

Trasplante: Preguntas frecuentes

Siempre consulte a su médico antes de tomar una decisión basada en la información en esta página.

¿Qué es un trasplante de células madre hematopoyéticas (TCMH)?

Un TCMH es un procedimiento médico que destruye las células madre en la médula ósea del paciente y las reemplaza con células madre de un donante compatible o parcialmente compatible, con o sin parentesco. Mientras más compatibles, menor será la probabilidad de que las nuevas células madre identifiquen a las células del paciente como extrañas y las ataquen, una complicación conocida como enfermedad injerto contra anfitrión (GvHD). En la actualidad, el trasplante de células madre es la única cura de largo plazo para los defectos de las células sanguíneas en la AF. Las células madre pueden ser de la médula ósea o de la sangre periférica del donante, o pueden obtenerse del cordón umbilical al momento del nacimiento de un bebé. Para prepararse para el trasplante, se destruye la médula

ósea del paciente a fin de hacer lugar para injertar las nuevas células madre sanas.

¿Cómo se sabe si o cuándo es el momento de hacer un trasplante?

Es importante notar que no todas las personas con AF necesitarán un trasplante. Aunque es probable, no es seguro. Alguien necesita un trasplante cuando sus conteos son lo suficientemente bajos para requerirlo*. Si un paciente con AF parece un buen candidato para un trasplante en vista de su historia clínica y un examen físico, se deben realizar ciertos exámenes de rutina inmediatamente antes del trasplante para verificar la elegibilidad y determinar si se necesita algún ajuste en el tratamiento. Por ejemplo, una disfunción renal puede exigir importantes ajustes en las dosis de los fármacos o una anomalía en una TC del tórax puede llevar a más estudios o antibióticos, o a posponer el trasplante hasta que se resuelva. Consulte el recuadro A para ver una lista de los tipos de estudios que se realizan en la mayoría de los centros de trasplante.

¿Más información? Para información específica sobre los conteos y señales de que es el momento de realizar un trasplante, vea el capítulo 9 de “Anemia de Fanconi: Lineamientos para diagnóstico y manejo”.

¿Hay alternativas al trasplante?

Aunque en general se recomienda el trasplante como terapia de primera línea para la insuficiencia medular, SMD o leucemia en pacientes con AF, hay algunas alternativas si se pospone el trasplante o si el paciente es de demasiado “alto riesgo” para someterse a la terapia de trasplante. Estas alternativas pueden ser andrógenos o factores de crecimiento hematopoyéticos. También hay ensayos de terapia genética (para FANCA) abiertos en dos continentes para determinar si la médula del paciente puede corregirse con este método. El paciente y su familia deben hablar sobre los riesgos y beneficios de los enfoques alternativos con el hematólogo en un centro de atención integral especializado en AF.

Vea la página 249 del libro de Lineamientos* para obtener más información sobre alternativas al TCMH.

Recuadro A

Exámenes de laboratorio antes del trasplante

- Prueba diagnóstica confirmatoria para la AF (DEB o MMC son los más comunes)
- Examen de confirmación de la tipificación ALH
- Aspiración de médula ósea y biopsia con evaluación citogenética
- Evaluaciones para descartar enfermedades infecciosas
 - Exposiciones previas (citomegalovirus; hepatitis A, B y C; VIH; HTLV1/2; VEB; sífilis)
 - Presencia de infecciones activas (TC de senos, tórax y abdomen; examen odontológico)
- Evaluaciones de las funciones de los órganos
 - Pulmones (evaluaciones de la función pulmonar, saturación de oxígeno)
 - Corazón (ECG, ecocardiograma)
 - Hígado (enzimas hepáticas, ecografía)
 - Riñones (análisis, estudios de medicina nuclear como tasa de filtración glomerular [TFG], ecografía)

¿Dónde se hace el trasplante?

Debido a las complicaciones particulares asociadas con un TCMH y los efectos secundarios tardíos asociados con la AF en sí, se recomienda que, en lo posible, los pacientes sean tratados en centros selectos con atención integral específica para la AF. Aunque hay pocos centros especializados en el mundo, los pacientes que acuden a ellos no solo se benefician de la atención integral que reciben, sino que también ayudan al avance de la investigación de la AF. Por ejemplo, las importantes mejoras en el trasplante para pacientes con AF en las últimas décadas no habrían sido posibles sin las investigaciones que se beneficiaron de la concentración de pacientes en pocos centros. Tratar a los pacientes en centros selectos también puede ayudar a los profesionales clínicos y a los investigadores a mejorar el manejo de las enfermedades asociadas a la AF que se desarrollan más tarde, en particular el cáncer. Consulte el recuadro B para ver preguntas útiles que debería hacer al momento de elegir dónde recibir tratamiento. ¿Más información? Vea las páginas 229-240 en el libro de Lineamientos* para encontrar más información.

¿Cuáles son las tasas de éxito del trasplante?

Muchos factores influyen en la probabilidad de que un trasplante sea exitoso. Los niños pequeños con aplasia medular (sin síndrome mielodisplásico [SMD] ni leucemia) tienen un buen pronóstico, con más de 90% de probabilidad de un resultado favorable. Los trasplantes son más complicados en personas mayores y en personas con SMD o leucemia mieloide aguda (LMA), o en pacientes que tienen disfunciones de órganos o que tuvieron infecciones. Su médico podrá decirle qué probabilidad de éxito tendría en su caso en particular.

¿Cuánto dura el trasplante?

La transferencia de células usualmente toma menos de 10 minutos. La mayoría de los centros de trasplante esperan que el paciente se quede cerca del centro durante mínimo 100 días. Aunque las complicaciones pueden ocurrir después de este período, los primeros 100 días conllevan el riesgo más alto asociado con un TCMH. Durante la hospitalización inicial para el procedimiento de trasplante, los pacientes son aislados (en una habitación) para reducir el riesgo de exposición a agentes infecciosos. Una vez que la médula se haya recuperado lo suficiente, los pacientes pueden salir de su habitación en el hospital a menos que problemas concomitantes indiquen lo contrario.

Los factores que afectan la cantidad de tiempo lejos de

Recuadro B

Preguntas para ayudar a evaluar la experiencia en AF de un centro de trasplante.

- ¿Cuántos trasplantes en total ha realizado el centro en pacientes con AF?
- ¿Cuántos trasplantes en pacientes con AF realizaron al año durante los últimos 5 años? ¿Cuántos de esos pacientes siguen con vida?
- ¿Qué régimen de tratamiento proponen? Dígame las dosis exactas de cada fármaco y la dosis de radiación (si corresponde). ¿Cuántos pacientes se trataron con este régimen en este centro? ¿Cuántos siguen con vida?
- ¿Cuál es el riesgo de GvHD aguda o crónica en pacientes con AF usando este régimen? ¿Cómo planean prevenir la GvHD?
- ¿Cuánto tiempo harán el seguimiento del paciente (yo/mi hijo/mi pareja)? ¿Quién estará a cargo del seguimiento a largo plazo?

casa incluyen la cantidad de complicaciones del trasplante, como GvHD e infecciones, el acceso a un centro de trasplante de sangre y médula ósea más cerca de la casa del paciente, la opinión del médico que hace la derivación y la evidencia de recuperación inmunológica. Estos factores deben discutirse en cada caso.

Ahora bien, es hora del trasplante. ¿Y qué hay de cuestiones logísticas, como el seguro y el alojamiento durante el tratamiento?

Si la aseguradora cubre la atención en un centro de trasplante que no tiene experiencia o solo tiene experiencia limitada en la AF, a menudo aprobará que el paciente viaje a un centro con experiencia en la AF una vez que entienda las diferencias en la experiencia de los centros y su importancia para la supervivencia del paciente. El rechazo de la aseguradora a cubrir el trasplante o cubrirlo solo en parte en un centro de trasplante con experiencia en la AF (porque están “fuera de la red”) puede objetarse con éxito. Los centros de AF pueden ayudar a obtener la aprobación de la aseguradora.

Otras familias con AF pueden ayudar a abordar temas relacionados con el seguro y otras cuestiones prácticas como el alojamiento durante el trasplante. Si tiene una pregunta

específica, hágala en el Grupo de apoyo a las familias en Facebook para solicitar sugerencias. Marie Sweeten, directora de Servicios familiares del FARF, también está disponible para responder preguntas.

¿Cómo puedo obtener más información?

La mejor forma de informarse y tomar decisiones es hablar con su médico. El libro "Fanconi Anemia: Lineamientos para diagnóstico y manejo" también es un recurso excelente. Los Lineamientos completos están disponibles en www.fanconi.org o bien podemos enviarlos por correo postal. Escriba a info@fanconi.org y solicite una copia. Por último, todos los años se ofrece información actualizada sobre el trasplante de células madre en la reunión familiar que se realiza en junio en Camp Sunshine. ■

* Lineamientos para diagnóstico y manejo, tercera edición, traducción al español.