

Trasplante de médula ósea (células madre) para tratar la enfermedad de células falciformes



Trasplante de médula ósea (células madre) para tratar la enfermedad de células falciformes

Producido por los Departamentos de Hematología, Educación al Paciente y Comunicaciones Biomédicas de St. Jude Children's Research Hospital. Los fondos fueron proporcionados por St. Jude Children's Research Hospital, ALSAC, y un subsidio de Plough Foundation.

Este documento no pretende sustituir el cuidado y la atención de su médico personal. Nuestro objetivo es fomentar la participación activa en su cuidado y tratamiento mediante información y educación. Las preguntas acerca de las preocupaciones de salud individual o sobre opciones de tratamiento determinadas se deben discutir con su médico. Para obtener más información general sobre la enfermedad de células falciformes, por favor visite nuestro sitio web ingresando a www.stjude.org/sicklecell.

Copyright © 2009 St. Jude Children's Research Hospital

¿Cómo comenzaron los trasplantes de médula ósea (células madre) en niños con enfermedad de células falciformes?

Los trasplantes de médula ósea (células madre) han sido utilizados para el tratamiento y cura de diversos tipos de cáncer, enfermedades del sistema inmunológico y enfermedades de la sangre durante muchos años.

Los médicos en los Estados Unidos y en otros países han desarrollado estudios para tratar a niños que padecen la enfermedad aguda de células falciformes con trasplantes de médula ósea (células madre).

2

¿Cómo funciona el trasplante de médula ósea (células madre)?

En una persona con enfermedad de células falciformes la médula ósea produce glóbulos rojos que contienen hemoglobina S. Ésto conduce a las complicaciones de la enfermedad de células falciformes.

- Para preparar la médula ósea (células madre) para un trasplante, se utilizan medicamentos fuertes llamados quimioterapia para debilitar o destruir la propia médula ósea del paciente, sus células madre y el sistema que combate las infecciones.
 - Esto se hace para que el paciente no rechace las nuevas células de la sangre procedentes del donador.

- Luego, la médula ósea del paciente se reemplaza con células madre formadoras de sangre de un donante que no tiene enfermedad de células falciformes.
 - Éste puede ser un donante con hemoglobina normal o rasgo falciforme.
 - El trasplante en sí se hace mediante una transfusión de sangre a través de una sonda intravenosa.
- Luego la nueva médula ósea produce glóbulos rojos que son sanos ya que no contienen una gran cantidad de hemoglobina S.

¿Quién puede donar células madre para trasplantes?

Existen tres tipos principales de donadores de células madre:

- **Compatible con parentesco** – un hermano o hermana con el mismo tipo de médula ósea y la misma madre y padre.
 - Se determina la compatibilidad de hermanos y hermanas mediante exámenes de sangre especiales llamados tipificación de HLA.
- **Compatible sin parentesco** – voluntarios que tienen el mismo tipo de médula ósea del paciente
 - Por lo general, se determina la compatibilidad de estos tipos de donaciones a través de organizaciones nacionales que ligan donantes y pacientes que tienen el mismo tipo de médula ósea.
- **Haploidéntico** – miembros de la familia con compatibilidad media (generalmente una madre o padre)

- Este tipo de donación todavía se considera experimental y sólo debe usarse como parte de un estudio de investigación.

Las células madre se pueden obtener de donantes de médula ósea o sangre periférica (sangre en las venas). En algunos casos, las células madre se toman del cordón umbilical al momento del nacimiento.

¿Cuáles son los beneficios del trasplante de médula ósea (células madre)?

El trasplante de médula ósea (células madre) es el único tratamiento disponible hoy en día que puede curar la enfermedad de células falciformes. Si el trasplante tiene éxito, el paciente se cura de la enfermedad de células falciformes.

- St. Jude Children's Research Hospital fue la primera organización en encontrar la cura para la enfermedad de células falciformes mediante el trasplante de médula ósea.
- En 1982, un paciente de St. Jude padecía de leucemia y enfermedad de células falciformes. Un médico de St. Jude realizó el trasplante utilizando médula ósea donada por el hermano del paciente. El paciente se curó de leucemia y de la enfermedad de células falciformes.
- El doctor escribió sobre este caso en la revista *The New England Journal of Medicine* la cual lo presentó en la 25° Reunión Anual de la Sociedad Americana de Hematología para que otras personas se pudieran beneficiar de la cura.

¿Cuáles son los posibles riesgos de un trasplante?

- **Infecciones** – La quimioterapia reduce los glóbulos blancos, que normalmente combaten y previenen las infecciones.
 - Esto pone al paciente en alto riesgo de contraer infecciones, las cuales pueden ser causadas por bacterias, hongos o virus.
 - Se administran medicamentos para luchar contra estos gérmenes y prevenir estas infecciones. Las infecciones que no responden al tratamiento pueden conducir a la muerte en 5% a 10% de los pacientes.
- **Enfermedad del injerto contra el huésped (EICH)** – Esta reacción se produce cuando las células inmunes del donante (células injertadas) perciben que las células del paciente (células del huésped) son diferentes y luchan contra ellas. Éste puede ser un efecto secundario grave del trasplante.
 - LA EICH ocurre hasta en 10% de los pacientes que se someten a trasplantes compatibles por parentesco. Puede ser mayor en trasplantes que utilizan otro tipo de donantes.
 - Esta condición puede ser grave (ocurrir menos de 100 días después del trasplante) o crónica (ocurrir más de 100 días después del trasplante).
 - Puede causar daños en la piel, el hígado y el tracto intestinal del paciente trasplantado.
 - Se administran fármacos para prevenir o limitar la EICH. Estos medicamentos aumentan el riesgo de infección del paciente. Sin embargo, la EICH que no responde al tratamiento puede conducir a daño de un órgano o incluso la muerte.
- **Rechazo del injerto** – Existe un riesgo cercano al 10% de que la nueva médula ósea de un pariente compatible sea rechazada. La posibilidad de rechazo del injerto es mayor con otros tipos de donantes.

- Esto significa que el paciente no podrá generar glóbulos blancos, glóbulos rojos o plaquetas. Normalmente, el trasplante tendría que repetirse.
- Si no hay más células de donantes, las células madre recolectadas del paciente antes del trasplante pueden ser devueltas al paciente. Esto restaura la médula ósea original del paciente, lo cual significa que la enfermedad de células falciformes regresa.
- **Enfermedad veno-oclusiva (EVO)** – Los vasos sanguíneos que llevan al hígado y pasan a través de éste pueden sufrir daños después de un trasplante de médula ósea. Esto puede ser causado por la quimioterapia y podría conducir a la inflamación y daño hepático severo.
 - Las posibilidades de EVO aguda son aproximadamente 1 en cada 20 casos.
- **Problemas nutricionales** – El estómago y los intestinos son sensibles a la quimioterapia. Puede ocurrir náusea, vómito, úlceras bucales, diarrea y pérdida del apetito.
 - Normalmente, la nutrición debe ser sustentada a través de las venas hasta que los pacientes puedan comer.
- **Recuento bajo de glóbulos rojos** – Mientras que se espera a que las nuevas células madre produzcan glóbulos rojos normales, así como todos los demás tipos de células, el paciente por lo general necesita transfusiones de plaquetas y glóbulos rojos.
- **Preocupaciones sociales y emocionales** – Un trasplante de médula ósea es un reto tanto para el paciente como para los miembros de la familia. La rutina del paciente puede cambiar durante algún tiempo debido a que estará lejos de casa, aislado(a) de la escuela, amigos y familiares.
 - La familia es fundamental para apoyar al niño(a) a través del periodo del trasplante.
 - El tiempo promedio que se permanece en el hospital es de 4 a 6 semanas. Los pacientes que viven fuera de la ciudad deberán permanecer cerca de St. Jude por 100 días o más, dependiendo de su estado de salud después del trasplante.

- **Infertilidad** – La mayoría de los pacientes que reciben un trasplante no podrán tener sus propios hijos a futuro. Este es un (1) posible efecto secundario de los medicamentos que se utilizan en la preparación para el trasplante; sin embargo, han habido pacientes que pudieron concebir después de haber tenido un trasplante.

¿Qué se requiere para un trasplante?

Existen dos requisitos importantes para proceder con un trasplante.

1. El primero es identificar a la persona considerada como el mejor donante. Los exámenes de sangre determinarán quién es más compatible.
2. En segundo lugar, después de seleccionar al mejor donante, tanto el donante como el paciente se someterán a evaluaciones de corazón, pulmones, riñones, etc., previas al trasplante.

Las entrevistas con un psicólogo y un(a) trabajador(a) social también son parte importante del proceso.

¿El trasplante de médula ósea (células madre) es el único tratamiento para la enfermedad de células falciformes?

Es la única cura para la enfermedad de células falciformes en este momento. Los resultados de muchos estudios muestran que los trasplantes de donantes compatibles por parentesco ofrecen alrededor de un 85% de probabilidad de cura. Otras opciones de tratamiento incluyen el

medicamento hidroxiurea y transfusiones crónicas de glóbulos rojos. Estos tratamientos pueden reducir las complicaciones de la enfermedad de células falciformes, pero no curan la enfermedad.

¿Con quién puedo hablar acerca de un trasplante de médula ósea (células madre)?

En St. Jude Children's Research Hospital, contamos con experiencia en el tratamiento de niños con enfermedad de células falciformes mediante el trasplante de médula ósea (células madre). Nuestros médicos y otros expertos en atención de salud pueden responder a sus preguntas. Animamos a las familias a comentar las opciones de tratamiento y a hacer preguntas para aprender más acerca del cuidado de sus hijos(as) con enfermedad de células falciformes.

Notas



**St. Jude Children's
Research Hospital**

ALSAC • Danny Thomas, Founder
Finding cures. Saving children.

Para información sobre cómo hacer un
pedido, comuníquese con:
St. Jude Children's Research Hospital
262 Danny Thomas Place, Mail Stop 800
Memphis, TN 38105-3678
901.595.5684

www.stjude.org/sicklecell