

LA ENFERMEDAD DREPANOCÍTICA (ED) Y EL TRASPLANTE

Estar más informado sobre su enfermedad y sus opciones de tratamiento puede ayudarlo a tomar decisiones médicas informadas.

Be The Match® puede ayudarlo a entender de qué manera se puede usar el trasplante para tratar la enfermedad drepanocítica (ED).

PARA EMPEZAR, SIGA LEYENDO PARA INFORMARSE SOBRE:

- De qué manera el trasplante puede tratar la ED
- Si el trasplante es lo indicado para usted o su hijo con ED
- De qué manera un médico especialista en trasplantes lo ayuda a decidir si un trasplante es adecuado en su caso
- Preguntas para hacerle al médico
- Los resultados del trasplante para la ED
- Otros tratamientos para la ED
- Cómo tomar decisiones sobre el tratamiento

ACERCA DE LA ENFERMEDAD DREPANOCÍTICA (ED)

La enfermedad drepanocítica es una enfermedad de la hemoglobina. La hemoglobina es una molécula que lleva el oxígeno dentro de los glóbulos rojos. En la ED, una hemoglobina defectuosa hace que los glóbulos rojos se vuelvan rígidos en vez de ser flexibles, y que tomen la forma de una hoz o media luna.

La ED es una enfermedad hereditaria, lo que significa que se pasa de padres a hijos a través de los **genes**. Los genes son las instrucciones que

le indican al organismo cómo fabricar todas las distintas sustancias que necesita el organismo para funcionar correctamente.

En la ED, el niño hereda dos genes de hemoglobina defectuosos (llamados hemoglobina S), uno de cada uno de los padres. Esto hace que el organismo fabrique hemoglobina defectuosa. Si el niño hereda solo un gen defectuoso de hemoglobina S, y el otro gen de hemoglobina es normal (hemoglobina A), entonces tendrá el rasgo falciforme, pero no tendrá ningún síntoma de ED.

Los glóbulos rojos en forma de hoz o media luna pueden quedar atrapados en los vasos sanguíneos pequeños y bloquearlos. Esto impide que los glóbulos rojos y el oxígeno que transportan lleguen a todas las partes del cuerpo. El flujo de sangre bloqueado puede causar dolor intenso y dañar los órganos. Las complicaciones de la ED pueden variar desde cansancio leve hasta síntomas más graves como infarto cerebral, ataque cardíaco, infecciones y crisis de dolor.

En los Estados Unidos, la ED afecta a unas 70,000-100,000 personas. Es más común en los afroamericanos y los hispanos, según el Instituto Nacional del Corazón, la Sangre y el Pulmón (National Heart, Blood and Lung Institute). La anemia drepanocítica, en la cual el paciente heredó dos genes de hemoglobina S, es la forma más común de la enfermedad drepanocítica. Hay variaciones de ED en las cuales el paciente hereda un gen de hemoglobina S con otro problema en la hemoglobina que causa una enfermedad similar a la ED clásica.

DE QUÉ MANERA **EL TRASPLANTE PUEDE TRATAR LA ED**

La única cura conocida para la ED es un trasplante de médula ósea o de sangre de cordón. Sin embargo, el trasplante conlleva riesgos serios y solo se usa en los pacientes con ED grave. El trasplante reemplaza las células formadoras de sangre enfermas con células sanas.

El tipo de trasplante que se usa para tratar la ED es el trasplante **allogénico**. En este tipo de trasplante se usan células formadoras de sangre sanas de un familiar, un donante no relacionado o una unidad de sangre umbilical.

Cuando se hace un trasplante allogénico, el paciente recibe quimioterapia, con o sin radiación, antes del trasplante para preparar el organismo para recibir el tratamiento. Entonces, se infunden las células de reemplazo en el torrente sanguíneo del paciente. Una vez trasplantadas, las células se dirigen hacia la médula ósea, donde comienzan a fabricar glóbulos blancos, glóbulos rojos y plaquetas sanos.

Todo el proceso, desde el inicio de la quimioterapia o radiación hasta el alta del hospital, puede durar desde semanas hasta meses, a lo cual siguen muchos meses de recuperación en el hogar.

Punto clave:

- El trasplante es la única cura para la ED en este momento
- Todos los trasplantes para la ED son allogénicos
- El trasplante solo se usa en pacientes con ED grave

CÓMO SABER SI UN TRASPLANTE LO AYUDARÍA A USTED O A SU HIJO CON ED

El que el trasplante sea adecuado en su caso depende de varias cosas, como su edad, el grado de daño a los órganos y la gravedad de la enfermedad. Un médico especialista en trasplantes puede ayudarlo a decidir si el trasplante es lo indicado para usted o su hijo.

Los médicos recomiendan que los pacientes con ED vean a un médico especialista en trasplantes si la enfermedad es grave. En otras palabras, si el paciente tiene daño generalizado en los órganos y tejidos y crisis de dolor frecuentes.¹ Un médico especialista en trasplantes puede explicar los riesgos y beneficios del trasplante.

Punto clave:

- Pida una remisión a un médico especialista en trasplantes si usted o su hijo tienen ED con daño generalizado en los órganos y tejidos y crisis de dolor frecuentes

DE QUÉ MANERA **UN MÉDICO ESPECIALISTA EN TRASPLANTES LO AYUDA A DECIDIR SI UN TRASPLANTE ES ADECUADO PARA USTED O SU HIJO**

Para averiguar si un trasplante es adecuado para usted o su hijo, el médico especialista en trasplantes realizará un examen físico. El examen incluirá los pulmones, el corazón, el hígado, los riñones y el sistema nervioso. El médico especialista en trasplantes examinará también los antecedentes médicos y el estado actual de la enfermedad de su hijo o suyos.

Usted también se reunirá con otros miembros del equipo de atención médica. Un asistente social u otro profesional se reunirá con usted para hablar sobre sus posibles preocupaciones relacionadas con el trasplante (por ejemplo, emocionales, económicas, relacionadas con el viaje, el alojamiento, su trabajo y/o sus estudios). El asistente social puede ayudarlo a encontrar recursos para recibir apoyo durante el proceso del trasplante.

Punto clave:

- El médico especialista en trasplantes analizará muchos factores y sopesará los riesgos y beneficios del trasplante antes de recomendárselo

- Habrá un asistente social especializado en trasplantes disponible para ayudarlos a usted y a su familia brindándoles apoyo emocional y práctico

PREGUNTAS PARA HACERLE AL MÉDICO

Es importante que haga preguntas para que se sienta cómodo con los tratamientos que los médicos le recomienden y para que así pueda tomar decisiones sobre el tratamiento de su hijo o el suyo. Las preguntas que quizás desee hacerle al médico incluyen:

- ¿Cuáles son las probabilidades de vivir sin síntomas con un trasplante? ¿Y sin un trasplante?
- ¿Cuáles son los riesgos de esperar o probar con otros tratamientos antes de un trasplante?
- ¿Tengo yo (o mi hijo) algún factor de riesgo que pudiera afectar el resultado de un trasplante?
- ¿De qué manera la edad (mía o de mi hijo) influye en los factores de riesgo?
- ¿Cuáles son los posibles efectos secundarios de un trasplante? ¿Cómo pueden reducirse?
- ¿Qué puede decirme sobre la calidad de vida, con o sin trasplante?
- ¿Cómo podría cambiar la calidad de vida con el tiempo, con o sin trasplante?

Punto clave:

- Es importante que pregunte para que entienda qué tratamientos son los indicados para usted o su hijo

LOS RESULTADOS DEL TRASPLANTE PARA LA ED

Los datos sobre los resultados (información sobre cómo les ha ido a los pacientes después de un trasplante) se usan para estimar los resultados del trasplante. Los datos sobre los resultados solo muestran de qué manera les ha ido a otros pacientes como grupo. Esta información no podrá decir con seguridad cómo le irá a usted o a su hijo, en particular. Solo puede darle una idea de cómo

les ha ido a otros pacientes con una enfermedad y un tratamiento similares. No hay dos personas exactamente iguales, y usted o su hijo puede responder al trasplante de manera diferente de otra persona. Pregunte a su médico especialista en trasplantes de qué manera los datos sobre los resultados pueden aplicarse a su situación específica o a la de su hijo. Afortunadamente, los resultados de los trasplantes han continuado mejorando con el tiempo.

Punto clave:

- En general, los resultados de los trasplantes son útiles, pero solo su equipo del trasplante puede decirle cuáles son las probabilidades de que al niño le vaya bien

EL TRATAMIENTO INICIAL DE LA ED

Si bien un trasplante es la única cura conocida para la ED, también se usan otros tratamientos. Los tratamientos pueden incluir medicamentos para reducir el dolor y las infecciones, hidroxiurea y transfusiones de sangre. La hidroxiurea es un medicamento que puede disminuir el número de crisis de dolor por año. También puede hacer que las crisis de dolor sean menos intensas.

También se usan transfusiones de sangre para aumentar la cifra de glóbulos rojos normales en el torrente sanguíneo. Esto puede aliviar el dolor de una crisis drepanocítica y también reducir el riesgo de infarto cerebral en algunos pacientes. Debido a que los glóbulos rojos normales pueden transportar más oxígeno por todo el organismo, las transfusiones contribuyen a reducir el cansancio que sufren muchos pacientes con ED. Sin embargo, las transfusiones repetidas pueden causar problemas médicos graves y, al igual que con cualquier tratamiento, se deben sopesar los riesgos y los beneficios.

CÓMO TOMAR DECISIONES SOBRE EL TRATAMIENTO

Es importante conocer todas las opciones de tratamiento disponibles para que pueda decidir qué es lo mejor para usted o su hijo. Un médico especialista en trasplantes puede ayudarlo a entender los riesgos y los beneficios del trasplante para usted o su hijo. También puede ayudarlo a decidir entre el trasplante y otras opciones de tratamiento para la ED.

OTROS RECURSOS QUE PUEDEN AYUDARLE A OBTENER MÁS INFORMACIÓN

Be The Match cuenta con diversos recursos gratuitos para ayudarlo a informarse sobre el trasplante.

Visite **BeTheMatch.org/patient-learn** y elija los recursos que más se ajusten a sus necesidades. Algunos que podrían resultarle útiles son:

- Webcast: *An Introduction to Marrow and Cord Blood Transplant (Introducción al trasplante de médula ósea y sangre de cordón)* (solo disponible en inglés)
- Folleto: *Transplant Basics (Información Básica Sobre El Trasplante)*
- Panfleto: *Understanding Transplant Outcomes Data (Qué significan los datos sobre los resultados de un trasplante)*

REFERENCIAS

- 1 Howlader N, Noone AM, Krapcho M, Garshell J, Neyman N, Altekruse SF, Kosary CL, Yu M, Ruhl J, Tatalovich Z, Cho H, Mariotto A, Lewis DR, Chen HS, Feuer EJ, Cronin KA (eds). SEER Cancer Statistics Review, 1975-2010, National Cancer Institute. Bethesda, MD, http://seer.cancer.gov/csr/1975_2010/, basado en datos enviados a SEER en noviembre de 2012, publicados en el sitio web de SEER en abril de 2013.
- 2 *Recommended Timing for Transplant Consultation*. Lineamientos desarrollados de forma conjunta por el National Marrow Donor Program/Be The Match y la American Society for Blood and Marrow Transplantation (ASBMT). Disponible en: marrow.org/md-guidelines

La última revisión médica se realizó en 6/2013



EN CADA PASO, ESTAMOS AQUÍ PARA AYUDAR

Al transitar el proceso del trasplante, no estará solo. Be The Match® está listo para ayudar. Ofrecemos muchos programas y recursos gratuitos para apoyar a los pacientes, cuidadores y familiares, antes, durante y después del trasplante.

INFÓRMESE: **BeTheMatch.org/patient**

CORREO ELECTRÓNICO: **pacienteinfo@nmdp.org**

SOLICITE INFORMACIÓN: **BeTheMatch.org/request**

TELÉFONO: **1 (888) 999-6743**

Nuestros programas y recursos ofrecen ayuda en 11 idiomas, e incluyen personal bilingüe en español y traducción en más de 100 idiomas.

VISITA: **BeTheMatch.org/translations**



Para cada persona, la situación médica, la experiencia del trasplante y la recuperación son únicas. Siempre debe consultar a su propio equipo del trasplante o a su médico familiar con respecto a su situación. Esta información no pretende reemplazar, y no debe reemplazar, el criterio médico ni el consejo de un médico.