

Para obtener más información sobre los ensayos clínicos, visite:

<https://www.nih.gov/health-information/nih-clinical-research-trials-you>

Si desea obtener más información, diríjase al enlace

“Stay Connected” (Manténgase conectado) en: www.curesickle.org.

CURE SICKLE CELL.



Reescribir la historia de la célula falciforme

DURANTE AÑOS, se ha avanzado mucho en el esfuerzo por tratar y prevenir las complicaciones de la anemia drepanocítica (Sickle Cell Disease, SCD), pero sigue habiendo desafíos para aquellos que viven con la enfermedad. Actualmente, debido a los desarrollos en terapias genéticas, hay cada vez más esperanzas de nuevos enfoques de tratamiento seguros y efectivos que transformarán la vida de las personas con SCD. Para acelerar esos desarrollos, la Iniciativa Cure Sickle Cell está reuniendo a pacientes, cuidadores, defensores, investigadores académicos y de la industria, y socios federales. Únase a nosotros en este emocionante recorrido.

**CURE
SICKLE
CELL.**



VERSIÓN 2.2; ACTUALIZADA EL 4 DE JUNIO DE 2025

CONSTRUIR A PARTIR DEL LEGADO DE EXCELENCIA DEL NHLBI EN LA INVESTIGACIÓN DE SCD

1948

La investigación financiada por el NHLBI ayudó a descubrir cómo se hereda la SCD.

1972

La ley estableció el apoyo para la detección, el asesoramiento, la educación y la capacitación en investigación de la SCD.

1977

Un estudio ayudó a comprender el crecimiento, el desarrollo, el dolor y las complicaciones de los pacientes con SCD.

1986

Un estudio de referencia, financiado por el NHLBI, demostró que un antibiótico podía prevenir las infecciones bacterianas mortales en niños con SCD.

1987

Un panel de expertos organizado por el NHLBI recomendó la detección de la SCD en los recién nacidos.

1995

Un estudio de referencia, financiado por el NHLBI, demostró que la hidroxiurea reducía las crisis de dolor, el síndrome torácico agudo, las hospitalizaciones y las transfusiones.

1997

El estudio STOP, financiado por el NHLBI, halló que los métodos de detección y las transfusiones continuas reducían el riesgo de accidente cerebrovascular en ciertos pacientes con SCD.

1998

En función de una investigación financiada por el NHLBI, la FDA aprobó la hidroxiurea para prevenir las crisis de dolor.

2001

Una investigación financiada por el NHLBI llevó a mejores maneras de realizar trasplantes de sangre y médula ósea en niños con SCD.

2005

El estudio STOP II, financiado por el NHLBI, halló que interrumpir las transfusiones de sangre aumentaba el riesgo de accidente cerebrovascular en los niños con SCD.

2009

Un estudio del NHLBI halló que el dolor crónico es frecuente en los pacientes con SCD.

Una investigación del NHLBI llevó a mejores maneras de realizar trasplantes de sangre y médula ósea en adultos con SCD.

2010

Se formó una asociación federal para ayudar a comprender la frecuencia de la SCD en los Estados Unidos.

2011

El estudio BABY HUG, financiado por el NHLBI, halló que la hidroxiurea era segura para los niños pequeños con SCD.

2014

El NHLBI publicó un informe del panel de expertos sobre la SCD para ayudar a los pacientes a recibir una atención adecuada.

Investigadores financiados por el NHLBI usaron la modificación del genoma para corregir el gen S de la hemoglobina en el laboratorio por primera vez.

2015

El NHLBI lanzó un nuevo esfuerzo para ayudar a comprender y superar los obstáculos de la atención de los pacientes con SCD.

2016

Un estudio financiado por el NHLBI halló que la hidroxiurea es tan eficaz como las transfusiones de sangre para reducir los factores de riesgo o de accidente cerebrovascular en los niños con SCD.

2018

Se lanzó la Iniciativa Cure Sickle Cell, dirigida por el NHLBI, para acelerar el desarrollo de terapias genéticas para la SCD. La Iniciativa complementa otras investigaciones del NHLBI sobre la anemia drepanocítica.

2019

La FDA aprobó el voxelotor (retirado del mercado en 2024) para prevenir la falciformación de glóbulos rojos y el crizanlizumab-tmca a fin de reducir las crisis vaso-oclusivas.

2020

La Iniciativa Cure Sickle Cell financia conjuntamente ensayos de fase 1 y fase 2 de terapias genéticas contra la SCD.

2023

La FDA aprobó las primeras terapias genéticas celulares, Casgevy y Lyfgenia, para el tratamiento de la anemia drepanocítica.

PREGUNTAS FRECUENTES

¿CUÁLES SON LOS OBJETIVOS DE LA INICIATIVA CURE SICKLE CELL?

La Iniciativa tiene como objetivo:

- Crear un entorno de investigación colaborativo y centrado en el paciente.
- Involucrar a investigadores académicos, investigadores del sector privado, defensores, pacientes y cuidadores.
- Determinar las terapias genéticas más seguras, más eficaces y más fáciles de adoptar a nivel general contra la SCD.
- Incorporar las terapias genéticas recientemente desarrolladas, incluidos los abordajes de modificación del genoma, en los ensayos clínicos.

¿CÓMO SE DIFERENCIA LA INICIATIVA DE OTROS ESFUERZOS EN LA ANEMIA DREPANOCÍTICA?

La Iniciativa Cure Sickle Cell se desarrolló para identificar y apoyar las terapias genéticas más prometedoras para la anemia drepanocítica. Es diferente de otros esfuerzos porque se basa en la creciente cantidad de avances tecnológicos y en los descubrimientos más recientes en genética para transformar las vidas de personas con SCD.

La Iniciativa reconoce las voces cruciales de los pacientes, los defensores y los cuidadores, y cada aspecto de este esfuerzo es informado por aquellos afectados por la SCD.

¿CÓMO HAN PARTICIPADO EN LA INICIATIVA LAS PERSONAS QUE VIVEN CON SCD?

Reconocemos el rol vital de las personas que viven con SCD en nuestros esfuerzos. El compromiso de estas personas es un componente crucial de la Iniciativa, por lo cual trabajan junto con los investigadores no solo para ayudar a establecer la agenda de investigación, sino también para ayudar a encontrar maneras de educar y reclutar a pacientes para participar en ensayos clínicos. Los representantes

de pacientes participan en todos los niveles de la Iniciativa y continúan guiando los esfuerzos.

¿CUÁNDO ESTARÁN DISPONIBLES LOS NUEVOS TRATAMIENTOS PARA LAS PERSONAS QUE VIVEN CON SCD?

En diciembre de 2023, la FDA aprobó dos nuevas terapias, las primeras terapias genéticas celulares para el tratamiento de la anemia drepanocítica. Los NIH y el NHLBI continúan financiando la investigación y colaborando con los investigadores para trasladar las posibles terapias genéticas de manera segura a los ensayos clínicos.

¿CÓMO PUEDO APOYAR EL ESFUERZO?

Durante años, los pacientes han sido el pilar de la investigación del NHLBI, y la Iniciativa Cure Sickle Cell no es diferente. Nuestros esfuerzos combinados dependen de los aportes, las opiniones y las sugerencias de nuestros diversos grupos de partes interesadas, pero más fundamentalmente de aquellos que viven con SCD. No podemos aprovechar las oportunidades científicas y avanzar en las curas sin el apoyo y la participación total de la comunidad de pacientes.

Una de las formas más significativas de apoyar el esfuerzo es aprender más sobre la importancia de los ensayos clínicos y tomar una decisión informada sobre la participación. Una conversación importante en la comunidad de la anemia drepanocítica es cómo superar los obstáculos para avanzar, lo que incluye explorar creencias sobre la participación en los ensayos clínicos.

Para obtener más información sobre los ensayos clínicos, visite:

<https://www.nih.gov/health-information/nih-clinical-research-trials-you>

Si desea obtener más información, diríjase al enlace “Stay Connected” (Manténgase conectado) en:

www.curesickle.org