

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>

Pronto compartiremos información acerca de nuevas oportunidades para la participación de pacientes.

Si desea obtener más información, diríjase al enlace "Contact" (Contacto) en: www.curesickle.org

ALCANCE A NIVEL NACIONAL

Estamos escuchando y estamos aprendiendo. Hemos comenzado a viajar por el país y a escuchar las experiencias de las personas que viven con anemia drepanocítica. A continuación hay un mapa de dónde hemos estado y esperamos ampliar nuestra presencia para comprender mejor las necesidades de la comunidad de la SCD.



Si está interesado en obtener más información sobre la Iniciativa *Cure Sickle Cell*, visite nuestro sitio web en curesickle.org

**CURE
SICKLE
CELL.**



NIH National Heart, Lung, and Blood Institute

VERSIÓN 2.0; ACTUALIZADA EL 29 DE ENERO DE 2020

CURE SICKLE CELL.



Es el momento de reescribir la historia de la anemia drepanocítica.

DURANTE AÑOS, se ha avanzado mucho en el esfuerzo por tratar y prevenir las complicaciones de la anemia drepanocítica (SCD), pero sigue habiendo desafíos para aquellos que viven con la enfermedad. Ahora, debido a los desarrollos en el campo de las terapias genéticas, existe más esperanza de una cura. 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.

CONSTRUIR A PARTIR DEL LEGADO DE EXCELENCIA DEL NHLBI EN LA INVESTIGACIÓN DE LA ANEMIA DREPANOCÍTICA (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 de accidente cerebrovascular en los niños con SCD.

2018 en adelante

Se lanzó la Iniciativa *Cure Sickle Cell*, dirigida por el NHLBI, para acelerar el desarrollo de terapias genéticas para curar la SCD. La Iniciativa complementa otras investigaciones del NHLBI sobre 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 a fin de desarrollar estrategias para curas.
- Determinar las terapias genéticas más seguras, más eficaces y más fáciles de adoptar a nivel general.
- Incorporar las terapias genéticas recientemente desarrolladas, incluidos los abordajes de modificación del genoma, en la investigación clínica en un plazo de cinco a diez años.

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

La Iniciativa *Cure Sickle Cell* se desarrolló para identificar y apoyar las curas 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 ayudar a acelerar nuestra motivación de obtener curas. La Iniciativa y sus socios de investigación están trabajando para establecer un depósito nacional de datos de terapias genéticas para la anemia drepanocítica (sickle cell disease, SCD). También están estudiando diferentes abordajes curativos para evaluar la eficacia clínica y rentable de cada uno.

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 PARTICIPARÁN EN LA INICIATIVA LAS PERSONAS QUE VIVEN CON SCD? ¿SE INCLUIRÁ A NIÑOS?

Reconocemos el rol vital de las personas

que viven con SCD en nuestros esfuerzos para encontrar nuevas curas. El compromiso de estas personas es un componente crucial de la Iniciativa, por lo cual trabajarán 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 los pacientes ya están involucrados en cada nivel de la Iniciativa, y continuamos asistiendo a reuniones grupales de defensa y dirigiendo sesiones de interlocución y grupos de enfoque en la comunidad para ayudar a guiar los esfuerzos de la Iniciativa.

Las terapias genéticas que se están estudiando como una posible cura para la SCD requerirán pruebas. Nuestros esfuerzos iniciales se centran en determinar la seguridad en los adultos, y una vez establecida, y con la aprobación de la Administración de Alimentos y Medicamentos (Food and Drug Administration, FDA), esperamos comenzar ensayos que incluyan la participación de niños y adolescentes.

¿CUÁNDO PODRÍAN ESTAR DISPONIBLES LOS NUEVOS TRATAMIENTOS O UNA CURA PARA LAS PERSONAS QUE VIVEN CON SCD?

Los Institutos Nacionales de Salud (National Institutes of Health, NIH) y el Instituto Nacional del Corazón, los Pulmones y la Sangre (National Heart, Lung, and Blood Institute, NHLBI) financian la investigación y colaboran con los investigadores para incorporar, de forma segura, las posibles terapias genéticas en ensayos clínicos en un plazo de cinco a diez años, y estos ensayos se centrarán en las personas que viven con anemia drepanocítica. Si los estudios cumplen los requisitos de la FDA respecto de la seguridad y la eficacia, se desarrollarán ensayos de mayor tamaño incluso con más pacientes.

¿CÓMO PUEDO APOYAR EL ESFUERZO?

Durante años, los pacientes han sido el pilar de la investigación del NHLBI, y la