

Hidroxiurea para la Enfermedad de Células Falciformes

Información sobre el Tratamiento de la Sociedad Americana de Hematología





Acerca de la Sociedad Americana de Hematología

Por más de 50 años, el compromiso de la Sociedad Americana de Hematología (ASH, por sus siglas en inglés) ha sido ayudar a desarrollar tratamientos para vencer las enfermedades sanguíneas. Con más de 17,000 miembros de aproximadamente 100 países, ASH es la sociedad profesional de hematólogos más grande del mundo. Estamos dedicados a promover la educación, el diagnóstico, el tratamiento y la prevención de enfermedades que afectan la sangre. Para enterarse de cómo ASH está trabajando para vencer la enfermedad de células falciformes, visite www.hematology.org/scd (disponible solamente en inglés).

Tabla de Contenido

Introducción	4
Datos sobre la Enfermedad de Células Falciformes ...	4
Información sobre la Hidroxiurea	5
Estudios acerca de Hidroxiurea	8
Seguridad y Efectos Secundarios	10
Tomar Hidroxiurea	12
El Siguiente Paso	14

Acerca de Este Folleto

Este folleto ha sido preparado por la Sociedad Americana de Hematología y ofrece información general sobre la hidroxiurea. La hidroxiurea es uno de los pocos tratamientos aprobados por la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA, por sus siglas en inglés) para tratar la enfermedad de células falciformes. Este folleto es únicamente un recurso informativo y no debe reemplazar una consulta médica. Las personas con la enfermedad de células falciformes deben hablar con su doctor antes de hacer cualquier cambio a su tratamiento.

Introducción

Si tiene la enfermedad de células falciformes, sabe el impacto que esto puede tener en su vida. La enfermedad de células falciformes puede causar periodos de dolor intenso (llamados “crisis de dolor”) y otros problemas tan serios que tal vez necesite acudir a una sala de urgencias y/o ser ingresado al hospital en una sala de emergencia.

Pero hay buenas noticias: un medicamento llamado hidroxiurea puede ayudar a niños y adultos con la enfermedad de células falciformes. Este medicamento puede ayudarle a tener menos crisis de dolor e incluso vivir más tiempo. La hidroxiurea ha ayudado a muchas personas y podría ayudarle a usted también.

La Sociedad Americana de Hematología desarrolló este folleto para educar a las personas con la enfermedad de células falciformes, acerca de esta importante opción de tratamiento. Le recomendamos hablar con su doctor acerca de su plan personal de tratamiento y si la hidroxiurea puede ayudarle. La decisión de tomar hidroxiurea es suya.



Información Básica sobre la Enfermedad de Células Falciformes

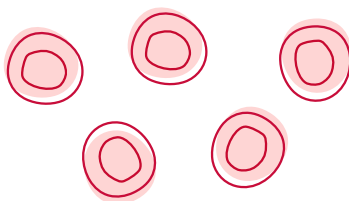
¿Qué es la enfermedad de células falciformes?

La enfermedad de células falciformes es una enfermedad de la sangre que causa problemas con los glóbulos rojos.

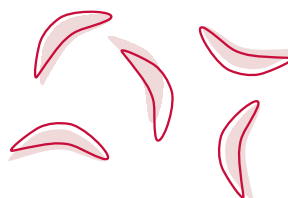
Normalmente, los glóbulos rojos son redondos y flexibles – de manera que puedan moverse fácilmente a través de los vasos sanguíneos. Las células rojas contienen una proteína llamada hemoglobina que lleva el oxígeno a todo el cuerpo.

Las personas con la enfermedad de células falciformes no tienen hemoglobina regular en sus glóbulos rojos. Su hemoglobina puede dar a las células una forma curva, como un banano o una hoz (una herramienta de la granja con un filo curvo). Estas células falciformes son duras y pegajosas, lo cual significa que pueden bloquear el flujo sanguíneo en su cuerpo y causar problemas serios.

Glóbulos sanguíneos normales



Células de forma falciforme



Células bloqueando el flujo sanguíneo



¿Qué problemas puede causar la enfermedad de células falciformes?

La enfermedad de células falciformes puede causar:

- **Anemia** — cuando tiene menos glóbulos rojos que llevan oxígeno a su cuerpo, esto puede hacer que se sienta cansado.
- **Crisis de dolor** — dolor en el pecho, estómago o huesos. Esto sucede cuando las células falciformes bloquean los vasos sanguíneos.
- **Síndrome agudo de pecho** — un problema que sucede cuando las células falciformes bloquean los vasos sanguíneos en sus pulmones. Esto puede poner su vida en riesgo y tendrá que ir al hospital.
- **Daño a los órganos** — daño a órganos importantes como el cerebro, el corazón, los pulmones, los riñones y los ojos. Esto puede llevar a serios problemas como falla renal o pérdida de la visión.

La enfermedad de células falciformes puede acortar su vida – pero la hidroxiurea puede ayudarle a vivir más tiempo. Por lo tanto, es importante que considere tomarla.

Información sobre la Hidroxiurea

La hidroxiurea es un medicamento que los doctores han usado para tratar a personas con la enfermedad de células falciformes desde los años ochenta. La Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA, por sus siglas en inglés) lo aprobó para tratar adultos con la enfermedad de células falciformes en el 1998. En el 2017, la FDA lo aprobó para tratar los niños con la enfermedad de células falciformes.

La hidroxiurea también se usa para tratar el cáncer. Pero los doctores usan una dosis (cantidad) más baja para tratar la enfermedad de células falciformes que para tratar cáncer.



La hidroxiurea puede ayudar a las personas con la enfermedad de células falciformes a vivir más tiempo.



¿Cómo puede la hidroxiurea ayudar con la enfermedad de células falciformes?

La hidroxiurea reduce los problemas causados por la enfermedad de células falciformes. Las personas con enfermedad de células falciformes que toman hidroxiurea tienen menos:

- Crisis de dolor
- Episodios del síndrome agudo de pecho
- Transfusiones de sangre
- Estadías en el hospital

La hidroxiurea también puede prevenir o retrasar el daño en sus órganos.

La historia de Cole*

“Esta fue mi primera actividad sin dolor en años.”

Antes de que Cole empezara a tomar hidroxiurea, ella tenía frecuentes crisis de dolor. Durante un tiempo, ella estaba en el hospital cada par de semanas. Ella no era capaz de mantener un trabajo.

Luego el doctor de Cole le recomendó hidroxiurea. Desde que ella empezó a tomarla, Cole empezó a sentirse mejor. Ella incluso caminó una carrera de 5 kilómetros solo un par de meses después, sin crisis de dolor o ningún otro dolor. Ella pudo empezar a trabajar de nuevo – y lleva más de 4 años sin una gran crisis de dolor.

* Las historias en este folleto son de personas reales quienes han compartido sus experiencias con ASH.

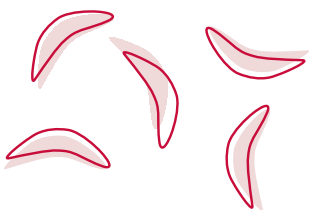


¿Cómo funciona la hidroxiurea?

La hidroxiurea hace que sus glóbulos rojos sean grandes. Los ayuda a permanecer más redondos y flexibles – y los hace menos propensos a volverse falciformes.

El medicamento logra esto al aumentar una clase especial de hemoglobina llamada hemoglobina F. La hemoglobina F también se le conoce como hemoglobina fetal porque los bebés recién nacidos la tienen. Cuando usted tiene altos niveles de hemoglobina F, sus glóbulos rojos son menos propensos a causar problemas.

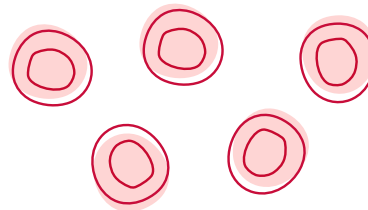
Células con forma falciforme



Uso de la hidroxiurea
con el tiempo



Glóbulos rojos redondos normales





¿Quién debe tomar hidroxiurea?

Si usted tiene cualquier forma de la enfermedad de células falciformes, la hidroxiurea puede ayudarle. Esto es cierto incluso si sus síntomas no son severos.

Diferentes tipos de la enfermedad de células falciformes responden diferente a la hidroxiurea. Si no está seguro de qué tipo de enfermedad de células falciformes tiene, pregúntele a su doctor – y dígame que usted quisiera saber cómo la hidroxiurea podría ayudar.

- Los expertos recomiendan firmemente la hidroxiurea para personas con **enfermedad de células falciformes tipo SS o falciforme beta Zero (Sβ0) talasemia**. La hidroxiurea ha demostrado ayudar a personas con ambas formas de la enfermedad de células falciformes.
- Si tiene la **enfermedad de células falciformes tipo SC o tipo falciforme beta plus (Sβ+) talasemia**, hable con su doctor. La hidroxiurea puede ayudar, pero los científicos han realizado menos investigaciones sobre cómo la hidroxiurea puede ayudar a personas con estos tipos de la enfermedad de células falciformes.



La hidroxiurea incluso puede ayudar a personas que rara vez presentan los problemas obvios causados por la enfermedad de células falciformes.

¿Cuáles son los tipos de enfermedad de células falciformes?

Hay muchas formas diferentes de la enfermedad de células falciformes:

- Anemia de células falciformes, la cual incluye la enfermedad de células falciformes tipo SS y tipo falciforme beta zero (Sβ0) talasemia
- Enfermedad de células falciformes tipo SC
- Enfermedad de células falciformes tipo falciforme beta plus (Sβ+) talasemia
- Enfermedad de células falciformes tipo SD, SE, y otras variedades de la enfermedad de células falciformes

Estudios Acerca de la Hidroxiurea

Estudios demuestran que la hidroxiurea es segura y beneficiosa para personas con enfermedad de células falciformes.

Estudio multicéntrico acerca de la hidroxiurea

En el 1992, varios científicos investigaron si la hidroxiurea podría ayudar a adultos con los siguientes tipos de la enfermedad de células falciformes:

- Enfermedad de células falciformes tipo SS
- Enfermedad de células falciformes beta zero (S β 0) talasemia

Para realizar esto, ellos dividieron las personas de manera aleatoria en dos grupos. Un grupo recibió hidroxiurea. El otro grupo recibió un placebo (una pastilla que no contiene el medicamento). Las personas en el estudio no sabían qué pastilla estaban tomando.

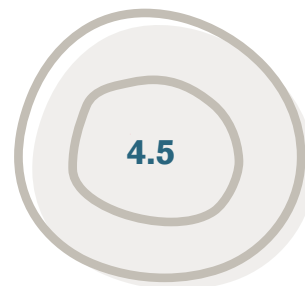


¿Qué mostró el estudio?

Las personas que tomaron hidroxiurea tuvieron menos problemas causados por la enfermedad de células falciformes.

Tuvieron la mitad de las crisis de dolor.

- Las personas que tomaron el placebo tuvieron **cerca de 5** crisis de dolor en un año.
- Las personas que tomaron hidroxiurea tuvieron aproximadamente la mitad – **menos de 3** crisis de dolor al año.



4.5 crisis de dolor por año con el placebo



2.5 crisis de dolor por año con hidroxiurea

Tuvieron menos hospitalizaciones.

- Las personas que tomaron el placebo tuvieron **más de 2** hospitalizaciones al año debido a crisis de dolor.
- Las personas que tomaron hidroxiurea tuvieron **sólo 1** hospitalización al año debido a crisis de dolor.



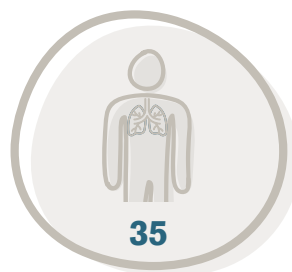
2.4 hospitalizaciones por año con el placebo



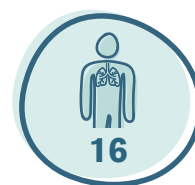
1 hospitalización al año con hidroxiurea

Tuvieron síndrome de tórax agudo menos frecuente.

- **35** de cada 100 personas que tomaron el placebo tuvieron síndrome de tórax agudo.
- Solo **16** de cada 100 personas que tomaron hidroxiurea tuvieron síndrome de tórax agudo - eso es casi la mitad.



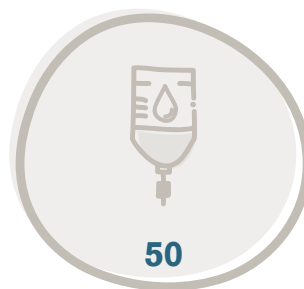
35 de cada 100 personas sufrieron de síndrome de tórax agudo con el placebo



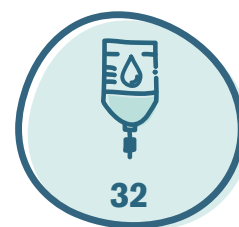
Solo 16 de cada 100 personas que tomaron hidroxiurea tuvieron síndrome de tórax agudo

Necesitaron menos transfusiones de sangre.

- **50** de cada 100 personas que tomaron el placebo recibieron transfusiones.
- Solo **32** de cada 100 personas que tomaron hidroxiurea recibieron transfusiones.



50 de cada 100 personas recibieron transfusiones con el placebo



32 de cada 100 personas recibieron transfusiones con hidroxiurea

No tuvieron más efectos secundarios.

Los investigadores también observaron los efectos secundarios y encontraron que las personas que tomaron hidroxiurea no tuvieron más efectos secundarios que las personas que tomaron el placebo.

Fuente: Charache, S., Terrin, M. L., Moore, R. D., Dover, G. J., Barton, F. B., Eckert, S. V., McMahon, R. P., and Bonds, D. R. (1995). Effect of hydroxyurea on the frequency of painful crises in sickle cell anemia, *The New England Journal of Medicine*, 332(20), 1317-1322. <http://doi.org/10.1056/NEJM199505183322001>

¿Qué han mostrado otros estudios?

Muchos otros estudios han mostrado que la hidroxiurea ayuda a personas con enfermedad de células falciformes - incluso niños. Un estudio demostró que la hidroxiurea es beneficiosa y segura en niños incluyendo niños de hasta 9 meses.



Seguridad y Efectos Secundarios

¿Es seguro tomar hidroxiurea por muchos años?

Sí. Muchas personas con enfermedad de células falciformes han tomado hidroxiurea de manera segura por más de 20 años. Incluso niños pequeños pueden tomarla.

¿La hidroxiurea puede causar cáncer?

No. No hay evidencia que la hidroxiurea pueda causar cáncer en personas con enfermedad de células falciformes. Ha sido usada de manera segura desde los ochenta.

La historia de Nana*

“La hidroxiurea me ha dado la oportunidad de controlar mi salud y vida.”

Nana empezó a tomar hidroxiurea cuando sólo tenía 12 años. Ya había sido hospitalizada muchas veces. Después que Nana empezó a tomar hidroxiurea, tuvo que ser hospitalizada cada vez menos. Incluso estuvo cerca de tener asistencia perfecta en el colegio y continuó estudiando psicología en la Universidad de Virginia.

*Las historias en este folleto son reales y de personas que compartieron sus experiencias con la ASH.



¿Cuáles son los efectos secundarios de la hidroxiurea?

Todos los medicamentos pueden tener efectos secundarios. Algunas de las personas que toman hidroxiurea pueden tener estos efectos secundarios:

- Afinamiento del cabello o leve caída del cabello
- Oscurecimiento de los lechos ungueales (la parte debajo de la uña) se pueden oscurecer
- Náusea (malestar de estómago)

Rara vez, la hidroxiurea puede causar efectos secundarios más severos. Pero la mayoría de las personas con enfermedad de células falciformes que toman hidroxiurea no sufren de efectos secundarios severos.

Si tiene algún síntoma nuevo después de empezar la hidroxiurea, notifique a su doctor - es posible que pueda tomar una dosis (cantidad) más baja.



Entre las personas con la enfermedad de células falciformes que toman hidroxiurea, la mayoría reporta no tener efectos secundarios o tener muy pocos. La mayoría de los efectos secundarios son leves.



¿Puedo empezar una familia?

Si está pensando en tener un bebé, asegúrese de hablar con su doctor acerca de los beneficios y riesgos de tomar hidroxiurea. Los expertos siguen estudiando cómo la hidroxiurea puede afectar la capacidad de tener un bebé sano. Tomar este medicamento durante el embarazo es una decisión personal que su doctor puede ayudarle a tomar.

Mujeres

- Si está embarazada o está planeando estar embarazada, hable con su doctor para hacer un plan.
- Es posible que la hidroxiurea aumente el riesgo de defectos de nacimiento, pero esto no está confirmado todavía.
- Algunas mujeres deciden dejar de tomar hidroxiurea al principio del embarazo y luego empezarla otra vez durante el último trimestre (después de las 29 semanas).

Hombres

- La hidroxiurea puede reducir la cantidad de espermatozoides, la cual ya puede estar baja debido a la enfermedad de células falciformes.
- Las erecciones dolorosas son una complicación de la enfermedad de células falciformes que puede causar daños permanentes al pene. La hidroxiurea puede reducir estas erecciones dolorosas.



Muchos hombres y mujeres que han tomado hidroxiurea han tenido bebés sanos.

La historia de Nikita*

“Mi bebé está perfectamente sano y está muy bien.”

Nikita empezó a tomar hidroxiurea después de enfermarse durante un viaje de negocios y le ayudó mucho. Después de tomarla por 5 años, Nikita quedó embarazada.

Ella habló con su doctor acerca de continuar tomando hidroxiurea, y juntos decidieron que la mejor opción para ella y su bebé era dejar de tomarla durante el embarazo. Después del nacimiento de su hijo sano, Nikita empezó a tomar la hidroxiurea de nuevo. Ahora, ella y su hijo están muy bien.

*Las historias en este cuadernillo son reales y de personas que compartieron sus experiencias con ASH.



Tomar Hidroxiurea

¿Qué necesita saber si va a tomar la hidroxiurea?

- La mayoría de las personas toman pastillas de hidroxiurea una vez al día. Su doctor le dará una receta con la dosis adecuada para usted. En algunas ocasiones, puede que su médico le diga que tome un número diferente de pastillas en ciertos días.
- Puede tomar la hidroxiurea con la mayoría de sus otros medicamentos – pero siempre es importante confirmar con su doctor o farmacéutico(a) antes de comenzar a tomar un medicamento nuevo.
- Las pastillas de hidroxiurea son cápsulas que miden aproximadamente tres cuartos ($\frac{3}{4}$) de pulgada de largo.

Chequeo de su conteo sanguíneo

Usted necesitará hacerse conteos sanguíneos regularmente mientras tome hidroxiurea. Cuando comience a tomarla, quizás necesite chequear el conteo sanguíneo cada mes.

Pregúntele a su doctor acerca de sus resultados del conteo sanguíneo para ver cómo estos cambian. ¡Los cambios en sus conteos sanguíneos pueden ser una buena señal de que la hidroxiurea está funcionando!

Estas pruebas chequearán:

- La **hemoglobina**, la proteína que lleva el oxígeno en los glóbulos rojos. La hidroxiurea funciona haciendo que su nivel de hemoglobina **aumente**.
- El **tamaño de sus glóbulos rojos** (medido como el “volumen promedio de células” o MCV, por sus siglas en inglés). La hidroxiurea funciona haciendo que sus glóbulos rojos sean **más grandes**.
- Los **neutrófilos**, un tipo de glóbulo blanco. La hidroxiurea hace que el número de neutrófilos **disminuya**. Esto está bien siempre y cuando su conteo de glóbulos blancos no se baje demasiado.

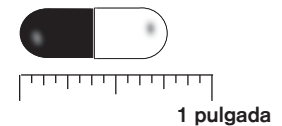
Su doctor puede cambiar su dosis basado en sus conteos sanguíneos. Por ejemplo, si los neutrófilos en su sangre no disminuyen, su doctor podría aumentar su dosis.

Su doctor también revisará si algunos tipos de glóbulos disminuyen mucho. Si este es el caso, su doctor podría pedirle que suspenda la hidroxiurea por un tiempo.



Hidroxiurea no es muy costosa pero la mayoría de los planes de seguro de salud la cubren.

Tamaño real de una pastilla de hidroxiurea de muestra



Cuando tome hidroxiurea, hacerse conteos sanguíneos regularmente puede ayudar a su doctor a ver cómo está trabajando el medicamento.



¿Qué sucede si no tomo una dosis?

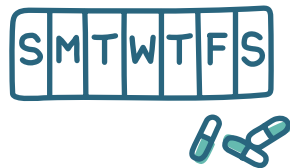
- La hidroxiurea solo funciona si usted se la toma todos los días.
- Dejar de tomar una dosis no es peligroso y no anulará los beneficios del medicamento.

Recuerde tomarla todos los días

Puede ser difícil recordar tomar la hidroxiurea todos los días. Aquí le damos algunos consejos para ayudarle a que se acuerde:



Marque su calendario todos los días después de tomarla.



Consiga una caja para pastillas con una sección para cada día de la semana. Llénela el mismo día todas las semanas.



Programe una alarma en su teléfono celular que se active todos los días.



Pídale a sus amigos o familiares que le recuerden.

La historia de Ndiogou*

“Hable con su doctor acerca de probarla.”

Ndiogou empezó a tomar hidroxiurea cuando él tenía 21 años y notó la diferencia pocos meses después. Al principio sentía mucho menos dolor. Eventualmente, el dolor desapareció por completo.

La enfermedad de células falciformes no le ha impedido a Ndiogou practicar deportes o participar en otras actividades. Tomar hidroxiurea ha mejorado su calidad de vida.



*Las historias en este cuadernillo son de personas reales que han compartido sus experiencias con ASH.

¿Qué sucede si tomo hidroxiurea y no noto mejoría?

- ¡No se desanime! La hidroxiurea toma tiempo para funcionar. Trate de tomarla por lo menos por un año. Puede tomar ese tiempo para que su doctor determine la dosis adecuada para usted.
- Si usted está teniendo efectos secundarios, no deje de tomar la hidroxiurea - primero hable con su doctor. Algunos efectos secundarios desaparecerán después de tomarla por un tiempo.

La historia de Adrienne*

“Tomó un tiempo para que empezara a funcionar, pero ahora me siento mucho mejor.”

Por un tiempo, Adrienne estuvo muy enferma y sus conteos sanguíneos siempre estaban bajos. Su doctor le recetó hidroxiurea para su enfermedad de células falciformes, pero ella dejó de tomarla después de 4 meses porque estaba preocupada por los efectos secundarios.

Cuando su doctor le explicó cómo hidroxiurea podría ayudarle con el tiempo, Adrienne decidió volver a intentar. Ella empezó a sentirse mejor después de 6 meses. ¡Ahora ella puede ser más activa y también ha pasado mucho menos tiempo en el hospital!

*Las historias en este folleto son de personas reales quienes compartieron sus experiencias con ASH.



El Siguiente Paso

La hidroxiurea puede ayudar a personas con enfermedad de células falciformes a tener menos crisis de dolor y a ser más saludables. Si tiene la enfermedad de células falciformes, hidroxiurea podría ayudarle. Esperamos que este folleto le haya sido útil y que haya contestado sus preguntas acerca de esta opción de tratamiento.

¿Piensa que la hidroxiurea puede ser buena para usted? Empiece la conversación con su doctor.



Notas

