso entre em contato por meio do Serviço de Informações ao Cliente (SIC) sic.novartis@novartis.com ou 0800 888 3003