

Anemia aplástica (grave)

La anemia aplástica es una enfermedad de la médula ósea. La médula ósea deja de fabricar suficientes glóbulos rojos, glóbulos blancos y plaquetas para el organismo. Las células sanguíneas que fabrica la médula ósea son normales, pero no son suficientes. La anemia aplástica puede ser moderada, grave o muy grave. Las personas con anemia aplástica grave o muy grave corren el riesgo de tener infecciones o hemorragias potencialmente fatales.

Causas, síntomas y diagnóstico

La anemia aplástica es una enfermedad poco frecuente. Aproximadamente 3 personas de cada millón contraen anemia aplástica en los Estados Unidos por año. La enfermedad aparece con más frecuencia en los países del este de Asia, donde afecta a unas 15 personas de cada millón. Puede afectar a personas de cualquier edad.

Causas

La médula ósea produce todas las células sanguíneas del organismo.

- Los glóbulos rojos transportan oxígeno a todas las partes del cuerpo.
- Los glóbulos blancos ayudan al organismo a combatir las infecciones.
- Las plaquetas ayudan a controlar las hemorragias.

Cada célula sanguínea vive una cierta cantidad de días, de modo que el organismo necesita aprovisionarse de ellas constantemente. La médula ósea sana siempre está fabricando células nuevas. Sin embargo, en la anemia aplástica, la médula fabrica una cantidad mucho menor de lo normal de los tres tipos de células sanguíneas. En casos muy graves, la médula puede dejar de fabricar células sanguíneas por completo.

En la mayoría de los casos, los médicos no saben cuál es la causa de la anemia aplástica. En aproximadamente un 20% de los pacientes, la enfermedad surge a partir de un trastorno hereditario, como la anemia de Fanconi. La anemia aplástica también puede deberse a altas dosis de radiación o a ciertas sustancias químicas o virus. Se ha comprobado que en muchas personas la anemia aplástica es una enfermedad autoinmunitaria. Esto significa que el sistema inmunológico del organismo reacciona contra sí mismo. El sistema inmunológico ataca la médula ósea y le impide fabricar suficientes células sanguíneas.

Síntomas

Los síntomas de la anemia aplástica se deben a la poca cantidad de células sanguíneas. La gravedad de los síntomas de una persona depende de la cantidad de células sanguíneas que tenga.

- Si tiene pocos glóbulos rojos, la persona puede sentirse cansada o débil, tener falta de aire y estar pálida.
- Si tiene pocos glóbulos blancos puede contraer infecciones frecuentes o graves.
- Si tiene pocas plaquetas, pueden salirle moretones o sangrar con facilidad, y tener unos puntos rojos debajo de la piel (llamados petequias) o hemorragias difíciles de parar.

En una persona con anemia aplástica moderada, estos síntomas pueden ser leves o moderados. En una persona con anemia aplástica grave o muy grave, las infecciones o hemorragias pueden poner en peligro la vida.

Diagnóstico

Para diagnosticar la anemia aplásica, los médicos analizan muestras de sangre y médula ósea. En la anemia aplásica, hay poca cantidad de glóbulos rojos, glóbulos blancos y plaquetas en la sangre. Las pocas células que aparecen son normales (no son cancerosas). Según la cantidad de células que aparezcan, los médicos diagnostican la enfermedad como anemia aplásica moderada, grave o muy grave. La anemia aplásica moderada a veces se agrava con el tiempo, por lo que los médicos están atentos a si aparecen signos de que la enfermedad está cambiando.

Opciones de tratamiento

Las opciones de tratamiento para la anemia aplásica dependen de cuán grave sea la enfermedad. Una persona con anemia aplásica moderada puede no necesitar ningún tratamiento. Pero los médicos controlarán las cantidades de células sanguíneas con frecuencia para ver si la enfermedad empeora.

Una persona con anemia aplásica grave o muy grave necesita tratamiento cuanto antes. En los casos de anemia aplásica grave o muy grave, las opciones de tratamiento estándar (se explican más adelante) incluyen:

- El tratamiento sintomático para mantener al paciente estable hasta que otro tratamiento se pueda comenzar o surta efecto — incluye transfusiones de sangre, administración de factores de crecimiento y prevención de infecciones
- Tratamiento inmunosupresor con medicamentos que suprimen (debilitan) el sistema inmunológico
- Trasplante de médula ósea o de sangre de cordón umbilical (también llamado TMO)

Todos los pacientes con anemia aplásica grave necesitan tratamiento sintomático, pero los únicos tratamientos que pueden curar la enfermedad o controlarla a largo plazo son el trasplante y el tratamiento inmunosupresor. El trasplante es el tratamiento estándar preferido para muchos pacientes, mientras que el tratamiento inmunosupresor es la primera opción para otros.

La investigación del tratamiento de la anemia aplásica continúa, así que podría haber otras opciones de tratamiento nuevas. Cualquiera sea el tratamiento que elijan usted y su médico, usted puede elegir participar en un ensayo clínico. Hasta los tratamientos estándar se siguen estudiando en ensayos clínicos. Estos estudios ayudan a los médicos a mejorar los tratamientos para que más pacientes puedan obtener mejores resultados.

Tratamiento inmunosupresor

El tratamiento inmunosupresor es uno de dos tratamientos estándar que pueden ofrecer al enfermo de anemia aplásica grave una vida más prolongada. El otro tratamiento, el trasplante, muchas veces se recomienda como el primer tratamiento para los niños y jóvenes que tienen un hermano donante apto. El tratamiento inmunosupresor a menudo se recomienda como el primer tratamiento en pacientes que:

- Tienen más de 40 años, aunque las recomendaciones basadas en la edad varían de un médico a otro y dependen de otros factores del paciente
- No pueden tolerar un trasplante debido a otros problemas de salud o a tener mucha edad
- No cuentan con un donante apto o una unidad de sangre de cordón umbilical para el trasplante
- Recibirán un trasplante, pero están esperando que aparezca un donante apto
- Optan por el tratamiento inmunosupresor después de sopesar los posibles riesgos y beneficios de todas las opciones

El sistema inmunológico está formado por órganos y células que trabajan conjuntamente para proteger el organismo contra las infecciones y las enfermedades. El sistema inmunológico utiliza glóbulos blancos para combatir las infecciones. Los glóbulos blancos marcan y atacan las células que no reconocen como pertenecientes al organismo. El tratamiento inmunosupresor utiliza medicamentos que suprimen (debilitan) el sistema inmunológico. Este tratamiento se basa en la teoría ampliamente aceptada de que la anemia aplásica es el resultado de que el sistema inmunológico ataca la médula ósea. El tratamiento inmunosupresor debilita la respuesta del sistema inmunológico y permite que la médula ósea fabrique más células sanguíneas. En muchas personas, el tratamiento inmunosupresor consigue llevar el número de células sanguíneas a la normalidad y permite la supervivencia a largo plazo.

El tratamiento inmunosupresor tiene pocos riesgos a corto plazo. Sin embargo, los enfermos muchas veces deben repetir o continuar el tratamiento a largo plazo. El tratamiento también aumenta el riesgo de contraer una segunda enfermedad como síndrome mielodisplásico o leucemia en el futuro.

Trasplante de médula ósea o de sangre de cordón umbilical (TMO)

Para muchos pacientes con anemia aplásica grave o muy grave, un trasplante de médula ósea o de cordón umbilical es el tratamiento estándar preferido. El trasplante sustituye las células anormales en la médula ósea con células formadoras de sangre sanas provenientes de un familiar o un donante no relacionado, o una unidad de sangre de cordón umbilical.

El donante para un trasplante debe ser muy compatible con el tipo de tejido del donante. El mejor donante suele ser un hermano compatible. Cuando los pacientes no tienen un donante apto en la familia, los médicos pueden buscar en el Registro del Programa Nacional de Donantes de Médula Ósea (NMDP) para ver si encuentran un voluntario adulto o una unidad de sangre de cordón umbilical que sean compatibles.

Un trasplante puede ofrecer las mayores probabilidades de cura para la anemia aplásica, pero no es una opción para todos los pacientes. El trasplante puede ser una buena opción para los pacientes que cuentan con un donante o una unidad de sangre de cordón umbilical compatible y que estén lo suficientemente sanos como para tolerar el trasplante. Los niños y jóvenes suelen obtener mejores resultados que los pacientes mayores, pero los avances en los trasplantes han permitido que más pacientes de edad se sometan a trasplantes con éxito.

Los trasplantes para la anemia aplásica pueden conllevar riesgos serios. Sin embargo, los médicos han desarrollado opciones de tratamiento para hacer frente a estos riesgos y los resultados de los trasplantes han mejorado en la última década.

Un riesgo que es mayor para los pacientes con anemia aplásica que para cualquier otra enfermedad es el rechazo del injerto o el fracaso del injerto (cuando las células trasplantadas no logran reproducirse y fabricar células sanguíneas para el organismo). El haber recibido muchas transfusiones incrementa el riesgo de rechazo del injerto porque el sistema inmunológico del paciente puede desarrollar anticuerpos que pueden reaccionar contra las células trasplantadas. En la actualidad, los médicos les administran a los pacientes con anemia aplásica la menor cantidad de transfusiones posibles. La sangre transfundida comúnmente también se trata con radiación y se filtra para eliminar los glóbulos blancos. Estas prácticas han mejorado los resultados de los trasplantes.

Otro serio riesgo del trasplante para los pacientes con anemia aplásica es la enfermedad del injerto contra el huésped (EICH). Esta es una complicación común del trasplante que puede ser de leve a grave. En los pacientes que reciben un trasplante para tratar la leucemia u otro cáncer, la EICH puede estar asociada con un efecto beneficioso de injerto contra el huésped. Sin embargo, la EICH no aporta ningún beneficio para los pacientes con anemia aplásica. Los avances en el tratamiento de la EICH han reducido el riesgo, pero los médicos continúan en busca de mejores tratamientos.

La elección del tratamiento

Si usted o su hijo tiene anemia aplásica, es importante ver a un médico que sea un experto en esta enfermedad. Si su médico no ha tratado nunca a otros pacientes con anemia aplásica, pídale que lo remita a un experto para una consulta.

Un médico experto en anemia aplásica puede hablar con usted sobre sus opciones de tratamiento y explicarle los posibles riesgos y beneficios. Cualquiera sea el tratamiento que elijan usted y su médico, usted puede elegir participar en un ensayo clínico. Los ensayos clínicos ayudan a los médicos a obtener conocimientos que pueden mejorar los tratamientos para los pacientes en el futuro. Hasta los tratamientos estándar se siguen estudiando en ensayos clínicos.

Los dos tratamientos estándar, el tratamiento inmunosupresor y el trasplante, tienen índices de supervivencia similares en algunos grupos de pacientes. Ambos tratamientos conllevan posibles riesgos y efectos secundarios:

- Un trasplante conlleva un mayor riesgo de efectos secundarios potencialmente mortales al principio del tratamiento, pero el trasplante puede representar una cura a largo plazo.
- El tratamiento inmunosupresor conlleva menos riesgos, pero la mayoría de los pacientes no se cura y necesitan tratamiento por mucho tiempo.
- Ambos tratamientos conllevan ciertos riesgos de efectos secundarios o complicaciones a largo plazo.
- Los posibles riesgos y beneficios de estos tratamientos varían de una persona a otra, dependiendo de la edad y de otros factores de salud.

Muchos médicos recomiendan un trasplante a los pacientes menores de 20 años, especialmente los que cuentan con un hermano compatible como donante. Los médicos también recomiendan un trasplante para muchos pacientes de 20 a 40 años de edad que tienen un hermano compatible como donante. En el caso de los pacientes mayores de 40 años y aquellos que no tienen un hermano donante compatible, muchos médicos recomiendan probar primero el tratamiento inmunosupresor. Sin embargo, la edad es sólo uno de los factores a tener en cuenta al decidir el tratamiento. Si un paciente no responde al tratamiento inmunosupresor en 3 ó 4 meses, podría ser una opción recurrir a un trasplante usando un hermano o un donante no relacionado o una unidad de sangre de cordón umbilical.

El tiempo que transcurre entre el diagnóstico y el trasplante puede afectar el resultado del trasplante. A fin de mejorar las probabilidades de que el trasplante tenga éxito, usted y su médico pueden planificar con antelación. Una consulta con un médico especialista en trasplantes puede ayudar a determinar si el trasplante es una buena opción en su caso, ya sea como primera opción de tratamiento o como segundo tratamiento si el tratamiento inmunosupresor fracasa.

Incluso si comienza el tratamiento inmunosupresor, su médico puede tomar medidas para prepararlo por si el tratamiento inmunosupresor no logra buenos resultados. Su médico puede averiguar si hay algún donante posible en su familia. También puede buscar en el Registro del Programa Nacional de Donantes de Médula Ósea para ver si encuentra donantes voluntarios no relacionados o unidades de cordón umbilical. De esa manera, si usted y su médico deciden que necesita un trasplante más adelante, ya se habrán dado los primeros pasos de la búsqueda de un donante y podrá avanzar hacia el trasplante con mayor rapidez.

La Oficina de Apoyo al Paciente (Office of Patient Advocacy, OPA) del NMDP ayuda a los pacientes y sus familias desde el diagnóstico hasta la supervivencia. La OPA ofrece programas, recursos y servicios que satisfacen las necesidades específicas de los pacientes brindando asesoramiento personal, materiales educativos o información en otros idiomas. Para hablar con un administrador de casos de la OPA, llame sin cargo al 1 (888) 999-6743. Fuera de los Estados Unidos, llame al (612) 627-8140. Los administradores de casos atienden de lunes a viernes de 8 a.m. a 5 p.m. Hora del centro.