

Sanofi Genzyme pone de relieve la importancia del diagnóstico precoz de la PTTa para la supervivencia del paciente

- La campaña #PúrpuraATiempo pretende formar e informar sobre la Púrpura Trombocitopénica Trombótica adquirida (PTTa) a los profesionales implicados en el diagnóstico, tratamiento y seguimiento de la patología, para que puedan detectarla y abordarla lo más rápido posible
- La PTTa es una enfermedad hematológica rara que sin tratamiento puede llevar a la muerte al 90% de los pacientes, a menudo antes de las primeras 24h^{1,2}
- Un diagnóstico y tratamiento a tiempo pueden ayudar a prevenir el elevado riesgo de muertes tempranas y evitables, y a reducir las secuelas posteriores^{3,4}

Barcelona, 3 de noviembre de 2021. Se calcula que, en **España, más de 200 personas padecen un episodio agudo de Púrpura Trombocitopénica Trombótica adquirida (PTTa) cada año⁵.** Unos episodios que son considerados emergencias médicas porque su **curso natural sin tratamiento lleva a la muerte al 90% de los pacientes, a menudo antes de las primeras 24h^{1,2}.** Por este motivo, el **diagnóstico y tratamiento precoces de esta enfermedad hematológica rara resultan cruciales** para salvar la vida de quienes la padecen y reducir las posibles secuelas posteriores^{3,4}.

Sin embargo, actualmente **la detección de esta enfermedad representa un reto asistencial:** primero, por la falta de experiencia de los profesionales médicos al ser tan poco frecuente, y segundo, porque cuando el paciente llega a urgencias presenta un cuadro de síntomas inespecíficos, que resulta complejo y difícil de reconocer. Así lo explica el **Dr. Pascual Piñera-Salmerón, jefe del Servicio de Urgencias del Hospital General Universitario Reina Sofía de Murcia:** *“Es fundamental que los urgenciólogos sepamos reconocer la enfermedad y sus síntomas rápidamente para poder derivar lo antes posible el paciente al servicio de hematología y no perder un tiempo vital”.* Para el experto, el objetivo es *“no perder a ningún paciente”.* Sobre todo, teniendo en cuenta que *“son tan pocos casos que no se nos puede escapar ninguno sin diagnosticar”.*

#PúrpuraATiempo: Cada minuto cuenta para salvar vidas

Ante este contexto, **Sanofi Genzyme** ha lanzado **#PúrpuraATiempo**, una campaña de concienciación online que tiene como objetivo formar e informar sobre la Púrpura Trombocitopénica Trombótica adquirida a todos aquellos **profesionales sanitarios que juegan un papel clave** en el diagnóstico, tratamiento y seguimiento de la enfermedad. Pone especial atención en la labor fundamental de los **servicios de urgencias, hematología y farmacia hospitalaria**, para que puedan detectar y abordar la PTTa lo más rápido posible. Es por ello por lo que, por una parte, identifica sus señales y síntomas y, por

otra, subraya la relevancia del tiempo de diagnóstico para la supervivencia de los pacientes. Una supervivencia por la que #PúrpuraATiempo también pone de manifiesto que resulta primordial la **buena coordinación entre los especialistas** mencionados (urgenciólogos, hematólogos y farmacéuticos hospitalarios) desde el momento en el que se detecta la patología, con el fin de no perder un tiempo muy valioso.

“Es fundamental trabajar de forma conjunta con los otros especialistas involucrados en la PTTa. Los urgenciólogos deben reconocer la enfermedad para, así, derivar correctamente el paciente a hematología con el objetivo de que active la pauta de tratamiento adecuada y farmacia hospitalaria pueda tramitar la prescripción rápidamente”, apunta la **Dra. Cristina Pascual Izquierdo, tesorera de la Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia (SEHH) y especialista en Hematología y Hemoterapia en el Hospital Gregorio Marañón de Madrid.** A lo que el jefe del Servicio de Farmacia Hospitalaria del Hospital Clínico San Carlos de Madrid, el **Dr. José Manuel Martínez-Sesmero,** añade: *“Con un equipo multidisciplinar bien organizado y coordinado, el paciente puede tener el mejor tratamiento en el menor tiempo posible y se pueden evitar muchas muertes tempranas a causa de la PTTa”.*

La PTTa, una emergencia médica

La Dra. Cristina Pascual Izquierdo, el Dr. Pascual Piñera-Salmerón y el Dr. José Manuel Martínez Sesmero ahondaron en los **retos y necesidades actuales de la Púrpura Trombocitopénica Trombótica adquirida en el marco de la mesa redonda ‘La PTTa, una emergencia médica’**, punto de partida de #PúrpuraATiempo. Además de poner el foco en la perspectiva multidisciplinar de las especialidades más implicadas en el diagnóstico y tratamiento de este trastorno hematológico poco frecuente, los tres expertos también trataron los **avances recientes** en la concienciación y conocimiento de la Púrpura Trombocitopénica Trombótica adquirida entre la comunidad sanitaria y la consiguiente repercusión positiva que esto tiene en el paciente.

En este sentido, explicaron que recientemente se ha publicado el consenso *“Recomendaciones para el abordaje clínico de pacientes con púrpura trombocitopénica trombótica”.* Se trata de una **guía nacional de abordaje de la patología** en la que la **Dra. Pascual Izquierdo** participó activamente y de la cual destacó su objetivo: *“Actualizar los avances en el diagnóstico, manejo y tratamiento de la PTTa que abarcaran a todos los grupos de edad, para así tener un mayor grado de seguridad a la hora de actuar”.*

El compromiso de Sanofi Genzyme con las enfermedades raras

La campaña #PúrpuraATiempo forma parte del **compromiso que Sanofi Genzyme tiene desde hace más de 35 años** con los pacientes con enfermedades raras (EERR) y la comunidad médica relacionada con ellas. La Compañía apuesta por el desarrollo de nuevas opciones terapéuticas y contribuye a mejorar el diagnóstico y abordaje de patologías poco frecuentes a través de diferentes vías, como impulsando el conocimiento y la formación a los profesionales sanitarios.

En España se estima que hay hasta tres millones de personas (entre el 6 y el 8% de la población)⁶ que conviven con alguna ER. Un colectivo de pacientes por los que Sanofi Genzyme lleva casi cuatro décadas desafiando los límites de la medicina y la tecnología para investigar y desarrollar terapias novedosas que permitan mejorar su calidad de vida. Y es que la Compañía cree firmemente que las personas afectadas por patologías minoritarias tienen el mismo derecho a recibir tratamientos innovadores que aquellas que padecen afecciones de mayor prevalencia. Tanto es así que **es considerada pionera en este ámbito**.

Más allá de su compromiso científico y médico, Sanofi Genzyme también se ha **implicado desde el principio en el plano social y humano** de las EERR, acompañando y apoyando a las personas que conviven con algún trastorno de baja prevalencia y a su entorno. Una labor que lleva a cabo en colaboración con las **asociaciones de pacientes** y que incluye el fomento de la concienciación social sobre las patologías minoritarias y su visibilización.

Acerca de Sanofi

En Sanofi nos dedicamos a apoyar a las personas en sus problemas de salud. Somos una empresa biofarmacéutica global centrada en salud humana. Prevenimos enfermedades gracias a las vacunas y proporcionamos tratamientos innovadores para combatir el dolor y reducir el sufrimiento. Acompañamos tanto a los pocos que padecen enfermedades raras como a los millones de personas que viven con patologías crónicas.

Con más de 100.000 personas en 100 países, Sanofi está transformando la innovación científica en soluciones para la salud de las personas de todo el mundo.

Sanofi, *Empowering Life*

Contactos de prensa:

Miriam Gifre

681 268 098

Miriam.Gifre@sanofi.com

Maria Liria

662 407 184

Maria.Liria@hkstrategies.com

Declaraciones prospectivas de Sanofi

Este comunicado de prensa contiene declaraciones prospectivas como se define en la Ley de Reforma de Litigios sobre Valores Privados de 1995, y sus enmiendas. Las declaraciones prospectivas son declaraciones que no son hechos históricos. Estas declaraciones incluyen proyecciones así como estimaciones y sus suposiciones subyacentes, declaraciones sobre planes, objetivos, intenciones y expectativas con respecto a futuros resultados financieros, eventos, operaciones, servicios, desarrollo de productos y potencial, así como declaraciones referentes al rendimiento futuro. Las declaraciones prospectivas se pueden identificar generalmente mediante palabras como “esperar”, “prever”, “creer”, “pretender”, “estimar”, “planear” y expresiones similares. A pesar de que la dirección de Sanofi cree que las expectativas reflejadas en dichas declaraciones prospectivas son razonables, advierte a los inversionistas que la información y declaraciones prospectivas están sujetas a diferentes riesgos e incertidumbres, muchos de los cuales son difíciles de predecir y están, generalmente, más allá del control de Sanofi, que pudieran causar que los resultados y los desarrollos reales difieran materialmente de los expresados, implicados o proyectados en la información y declaraciones prospectivas. Estos riesgos e incertidumbres incluyen, entre otras cosas, las incertidumbres inherentes a la

investigación y desarrollo, datos y análisis clínicos futuros, incluyendo los posteriores a la comercialización, las decisiones tomadas por las autoridades regulatorias como la FDA o la EMA, acerca de si se autoriza o no y cuándo se autoriza un fármaco, un dispositivo o una aplicación biológica que pueda registrarse para cualquier producto candidato, así como sus decisiones referentes al etiquetado y a otros asuntos que podrían afectar la disponibilidad o la posible comercialización de dichos productos candidatos, la ausencia de garantía de que los productos candidatos, una vez aprobados, tengan éxito en el mercado, la futura aprobación y éxito comercial de alternativas de tratamiento, la capacidad del Grupo para beneficiarse con oportunidades externas de crecimiento, tendencias en tipos de cambio y tasas de interés prevalecientes, el impacto de las políticas de contención de costos y los cambios posteriores a los mismos, el número promedio de acciones en circulación, así como aquellos discutidos o identificados en los archivos públicos del SEC y la AMF elaborados por Sanofi, incluyendo los enlistados en los apartados “Factores de Riesgo” y “Declaración Preventiva Referente a las Declaraciones Prospectivas” del informe anual de Sanofi en el Formulario 20-F para el año concluido el 31 de Diciembre de 2015. Sanofi no se compromete a actualizar, ni a revisar la información, ni las declaraciones prospectivas, a menos que así lo requiera la legislación vigente.

Referencias:

1. Contreras E, de la Rubia J, Del Río-Garma J, et al. Guía diagnóstica y terapéutica de las microangiopatías trombóticas del Grupo Español de Aféresis [Diagnostic and therapeutic guidelines of thrombotic microangiopathies of the Spanish Apheresis Group]. Med Clin (Barc). 2015;144(7):331.e1-331.e13.doi:10.1016/j.medcli.2014.09.013 <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/25433791/> (Último acceso: octubre 2021).
2. Mingot Castellano ME, Pascual Izquierdo C, González A, Viejo Llorente A, Valcarcel Ferreiras D, Sebastián E, García Candel F, Sarmiento Palao H, Gómez Seguí I, de la Rubia J, Cid J, Martínez Nieto J, Hernández Mateo L, Goterris Vicedo R, Fidalgo T, Salinas R, Del Río-Garma J; Grupo Español de Aféresis (GEA). Recommendations for the diagnosis and treatment of patients with thrombotic thrombocytopenic purpura. Med Clin (Barc). 2021 Jul 12:S0025-7753(21)00332-8. English, Spanish. doi: 10.1016/j.medcli.2021.03.040. Epub ahead of print. PMID: 34266669.
3. Orphanet. Acquired thrombotic thrombocytopenic purpura [online - actualización noviembre 2020]. https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/Disease_Search.php?lng=EN&data_id=12423 Último acceso: octubre 2021
4. Scully M, Hunt BJ, Benjamin S, et al. Guidelines on the diagnosis and management of thrombotic thrombocytopenic purpura and other thrombotic microangiopathies. Br J Haematol.2012;158(3):323-335.doi:10.1111/j.1365-2141.2012.09167.x <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/22624596/> (Último acceso: octubre 2021)
5. Pascual-Izquierdo C, Del Río-Garma J, de la Rubia J, et al. Incidence, diagnosis, and outcome of immune-mediated thrombotic thrombocytopenic purpura: A nationwide survey by the Spanish registry of thrombotic thrombocytopenic purpura [published online ahead of print, 2021Mar29].JClinApher.2021;10.1002/jca.21894.doi:10.1002/jca.21894 <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/33780553/> (Último acceso: octubre 2021)
6. Estudio sobre situación de Necesidades. Sociosanitarias de las personas con. Enfermedades Raras en España. Estudio ENSERio. Datos 2016-2017. Disponible en <https://tinyurl.com/89k8h6d4> (Último acceso: octubre 2021)