

# Hydroxyurea para Anemia Falciforme



## Una guía para iniciar el tratamiento

La hydroxyurea es el único medicamento comprobado para evitar el dolor producido por la anemia falciforme.

Este folleto fue elaborado para ayudar a responder las preguntas comunes sobre el tratamiento con hydroxyurea. Si tiene alguna pregunta después de leer este folleto, converse con su equipo de atención médica.

### CONTENIDOS

Historia de la hydroxyurea.....	1
Resultados de BABY HUG.....	2
Estudio de TWITCH.....	3
Uso a largo plazo.....	4
No solo para enfermedades graves....	5
Cambios en los glóbulos rojos.....	6
Revisiones de recuentos sanguíneos..	7
Efectos secundarios.....	8
Medicamento diario.....	9
¡La hydroxyurea ayuda!.....	10



Children's National™

# Historia de la hydroxyurea

## ¿La hydroxyurea es un medicamento nuevo?

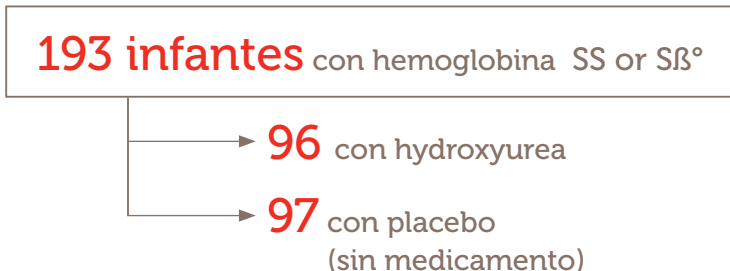
No, la hydroxyurea ha sido usada como tratamiento médico desde el año 1869. Primero se usó para tratar el cáncer en la sangre. Los médicos vieron que la hydroxyurea cambiaba la hemoglobina dentro de los glóbulos rojos, por lo cual la estudiaron luego en personas con anemia falciforme.

## La hydroxyurea se ha usado para tratar a personas con anemia falciforme por más de 30 años.

A principios de los años 90, un estudio en adultos con anemia falciforme que comparaba los resultados del tratamiento con hydroxyurea con adultos que no recibían tratamiento concluyó de manera temprana porque era evidente que la hydroxyurea disminuía ciertos problemas de las células falciformes. **Los adultos tratados con hydroxyurea tenían menos crisis de dolor, episodios de síndrome torácico agudo y transfusiones.** Este estudio demostró que la hydroxyurea era útil para adultos, pero se necesitaba más investigación para el caso de niños con anemia falciforme.

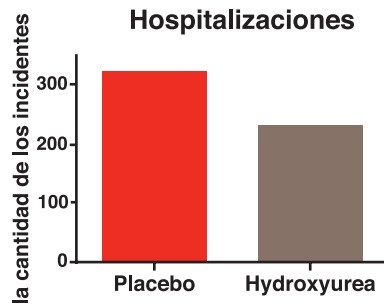
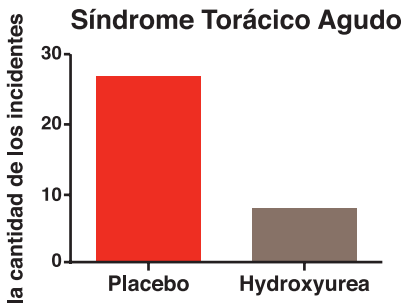
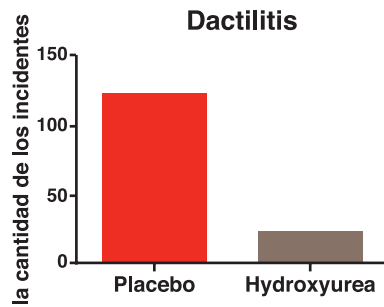
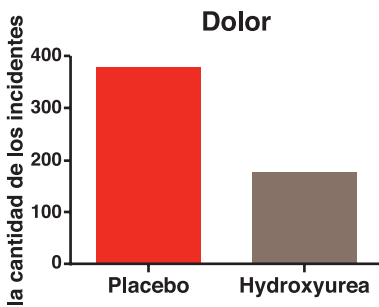
## Resultados de BABY HUG

En el año 2003, el estudio BABY HUG comenzó a investigar la hydroxyurea en niños pequeños con anemia falciforme. **Los infantes tratados en el Children's National participaron en el estudio BABY HUG.** Este estudio incluyó infantes entre las edades de 9 a 18 meses que tenían hemoglobina SS o talasemia Sβ°. Algunos de los infantes de este estudio nunca habían experimentado dolor producido por las células falciformes. Los infantes recibieron ya sea hydroxyurea o placebo (sin medicamento). Se hizo seguimiento de estos niños durante dos años.



# Resultados de BABY HUG

El estudio de BABY HUG indicó que el tratamiento con **hydroxyurea** fue útil y seguro para los niños con anemia falciforme. Los niños tratados con hydroxyurea tuvieron menos dolor, dactilitis (hinchazón dolorosa de las manos o los pies) síndrome torácico agudo, citas en el hospital y transfusiones. La hydroxyurea también mejoró las mediciones de Doppler transcraneal (TCD, por sus siglas en inglés).



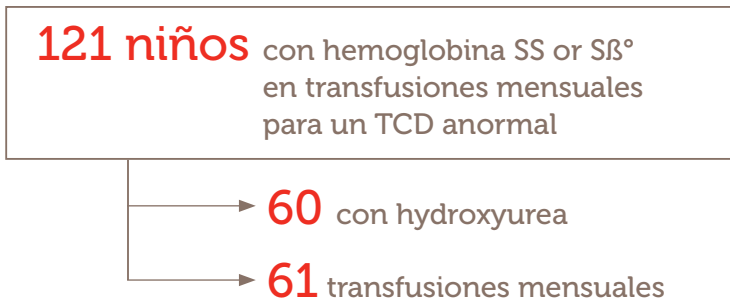
Thomberg, CD et al. Impact of hydroxyurea on clinical events in the BABY HUG trial. *Blood* 2012; 120(22):4304-4310

**En este estudio la hydroxyurea no causó ningún efecto secundario grave.** Los niños tratados con hydroxyurea no tuvieron más infecciones. Los niños tratados con hydroxyurea no tuvieron más problemas hepáticos o renales.

# Estudio TWiTCH

Los niños con anemia falciforme que tienen una medición de Doppler transcraneal (TCD) anormal tienen un alto riesgo de presentar un derrame cerebral. Afortunadamente, los derrames cerebrales se pueden evitar en estos niños haciendo una transfusión de sangre cada mes. Desafortunadamente, las transfusiones de sangre tienen efectos secundarios graves.

En el pasado, se recomendaba que la mayoría de los niños con un TCD anormal recibieran transfusiones sanguíneas mensuales de por vida para evitar el derrame cerebral. El estudio TWiTCH preguntó si era seguro para estos niños detener las transfusiones mensuales después de iniciar la hydroxyurea. Los **infantes tratados en el Children's National participaron en el estudio TWiTCH**. El estudio incluyó niños que tenían transfusiones mensuales por un TCD anormal que no tenían problemas graves con sus vasos sanguíneos cerebrales. Los niños recibieron ya sea hydroxyurea o transfusiones mensuales continuas.



Los resultados de este estudio fueron publicados en el año 2015. Los niños del grupo de hydroxyurea tuvieron mediciones de TCD similares en comparación con los niños del grupo de transfusiones mensuales.

En este estudio, los niños tratados con hydroxyurea no tuvieron ningún derrame cerebral.

**El estudio TWiTCH indicó que la hydroxyurea puede sustituir las transfusiones mensuales para evitar los derrames cerebrales en niños con anemia falciforme.**

## Uso a largo plazo

### ¿La hydroxyurea causa cáncer?

No, la hydroxyurea **NO** causa cáncer.

Desafortunadamente, los niños con anemia falciforme pueden contraer cáncer. Afortunadamente, la hydroxyurea no aumenta las probabilidades de contraer cáncer de un niño con anemia falciforme.

### ¿Es seguro tomar hydroxyurea por muchos años?

Aún nos estamos informando sobre los efectos a largo plazo de la hydroxyurea, pero muchas personas con anemia falciforme la han tomado de forma segura durante muchos años.

Recomendamos el tratamiento de por vida. Los niños tratados con hydroxyurea crecen y se desarrollan de forma normal.

Desafortunadamente las personas con anemia falciforme no viven tanto como las personas que no tienen anemia falciforme. La hydroxyurea puede ayudar a cambiar esto.

**Las personas con anemia falciforme tratadas con hydroxyurea viven más.**



# No solo para enfermedades graves

## ¿Quién debe tomar hydroxyurea?

En el pasado, los médicos recomendaron hydroxyurea para los pacientes con la enfermedad de la hemoglobina SS y talasemia de la hemoglobina S $\beta^0$  que tenían dolores frecuentes. Hoy en día, sugerimos la hydroxyurea como una buena opción para la mayoría de los niños con anemia falciforme, incluso niños con anemia falciforme que nunca han tenido una crisis de dolor.

**A todos los niños con Hb SS y S $\beta^0$  se les debe ofrecer hydroxyurea, de acuerdo a las directrices de los Institutos Nacionales de Salud.**

Algunos niños con talasemia de hemoglobina SC y S $\beta^+$  que han tenido crisis de dolor o han padecido de síndrome torácico agudo también pueden beneficiarse de la hydroxyurea. Se conoce menos acerca del uso de la hydroxyurea para estos tipos de anemia falciforme.

## Una crisis de dolor es demasiado.

En la medida de lo posible, queremos evitar el dolor producido por las células falciformes. Si su hijo tiene hemoglobina SS y talasemia de la hemoglobina S $\beta^0$ , no necesita esperar a que tenga un episodio de dolor para empezar a usar hydroxyurea.

Además de evitar el dolor, iniciar el uso de la hydroxyurea de manera temprana puede ser útil por otras razones. **Desafortunadamente, al empezar en la niñez temprana, la anemia falciforme causa grave daño a muchos órganos, el mismo que empeora con el tiempo.** La hydroxyurea podría retrasar este daño. Es mejor empezar a usar hydroxyurea antes de que la anemia falciforme cause un daño permanente.

**Sabemos por el estudio de BABY HUG que podemos empezar a usar la hydroxyurea de forma segura en bebés tan jóvenes como de 9 meses de edad.**

“Somos afortunados de que hasta este punto no hayamos experimentado una crisis de dolor, y lo atribuimos a la hydroxyurea, por eso recomendamos bastante el tratamiento”

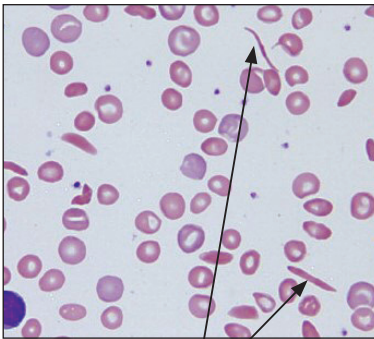
# Cambios en los glóbulos rojos

## ¿Cómo funciona la hydroxyurea?

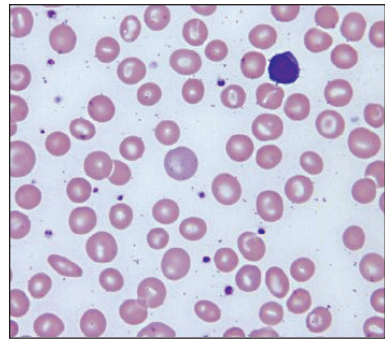
La hydroxyurea hace que los glóbulos rojos sean más grandes y menos propensos a volverse falciformes.

Los recién nacidos con anemia falciforme no sufren de dolor producido por la anemia falciforme. Los recién nacidos están protegidos porque ellos producen hemoglobina F (F es por fetal) que no se vuelve falciforme. La cantidad de hemoglobina F disminuye con la edad y, por lo general, es baja para cuando el bebé cumple un año de edad. El tratamiento con hydroxyurea aumenta la hemoglobina F haciendo que los glóbulos rojos sean más grandes y sea menos probable que se vuelvan falciformes.

Antes de la hydroxyurea



Después de la hydroxyurea



glóbulos rojos falciformes

Adapted from Ware, RE. *Blood* 2010; 115(26):5306

“La hydroxyurea me ayudó bastante desde que empecé a tomarla...Cuando se sufre de células falciformes, el dolor puede venir en cualquier momento. Pero con la hydroxyurea se puede evitar que la crisis de dolor se intensifiquen con frecuencia. Así que puedes tener una vida normal. Ayuda bastante. Si se toma cada vez ...evitará que venga el dolor y le permitirá tener una vida normal. De modo que pueda divertirse y hacer las cosas que desea hacer”



## Revisiones de recuentos sanguíneos

Deben realizarse recuentos sanguíneos durante el tratamiento con hydroxyurea. Los cambios vistos en los recuentos sanguíneos con el tratamiento usando hydroxyurea incluyen:

Medición	Hydroxyurea Efecto
Hemoglobina (Hb) cantidad de proteínas en los glóbulos rojos	↑
Volumen corpuscular medio (MCV) tamaño de los glóbulos rojo	↑
Recuento absoluto de neutrófilos (ANC) número de un tipo de leucocitos	↓

### Al iniciar el uso de hydroxyurea, los recuentos sanguíneos se deben realizar cada mes.

Los neutrófilos son un tipo de leucocitos que combaten las infecciones. También pueden jugar un rol en la causa de una crisis de dolor. Las personas con anemia falciforme, por lo general, tienen un alto número de neutrófilos. El tratamiento con hydroxyurea disminuye el número de neutrófilos. La dosis de hydroxyurea se aumenta si el recuento absoluto de neutrófilos (ANC, por sus siglas en inglés) permanece alto. Después que el paciente ha sido tratado con la misma dosis durante un mínimo de dos meses, los recuentos sanguíneos se pueden realizar con menos frecuencia.

Algunos niños con anemia falciforme que toman hydroxyurea desarrollan reticulocitos (glóbulos rojos que no han alcanzado su madurez), neutrófilos o recuento de plaquetas. Si esto sucede, su médico o enfermera profesional puede detener el uso de hydroxyurea para permitir que el conteo de glóbulos rojos suba y luego empezar el tratamiento otra vez.

### Si se monitorean los recuentos sanguíneos, la hydroxyurea es muy segura.



## Efectos secundarios

Todos los medicamentos tienen posibles efectos secundarios. Los efectos secundarios de la hydroxyurea son raros en niños con anemia falciforme. La hydroxyurea está clasificada como un medicamento de quimioterapia, pero la hydroxyurea no causa náuseas graves o pérdida de cabello como se ve con otros medicamentos de quimioterapia.

### **La mayoría de niños que toman hydroxyurea no experimentan efectos secundarios.**

Se puede producir el oscurecimiento del lecho ungueal con el tratamiento de hydroxyurea. Algunos niños pueden quejarse de dolor estomacal leve por el uso de hydroxyurea. **Recomendamos que tome hydroxyurea a la hora de dormir para ayudar a prevenir este efecto secundario.**

**Para pacientes varones:**

**El tratamiento con hydroxyurea puede afectar el esperma de un hombre,** de modo que el no puede embarazar a una mujer (infertilidad masculina). Desafortunadamente, los hombres con anemia falciforme también pueden tener problemas de infertilidad debido a su anemia falciforme. Aunque la hydroxyurea puede afectar la fertilidad masculina, los hombres con anemia falciforme que toman hydroxyurea han procreado bebés saludables.

**Para pacientes mujeres:**

La hydroxyurea ha causado defectos de nacimiento en estudios de animales preñados. Sin embargo, las mujeres con anemia falciforme que toman hydroxyurea se han embarazado y han tenido bebés saludables. **Se necesita más investigación para saber si es seguro tomar hydroxyurea durante el embarazo.**

**En este momento no se recomienda que varones o mujeres que intentan tener un bebé o que estén gestando tomen hydroxyurea.**

“La hydroxyurea ha jugado un rol principal en la vida de mi hijo. No ha tenido problemas con medicamentos. Nunca ha tenido ningún efecto secundario. Le está yendo muy bien en la escuela”

## Medicamento diario

La hydroxyurea viene en líquido y en píldoras. El líquido solo se prepara en farmacias especiales. Su equipo de atención médica puede ayudarle a conseguirlo. La píldora viene en cápsulas de 500 mg. Es posible que tenga que tomar un número diferente de píldoras en ciertos días.

La dosis de hydroxyurea cambiará en base al peso de su hijo y su conteo de glóbulos rojos. **La hydroxyurea se toma una vez al día.** Si su hijo está tomando penicilina, debe continuar tomando penicilina con hydroxyurea. Es seguro tomar hydroxyurea con la mayoría de los demás medicamentos, pero primero consulte con su médico y con la farmacia.

### ¿Qué pasa si me salto una dosis?

No tome una dosis adicional de hydroxyurea para cubrir la dosis que se haya saltado. Solo asegúrese de no saltarse otras dosis. Llame a su médico si tiene preguntas.

**La hydroxyurea solo podrá funcionar para evitar problemas por la anemia falciforme si se toma todos los días.**

Los padres deben supervisar el tratamiento con hydroxyurea de su hijo. Los adolescentes pueden tomar hydroxyurea por sí mismos, pero con frecuencia también necesitan recordatorios para tomar hydroxyurea cada día. A continuación les indicamos algunos elementos que pueden ayudar a recordarles que tomen hydroxyurea:

- Calendario para marcar
- Caja de píldoras
- Alarma del teléfono celular

No se desanime si su hijo tiene una crisis de dolor o síndrome torácico agudo unas cuantas semanas después de iniciar el uso de hydroxyurea. Toma tiempo para que el tratamiento con hydroxyurea muestre mejoras en los conteos de glóbulos rojos y en evitar problemas producidos por la anemia falciforme.

**Pueden pasar de 3 a 6 meses antes de ver los resultados del tratamiento con hydroxyurea.**

## ¡La hydroxyurea ayuda!

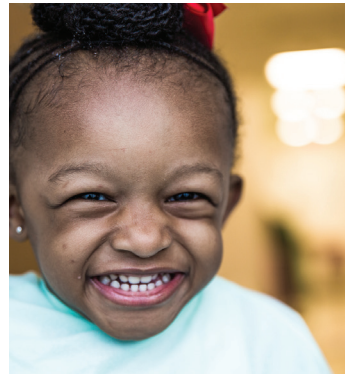
Estas citas se tomaron de pacientes y padres de Children's National.

"Como padre de familia, me gustaría aconsejar a otros padres sobre la importancia de la hydroxyurea. En mi caso, ayudó a mi hija, que siempre se estaba quejando de dolor todo el día. Cada vez que hacía frío y durante la mayor parte del invierno, ella era hospitalizada con mucho dolor. Es un buen medicamento para aquellos que desean probarlo".



"Soy un defensor de la hydroxyurea. Cuando conozco a la gente les hablo sobre la hydroxyurea porque realmente funcionó para mi hijo".

"Estoy agradecido por la hydroxyurea. Ha sido una experiencia positiva. Ha marcado una diferencia en la salud de mi hijo desde la infancia hasta ahora que tiene 12 años de edad".



"La hydroxyurea ha disminuido las crisis de dolor de mi hija y ha mejorado su calidad de vida".

"Viniendo de un país con recursos limitados, mi hija cayó enferma varias veces. Incluso con nuestra migración a los Estados Unidos, ella todavía caía enferma de vez en cuando... Tenerla en el hospital con frecuencia debido a su enfermedad podía ser muy emotivo y desgarrador... Afortunadamente, con la investigación que se hizo, el Children's National nos presentó la hydroxyurea. Ha pasado un año completo desde la última vez que vi a mi hija internada en la habitación de un hospital. Ella puede correr y saltar con libertad y también ha ganado recientemente un premio por el 100% de asistencia en su escuela".



"La hydroxyurea me ha dado la oportunidad de poder controlar mi cuerpo y enfocarme en otras cosas en la vida. Me dio la oportunidad de vivir una vida plena incluso con la anemia falciforme".



Division of Hematology  
Children's National Health System  
111 Michigan Ave NW  
Washington, DC 20010

202-476-2140 (clínica)  
202-476-7060 (citas)

*Revisado en junio de 2016*

