



CONDICIONAMIENTO PARA TERAPIA GENÉTICA

Guía para pacientes

La anemia drepanocítica (SCD) cambia la forma de los glóbulos rojos. Causa episodios de dolor, complicaciones renales, asma, accidente cerebrovascular y otras afecciones. Se están estudiando nuevos tratamientos prometedores, que se denominan terapias genéticas, para garantizar que sean seguros y eficaces.

¿CÓMO FUNCIONAN LAS TERAPIAS GENÉTICAS?

Las células que se utilizan en las terapias genéticas, llamadas células madre, provienen de la médula ósea de un paciente. La médula ósea es el área blanda y esponjosa en los huesos más grandes del cuerpo que crea todos los tipos de células que componen la sangre. Las células madre se estimulan para que salgan de la médula ósea e ingresen en el torrente sanguíneo para la extracción mediante un procedimiento llamado aféresis. Luego, se modifican en el laboratorio y se regresan al paciente. Estas células madre ahora pueden producir glóbulos rojos redondos sanos, además de otros glóbulos. Para que las terapias genéticas funcionen, el paciente debe someterse a un procedimiento llamado *condicionamiento*.

Acerca del condicionamiento en la terapia genética

¿Qué es el condicionamiento?

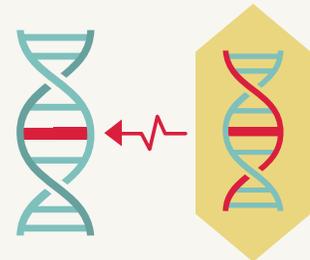
El condicionamiento es el proceso utilizado para preparar al paciente para las terapias genéticas. Esto se realiza mediante el uso de un fármaco de quimioterapia. Existen dos tipos de condicionamiento: mieloablativo y de intensidad reducida.

El condicionamiento mieloablativo a menudo utiliza el fármaco busulfán. El condicionamiento de intensidad reducida generalmente utiliza el fármaco melfalán.



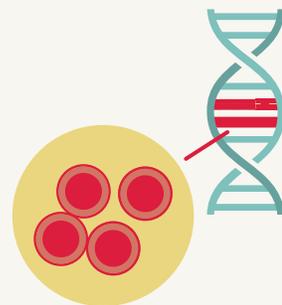
¿Cuándo y dónde ocurre el condicionamiento?

El condicionamiento ocurre después de que las células madre se han modificado en el laboratorio. Permite que las células madre se regresen al paciente. El condicionamiento se realiza en un hospital y el paciente podría tener que permanecer varias semanas después de que comience el condicionamiento.



¿Por qué es necesario el condicionamiento y cómo funciona el condicionamiento?

La médula ósea de un paciente debe tener espacio para las nuevas células madre modificadas por terapias genéticas. Esto les permite asentarse para luego producir nuevos glóbulos. Sin este espacio, las células madre modificadas no sobrevivirán y el tratamiento no funcionaría.



¿Cómo me preparo para el condicionamiento?

Antes

PLANIFICACIÓN DE LA VIDA

La planificación de la vida debe ser parte de la preparación para el condicionamiento. Esto incluye hacer planes sobre su familia, su hogar, sus finanzas, sus mascotas y su empleo. También debe pensar en completar un documento legal denominado “directiva anticipada” (incluido testamento vital, poder notarial duradero y poder de atención médica). Un abogado o trabajador social podría ayudar con estos documentos.³

PROCEDIMIENTOS MÉDICOS

Asegurarse de estar mental y físicamente preparado para el procedimiento es importante. Un médico le realizará pruebas para asegurarse de que puede someterse al procedimiento. Además de la quimioterapia, es posible que deba tomar otros fármacos antes, durante y después del procedimiento.

Estos fármacos pueden ayudar a disminuir los efectos secundarios del condicionamiento. Para minimizar la cantidad de vías intravenosas (i.v.) y pinchazos con aguja, se le colocará un tubo flexible delgado, llamado vía central, en una vena grande de la parte superior del pecho. Es importante mantener el área limpia y estar atento a signos de infección. Debe preguntarle a su médico cómo cuidar adecuadamente la vía central.^{1,2}

Después

Los pacientes permanecen en el hospital durante varias semanas después del condicionamiento porque el riesgo de infección es mucho mayor durante ese período. Su salud se vigilará atentamente mientras esté en el hospital. También recibirá controles durante varios años después del condicionamiento.

¿QUÉ EFECTOS SECUNDARIOS PUEDEN OCURRIR CON EL CONDICIONAMIENTO?

Hay una serie de efectos secundarios que pueden ocurrir con el condicionamiento. Algunas cosas que pueden suceder rápidamente son caída del cabello, erupción, náuseas o vómitos e infecciones, algunas de las cuales pueden ser potencialmente mortales. Las cosas que pueden tardar más en aparecer son problemas de dientes y boca, no poder tener hijos, tipos de cáncer o daño hepático y óseo.

Se le debe proporcionar una lista completa de riesgos antes de comenzar el condicionamiento. Hable con su médico para que lo ayude a determinar los riesgos más probables.



PREGUNTAS PARA HACER A UN PROVEEDOR

- ¿Existen otras opciones de tratamiento para la anemia drepanocítica que puedan ser mejores para mí?
- ¿Por qué necesito condicionamiento?
- ¿Cuál es la diferencia en los efectos secundarios del condicionamiento mieloablativo y de intensidad reducida?
- ¿Cómo determinan los médicos la dosis y el cronograma de mi régimen de condicionamiento?
- ¿Cuánto tiempo permaneceré en el hospital?
- ¿Hay otros fármacos que pueda tomar para ayudar con los efectos secundarios?
- ¿Cuáles son los problemas de fertilidad más comunes?
- ¿Es una opción para mí pasar por tratamientos de preservación de la fertilidad? Si es así, ¿cuándo debo decidir?
- ¿Qué precauciones deberé tomar antes del condicionamiento? ¿Después?
- ¿Qué puedo esperar después de dejar el hospital?
- ¿Cómo cuida mi vía central?
- ¿Hay alimentos o medicamentos que debo o no debo tomar?
- ¿Hay actividades que debería o no debería hacer?
- ¿Cuándo debo llamar a un médico?

RECURSOS ADICIONALES

- ¿Cómo puede la terapia génica curar la anemia drepanocítica? ([Infografía](#)).
- Evaluación previa a la terapia génica de la preparación y resiliencia del paciente: Mejores prácticas y recomendaciones para la implementación en la anemia de células falciformes ([Recomendaciones](#)).

Para más información, visite: www.curesickle.org y síganos en X @TheCureSci

REFERENCIAS

- 1 Leukemia and Lymphoma Society: Blood and Marrow Stem Cell Transplantation
- 2 AHPON medication factsheet 5th edition.