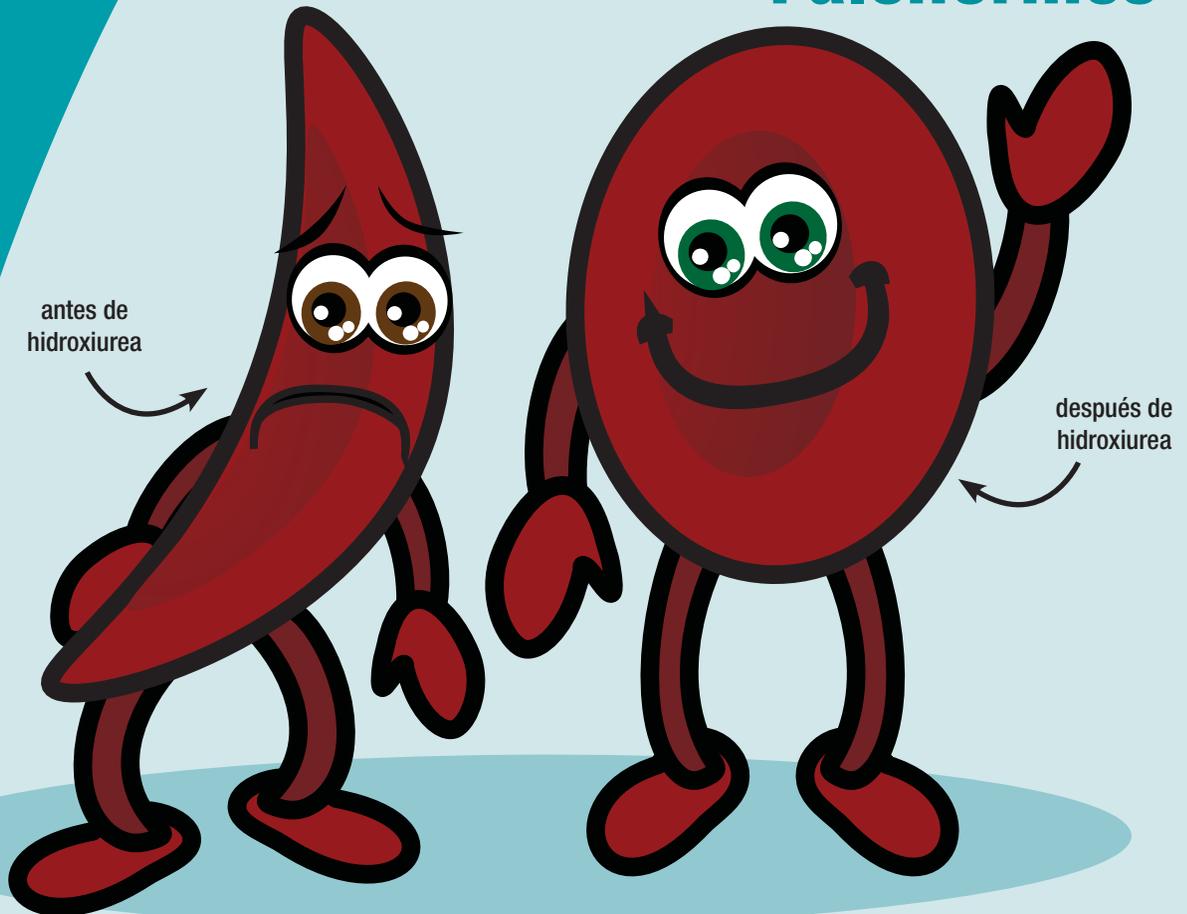


# Tratamiento con Hidroxiurea contra la Enfermedad de Células Falciformes



# Tratamiento con Hidroxiurea contra la Enfermedad de Células Falciformes

Este documento no pretende reemplazar el asesoramiento de un profesional de atención médica capacitado ni de un consejero genético. Nuestro objetivo es promover la participación activa en su cuidado y tratamiento brindando información y educación. Las preguntas sobre asuntos particulares relacionados con la salud o acerca de opciones de tratamientos específicos se deben discutir con su médico.

Copyright © 2008 St. Jude Children's Research Hospital

Este folleto fue producido por St. Jude Children's Research Hospital, Departamentos de Hematología, Educación del Paciente y Comunicaciones Biomédicas.  
St. Jude Children's Research Hospital, ALSAC suministró los fondos y  
Plough Foundation 2008-2011 realizó una donación.

# ¿Qué es la hidroxiurea?

La hidroxiurea es un medicamento que puede ayudar a niños y adultos que padecen la enfermedad de células falciformes.

Los estudios de investigación demuestran que la hidroxiurea disminuye lo siguiente:

- La cantidad de casos de síndrome torácico agudo (neumonía)
- La cantidad de crisis de dolor
- La necesidad de realizar transfusiones de sangre
- La cantidad de viajes al hospital

La hidroxiurea también puede prevenir los daños causados al bazo, los riñones, los pulmones y el cerebro.

La hidroxiurea se suministra por vía oral una (1) vez al día. Tiene una presentación líquida o en cápsulas.

La Dirección de Alimentos y Medicinas de los Estados Unidos (FDA, por sus siglas en inglés) aprobó la hidroxiurea para el tratamiento de adultos que padecen de la enfermedad de células falciformes grave. St. Jude Children's Research Hospital y otros centros médicos han llevado a cabo estudios de investigación que han demostrado la seguridad del tratamiento con hidroxiurea para niños pequeños y bebés que padecen de la enfermedad de células falciformes.

## ¿Qué niños deben tomar hidroxiurea?

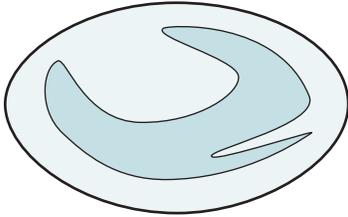
Consideramos que deben tomar hidroxiurea los niños que padecen de la enfermedad de células falciformes que hayan tenido:

- Muchos episodios de dolor,
- Varios casos de síndrome torácico agudo (neumonía),
- Anemia grave, u
- Otros problemas especiales en sus órganos internos.

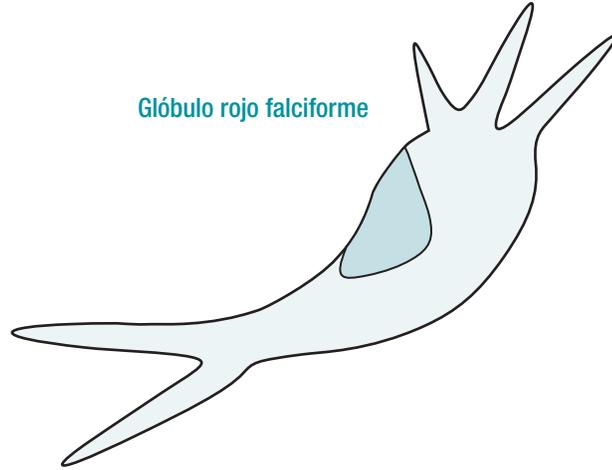
## ¿Cómo funciona la hidroxiurea?

Los glóbulos rojos contienen hemoglobina. La hemoglobina ayuda a los glóbulos rojos a transportar oxígeno desde los pulmones a otras partes del cuerpo. Las personas con una hemoglobina normal tienen principalmente Hemoglobina A en sus glóbulos rojos. Las personas que sufren de la enfermedad de células falciformes tienen principalmente Hemoglobina S (Hb S) o falciforme en sus glóbulos rojos. La Hb S es un tipo anormal de hemoglobina. En las personas que padecen de la enfermedad de células falciformes, la Hb S hace que los glóbulos rojos cambien su forma redonda por una forma de banana o falciforme. Además, la Hb S hace que los glóbulos rojos se vuelvan rígidos y pegajosos. Esto provoca el bloqueo del flujo sanguíneo hacia órganos del cuerpo, músculos y tejidos importantes.

Glóbulo rojo normal



Glóbulo rojo falciforme

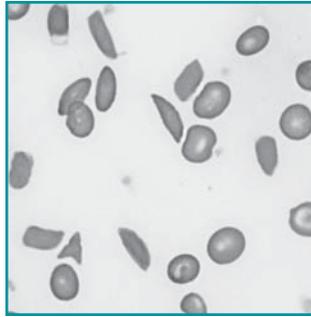


4

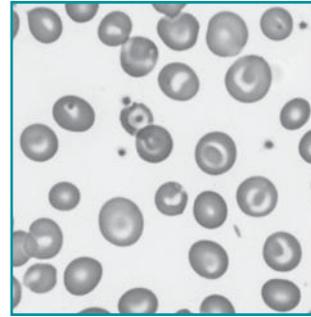
El tratamiento con hidroxiurea ayuda a que los glóbulos rojos permanezcan redondos y flexibles. Esto les permite desplazarse más fácilmente a través de los diminutos vasos sanguíneos. En parte, esto sucede porque la hidroxiurea aumenta la cantidad de hemoglobina fetal (Hb F) en los glóbulos rojos. Los bebés recién nacidos tienen Hb F al nacer.

La Hb F ayuda a protegerlos contra complicaciones causadas por las células falciformes (problemas de salud) durante los primeros meses de vida. Con una mayor cantidad de Hb F, existen menos posibilidades de que los glóbulos rojos adquieran la forma de banana o falciforme. En la mayoría de las personas, la cantidad de Hb F disminuye después de los primeros meses de vida.

Algunas personas tienen más Hb F que otras. Las personas que padecen de la enfermedad de células falciformes y poseen niveles más altos de Hb F generalmente sufren menos complicaciones de la enfermedad.



Células sanguíneas antes de tomar hidroxiurea



Células sanguíneas después de tomar hidroxiurea

## ¿Es la hidroxiurea la cura para la enfermedad de células falciformes?

No. La hidroxiurea no cura la enfermedad de células falciformes. La hidroxiurea puede reducir en gran medida algunas de las complicaciones causadas por la enfermedad. Sin embargo, el medicamento no funciona si no se lo toma según lo indicado. Generalmente, verá resultados u obtendrá beneficios del medicamento varios meses después. Se necesita todo ese tiempo para alcanzar la dosis correcta de hidroxiurea. Es importante recordar que, para obtener buenos resultados, la hidroxiurea debe tomarse todos los días.

## ¿Es la hidroxiurea segura?

Al principio, la hidroxiurea se utilizaba para el tratamiento contra el cáncer. Es un medicamento fuerte. Sin embargo, la dosis de hidroxiurea que se suministra a los niños que padecen de la enfermedad de células falciformes es mucho menor. No se observaron efectos secundarios graves en niños que padecen esta enfermedad. La dosis utilizada en el tratamiento de la enfermedad de células falciformes no provoca los efectos secundarios comunes que se observan en el tratamiento contra el cáncer. No provoca pérdida del cabello, vómitos, debilidad ni pérdida de apetito. Muchos niños que sufren de la enfermedad de células falciformes han tomado hidroxiurea durante varios años sin ningún problema. La hidroxiurea es muy segura cuando es recetada por especialistas médicos con experiencia en la atención de pacientes que padecen la enfermedad de células falciformes.

6

En los niños que padecen la enfermedad de células falciformes, se tarda varios meses para alcanzar la dosis completa de hidroxiurea. Cuando se alcanza la dosis completa, el medicamento debe reducir levemente la cantidad de células sanguíneas del cuerpo. Un tipo de célula sanguínea que se puede reducir es un glóbulo blanco llamado neutrófilo. Los neutrófilos ayudan a combatir las infecciones del cuerpo. Por esta razón, es necesario realizar análisis de sangre mensuales para controlar los recuentos sanguíneos. Si los glóbulos blancos están bajos, se disminuirá la dosis de hidroxiurea.

No se conocen por completo los efectos secundarios provocados por la toma de hidroxiurea durante un largo período de tiempo. En el pasado, era preocupante el posible riesgo de desarrollar cáncer mientras se tomaba hidroxiurea. Sin embargo, no se descubrió un mayor riesgo de cáncer en niños y adultos que padecen la enfermedad de células falciformes. Algunos de estos pacientes han recibido tratamiento con hidroxiurea durante 15 años. Al parecer, el riesgo de cáncer no es distinto para las personas que padecen de la enfermedad de células falciformes y toman hidroxiurea, en comparación con aquellas que no toman dicho medicamento.

# ¿Qué pruebas se realizan para controlar el tratamiento con hidroxiurea?

Los pacientes que toman hidroxiurea generalmente se someten a exámenes físicos y controles de sus recuentos sanguíneos todos los meses. Si es necesario, se revisará a estos pacientes con más frecuencia. Si su hijo forma parte de un estudio de investigación, es posible que deba someterse a más pruebas. Estas pruebas ayudan a determinar los riesgos y beneficios a largo plazo de la hidroxiurea en personas que padecen la enfermedad de células falciformes. Las áreas del cuerpo que se examinan pueden incluir sangre, cerebro, riñones, corazón y otros órganos internos.

# ¿Es la hidroxiurea el único tratamiento contra la enfermedad de células falciformes?

En este momento, la hidroxiurea es sólo una (1) opción de tratamiento. Otra opción de tratamiento son las transfusiones de glóbulos rojos. Las transfusiones se han utilizado durante varios años para tratar los ataques y problemas cerebrales en personas que padecen la enfermedad de células falciformes.

Otra opción de tratamiento es el trasplante de células madre (algunas veces llamado trasplante de médula ósea). Ésta es la única cura para la enfermedad de células falciformes. Los trasplantes de células madre reemplazan la médula ósea del paciente por una médula ósea normal. Esto hace que el cuerpo produzca principalmente Hemoglobina A, en lugar de la Hb S anormal. Sin embargo, los trasplantes requieren un donante compatible y algunas veces pueden causar efectos secundarios graves, que incluyen enfermedades graves ocasionales o la muerte.

# ¿Cómo puedo obtener más detalles sobre la hidroxiurea?

El Departamento de Hematología atiende a niños que padecen la enfermedad de células falciformes que toman hidroxiurea desde hace más de 15 años. Nuestros médicos y otros miembros del personal son expertos en esta área. Deseamos que las familias y los pacientes analicen los diferentes tratamientos y hagan preguntas.

Para obtener más información, le pedimos que hable sobre el uso de la hidroxiurea con un miembro del personal de St. Jude o con la enfermera encargada de su caso.



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](http://www.stjude.org/sicklecell)

BMC-01/12 (i7600SP)