aphon
Association of Pediatric Hematology/Oncology Nurses

◄ English | Spanish ►

A Handbook for Families

Aplastic Anemia

HEMATOLOGY SERIES

aphon
Association of Pediatric Hematology/Oncology Nurses

A HANDBOOK FOR FAMILIES

Aplastic Anemia

HEMATOLOGY SERIES

APLASTIC ANEMIA
A HANDBOOK FOR FAMILIES

Authors

Lynnette Anderson, MS RN CPNP

Mollie Haddigan Mulberry, MS RN CPNP CPON®

Susan Burke, MA RN CPNP CPHON®

Content Reviewer

2015–2016 Steering Council

Parent Reviewer

Peter Rodriguez

ABOUT THIS COVER

This cover is specially designed for your child to color and personalize. When your child finishes decorating the cover, return it to the clinic or doctor's office where you received the handbook. Your child's healthcare provider will then send it to APHON for posting on the APHON website.

This handbook is published by the Association of Pediatric Hematology/Oncology Nurses (APHON) for educational purposes only. The material has been developed by sources believed to be reliable. The material is not intended to represent the only acceptable or safe treatment of aplastic anemia. Under certain circumstances or conditions, additional or different treatment may be required.

As new research and clinical experience expand the sources of information available concerning the treatment of aplastic anemia, adjustments in treatment and drug therapy may be required.

APHON makes no warranty, guarantee, or other representation, express or implied, concerning the validity or sufficiency of the treatments or related information contained in this handbook.

APHON grants the purchaser of this handbook unrestricted permission to photocopy or print the handbook for educational use by the purchaser or the purchaser's institution. Purchaser may not alter content or receive monetary gain from distributing photocopies of this product.

Copyright © 2019 by the Association of Pediatric Hematology/Oncology Nurses
8735 W. Higgins Road, Suite 300 • Chicago, IL 60631
847.375.4724 • Fax 847.375.6478 • info@aphon.org • www.aphon.org

WHAT IS APLASTIC ANEMIA?

Aplastic anemia is a bone marrow failure syndrome. The bone marrow "shuts off" and stops producing white blood cells (WBCs), red blood cells (RBCs), and platelets. As a result, children with aplastic anemia are at risk for life-threatening infections, anemia, and bleeding. Children with aplastic anemia can become very sick and may require prolonged hospitalization, blood and platelet transfusions, intravenous (IV) antibiotics, and other medical tests and treatments.

WHAT IS BONE MARROW?

Bone marrow is spongy material located within the bones. It is like the "garden" for the body where the blood-forming cells (WBCs, RBCs, and platelets) grow. These cells are formed from a very young stem cell, which is like a seed. As the seed grows, it blossoms into fully functional and mature WBCs, RBCs, and platelets.

WHAT DO THE CELLS OF THE BONE MARROW DO?

White Blood Cells

WBCs help the body fight infection. They are part of the immune system. Different types of WBCs have different functions. Lymphocytes produce antibodies that allow the body to remember an infection. This memory helps the body to fight and control future exposure to these infections and to respond to immunizations. If these cells do not work properly, very serious and life-threatening infections can develop.

Neutrophils, which are part of the WBCs, specifically fight bacterial and fungal infections. The absolute neutrophil count (ANC) is a calculated percentage of the WBCs that are neutrophils. This number tells you how well your child's body is able to fight bacterial infection.

ANC is calculated using the following formula:

ANC = total WBCs x (segs/polys + bands)

Multiply total WBCs by the total of segs/polys + bands. (Segs or polys are mature WBCs that fight infection. Bands are immature segs or polys that cannot fight infections as well but do help. The segs/polys and bands are both neutrophils. Different labs may use different terminology to identify neutrophils. Your child's nurse can show you how to calculate the ANC.)

Example: WBC is 5. This means 5,000. Your child has 20% segs (0.20) and 5% bands (0.05).

Calculate the ANC as follows:

ANC = 5,000 x (.20 + .05)

ANC = 5,000 x (.25)

ANC = 1,250

A child with a low ANC (less than 1,000) is considered neutropenic or not able to fight infection. A child with an ANC less than 500 is considered severely neutropenic.

Red Blood Cells

RBCs carry oxygen to all parts of the body. Oxygen is food and nourishment for all the organs, including the heart, lungs, stomach, intestines, and brain, and keeps them working well. *Hemoglobin* is the protein in the RBCs that attaches to oxygen. *Anemia* occurs when the blood does not have enough healthy RBCs or hemoglobin. When hemoglobin levels are very low, cells in the body do not get enough oxygen.

Platelets

Platelets are sticky and help the body control bleeding by clumping together. An example of this is when a cut stops bleeding. As the bleeding slows, the blood cells stick together and form into a clot. If the blood has a low number of platelets, bleeding may be quick and spontaneous (without injury). When platelet levels are very low, a child could bleed into his or her head or another vital part of the body, which can be life threatening.

HOW DID MY CHILD GET APLASTIC ANEMIA?

Most cases of aplastic anemia are idiopathic, which means the cause is unknown. We do know that aplastic anemia is not caused by anything a parent or child did or did not do.

Aplastic anemia has been linked to exposure to radiation and some chemicals, such as benzene. Some inherited diseases, such as Fanconi anemia, dyskeratosis congenita, Shwachman–Diamond syndrome, and Diamond-Blackfan anemia, have been associated with the development of aplastic anemia. Infections such as Epstein Barr virus, hepatitis, and parvovirus (fifth disease) also have been associated with causing aplastic anemia.

WHAT ARE THE SIGNS AND SYMPTOMS OF APLASTIC ANEMIA?

Signs and symptoms of aplastic anemia occur as a result of bone marrow failure. If your child's WBC count is low, he or she is at risk for developing fever and infection. It is important to monitor your child closely for fever and to contact your healthcare team immediately if a fever develops.

If your child's RBC count is low, he or she may become pale, suffer from fatigue (decreased energy), and experience shortness of breath or headaches. If your child's hemoglobin level becomes extremely low, he or she may receive a packed RBC transfusion.

If your child's platelet count is low, he or she is at risk for bleeding and can have spontaneous nosebleeds, bleeding gums, excessive bruising, bruising in unusual areas such as the back or chest, and petechiae (pinpoint purple dots on the skin that are small hemorrhages). If your child's platelet count is very low and he or she is experiencing bleeding, a platelet transfusion may be given.

HOW IS APLASTIC ANEMIA DIAGNOSED?

When a child develops signs of aplastic anemia, one of the first steps to making the diagnosis is a blood test. Blood tests are done by inserting a needle into the child's arm or hand to draw blood that can be sent to a laboratory for analysis. Drawing blood can be difficult for the child and parent, but it is necessary to obtain an accurate diagnosis.

A test called the complete blood count (CBC) measures the number of WBCs, RBCs, and platelets that are circulating in the blood. In a child with aplastic anemia, all of these numbers are low. A reticulocyte count, which assesses the number of healthy young RBCs the body is making, may be low as well.

Your healthcare team also will order a chemistry panel to check your child's electrolyte balance and to evaluate how well the kidneys and liver are working. The blood sample also may be be tested for recent viral infections. These tests will help your healthcare team look for other causes of decreased blood counts and help confirm the diagnosis of aplastic anemia.

The diagnosis of aplastic anemia is confirmed by a bone marrow aspirate and biopsy. These tests help your healthcare team to understand the reason for your child's marrow failure and to rule out other reasons for low blood counts. During a bone marrow aspirate, a needle is inserted through the bone, generally into the iliac crest (hip bone), and a sample of the bone marrow from the spongy space in the bone is removed. The bone marrow is then examined under a microscope by a specially trained doctor (pathologist or hematologist) to see if WBCs, RBCs, and platelets are being produced normally. The pathologist also looks for any abnormal cells, such as immature blood forming cells (blasts), which can indicate leukemia, and dysmorphic (abnormal-looking) cells, which can indicate a different disease. The bone marrow also is assessed for protein expression of malignant (cancer) cells, which can indicate leukemia, and chromosomal abnormalities, which can diagnose other diseases. In children with aplastic anemia, protein expression and chromosome tests are normal.

A bone marrow biopsy is necessary to diagnose aplastic anemia. During the bone marrow biopsy, a needle is inserted into the hip bone and a small "core," or a cylinder-shaped piece of the bone, is obtained. The pathologist looks at this core and determines how cellular the marrow is. In children with aplastic anemia, the bone marrow is hypocellular, which means very few of the blood-forming cells are seen under the microscope. The degree of cellularity is graded as a percentage. That percentage helps determine the severity of the aplastic anemia.

The bone marrow aspirate and biopsy are performed at the same time. Children usually are given sedation or general anesthesia during the procedure to prevent discomfort. Upon awakening from sedation, your child may complain of bone pain at the bone marrow site; however, this pain is usually mild and resolves within 1–2 days. If your child is uncomfortable, a mild pain medication may be given.

HOW IS APLASTIC ANEMIA CLASSIFIED OR STAGED?

The International Aplastic Anemia Study Group has identified specific criteria for the blood and bone marrow values. This criteria is used in the staging of aplastic anemia.

The values in the blood are

- ANC less than 500 (normal is greater than 1,000)
- platelet count less than 20,000 (normal is 150,000–400,000)
- reticulocyte count less than 1%.

The values in the bone marrow are

- bone marrow biopsy with less than 25% of normal cellularity
- bone marrow biopsy less than 50% of normal cellularity with the blood-forming cells representing less than 30% of all cells.

Severe aplastic anemia (SAA) is defined by meeting at least two of the three criteria for blood and either of the marrow criteria. *Very severe aplastic anemia* (VSAA) includes the above diagnosis of severe aplastic anemia, but with an ANC less than 200.

HOW IS APLASTIC ANEMIA TREATED?

HLA Typing

Your child's physician may order human leukocyte antigen (HLA) typing to determine if a bone marrow transplant is a recommended treatment option. HLA typing can be done through a blood sample or a swab on the inside of the cheek. This often is done on the child diagnosed with aplastic anemia, any siblings, and parents. This testing can determine if there is a family member who may be a possible donor for bone marrow transplant or if a search for an unrelated person is needed.

HLA are proteins or markers found on the surface of most cells in the body. The immune system uses these markers to recognize which cells belong in your body and which do not. A child generally inherits half of his or her HLA markers from their mother and half from their father. Siblings who have the same parents have a 25% chance of having the same proteins. When two people share the same HLA proteins, this is called a "match." A biologic parent is generally only half matched, or haploidentical, to their child. For a parent to be matched with his or her child, both parents must by chance have some HLA genes in common with each other. There is only a one in 200 chance that a parent and child will be HLA matched. A close match between a donor's and a patient's HLA markers is essential for a successful transplant outcome.

Immune Suppression

Aplastic anemia is thought to be an autoimmune disorder in which the body's own immune system attacks the blood-forming cells. Medications that suppress the immune system are used to try to stop this process from continuing. For children who do not have an available matched related bone marrow donor, immunosuppressive therapy is

the standard recommended treatment.

Anti-thymocyte globulin (ATG) combined with cyclosporine is the most common first-line therapy. ATG is made from horse or rabbit serum. It is produced by injecting the animals with human lymphocytes (a type of WBC that participates in the body's immune response), which produces antibodies (a protein made by the immune system) against these lymphocytes that are then harvested. The ATG is then infused into the child and suppresses (lowers) his or her immune system. While receiving ATG, your child will receive antipyretics (fever reducing medication, such as Tylenol), antihistamines (such as Benadryl), and steroids. It is common for children to have fevers and chills during the infusion, and the medications are used to reduce these side effects. ATG is given very slowly through an IV, usually during a 4-day period. Because there is a risk for an adverse reaction to this treatment, children are hospitalized while receiving ATG. Serum sickness is another side effect that usually occurs 1–2 weeks after ATG is given. Symptoms include fever, rash, joint pain, and muscle aches. Serum sickness is treated with steroids and can last from several days to a couple of weeks.

The other medication that is used in combination with ATG is cyclosporine. Cyclosporine is a medication that can be given orally (by mouth) or intravenously (into the blood via an IV). This medication is give twice daily and helps to suppress the immune system. It will be started at the beginning of treatment and will continue for 6 months or longer after your child has been discharged from the hospital. Your child's healthcare team will monitor medication levels of this drug to make sure your child receives a therapeutic dose. This medication can have side effects including kidney damage, high blood pressure, low magnesium levels in the blood, seizures, and excess hair growth. It is important to discuss any side effects your child may be experiencing with your healthcare team.

In November 2018, the U.S. Federal Drug Administration (FDA) approved the medication Eltrombopag (Promacta®) for first-line treatment of severe aplastic anemia in children aged 2 years and older. Eltrombopag is an oral medication that is given once a day in combination with standard immunosuppressive therapy. Because data on the use of Eltrombopag in children with aplastic anemia is limited, this medication is usually only offered to children as part of a clinical trial.

After discharge from the hospital, children will be seen frequently in the outpatient clinic and their blood counts will be monitored for response to treatment and the need for transfusion. While on immune system suppression, children are at risk for serious infection and need to be monitored closely. They may require supportive care medications to prevent infection or treat organ toxicity.

Response to immunosuppressive therapy may be slow and can take 3–6 months. About 75% of children will have improvement or complete recovery of their blood counts. About one-third of children who respond to
immunosuppressive therapy will have a recurrence (relapse) of their aplastic anemia.

Bone marrow transplant with a matched unrelated donor is the recommended treatment for children who do not respond to their initial course of immune suppression or for those who have a recurrence of aplastic anemia. A second course of immune suppression may be considered for children who do not have an appropriate unrelated donor. Other immunosuppressive drugs also have been tried in place of

cyclosporine, including tacrolimus (Prograf), daclizumab (Zenepax), and mycopheolate (Cellcept). High-dose cyclophosphamide (Cytoxan) also may be considered.

Hematopoietic Stem Cell Transplant

MATCHED SIBLING DONOR

For children with an HLA matched family member, generally a matched sibling donor, the recommended treatment is a bone marrow transplant, also called a hematopoietic stem cell transplant (HSCT). Children can proceed to transplant without receiving any other treatment for their aplastic anemia.

Children are admitted to the hospital for an HSCT. At the hospital, they have a central line placed (see page 7) to receive medications, IV fluids, and blood products that they will need during their HSCT. Two medications are used to destroy the malfunctioning immune system: ATG and cyclophosphamide (Cytoxan), a chemotherapy agent. After these medications have been given, new, healthy bone marrow that has been harvested (collected) from a sibling is infused into the patient. After approximately 10–20 days, the new marrow starts to grow and repopulates the bone marrow. As a result, blood counts begin to return to normal.

Children usually are hospitalized for 20–50 days after an HSCT. During this time, they are monitored closely for complications as they await the growth of the new marrow. When they are transitioned to the outpatient clinic, they are seen frequently and monitored closely for engraftment (growing of the new blood cells) and complications of HSCT, including graft-versus-host disease, infections, and organ toxicity.

Matched-sibling HSCT is a very effective treatment for aplastic anemia; however, very serious complications can occur. The greatest risk for complications occurs during the first 2 years after HSCT; therefore, close monitoring is required during this time frame.

ALTERNATIVE DONOR TRANSPLANT

Children who do not have a matched sibling and do not respond to immune suppression or have recurrence of their aplastic anemia are often referred for an alternative HSCT. Potential bone marrow donors can be an unrelated person that is identified from the National Marrow Donor Program (NMDP) or a partially matched family member, such as a parent. A member of the bone marrow transplant team will further discuss with you details of identifying a donor if this is needed for your child. This process is similar to a matched-sibling HSCT but may require different medications and possibly radiation for the new bone marrow to grow.

Complications of HSCT

Children who undergo HSCT are at risk for complications. However, the risks of transplant-related complications are higher with alternative donor transplants.
Complications include the following:

- Nonengraftment occurs when the new bone marrow does not grow.
- Rejection occurs when the child's own immune system reacts with the donor's new immune system and the donor's cells do not grow.

Rejection can sometimes be stopped by making changes to the immune-suppression medications.

- Graft-versus-host disease is a process during which the new bone marrow recognizes the child's body as foreign and attacks certain organ systems, such as the skin, gut, and liver. Symptoms include rash, nausea, vomiting, diarrhea, decreased appetite, and increased liver function tests.
- Infections develop as a result of the chemotherapy regimen and immune suppression. Children are at high risk of developing infections. Infections can be caused by bacteria, viruses (often as a result of reactivation of viruses that are already living in the body), fungi, or other organisms.
- Toxicity or damage to organs: Multiple organs in the body can be affected. The organ and the extent of damage are dependent on the type of HSCT the child has received as well as the complications he or she has experienced.

Additional written materials specifically addressing HSCT will be provided if a transplant is recommended for your child.

SUPPORTIVE CARE

Venous Access Device

A venous access device (VAD), sometimes called a central line, is an IV catheter that may be used for the duration of your child's therapy. There are different types of VAD. Your child's healthcare team will discuss the risks and benefits of the different types. The VAD is inserted surgically when your child is under sedation or general anesthesia. A VAD can be used to administer medication, blood products, IV fluids, or nutritional support when needed. It also may be used to draw blood for testing purposes. The VAD may remain in your child for the duration of treatment and will be removed during surgery when it is no longer needed.

Blood Product Transfusion

RBCs are the cells that carry oxygen to different parts of the body. When a child's hemoglobin is low, his or her heart has to work harder to pump blood. Children with a low hemoglobin level often feel tired (especially with activity), have headaches, and may feel nauseated. Your child may receive an RBC transfusion to increase hemoglobin in the body and to ease the work of the heart by carrying oxygen to all parts of the body. This also may help him or her feel better.

Packed RBC transfusions consist of blood donated by healthy people. The blood is stored in a bag and infused into the child through his or her IV access, such as a VAD. Blood transfusion risks include allergic reactions such as itching, hives, or difficulty breathing. Your child will be monitored for a reaction very closely by the nurse.

Platelets are the parts of the blood system that prevent and stop bleeding. Children who have a low platelet count are at increased risk of bleeding. They may have bruising, gum bleeding, or little red spots on their skin called petechiae. Platelets can be infused to temporarily increase the platelet count.

The platelet transfusion process is similar to an RBC transfusion. The reaction risks are the same, and your child will be monitored closely during the platelet transfusion.

Although transfusions of blood and platelets may be necessary to help prevent serious complications,

they should not be given if they are not needed. In the HSCT setting, getting more transfusions can increase the chance of your child rejecting the bone marrow.

WBCs help fight infection. Although children with aplastic anemia often have very low WBC counts, WBC transfusions are rarely given because WBCs only live a few hours, and serious side effects may develop. In certain situations, usually if there is evidence of a life-threatening infection, WBC transfusions may be recommended.

Growth Factors

Growth factors are medications that are given to help increase the body's own production of various blood cells. They are generally given as a subcutaneous (under the skin) injection or as an IV infusion.

WBC growth factors are the most commonly used and include granulocyte colony stimulating factor (G-CSF) or filgastrim (Neupogen), pegfilgastrim (Neulasta), and granulocyte macrophage stimulating factor (GM-CSF). These medications help decrease the risk of infection by increasing the ANC and the body's ability to fight bacterial infections. Common side effects can include pain or redness at the injection site, bone pain, headache, and nausea.

There are growth factors that can stimulate RBC and platelet production. These are typically not used to treat children with aplastic anemia. Your child's healthcare team will discuss these options with you, if indicated.

Infection

Children with aplastic anemia are at risk for infection. The lower the ANC, the greater the child's risk of infection. Children with an ANC less than 500 are at a high risk for infection, and those with an ANC of less than 200 are at very high risk for infection.

Children with aplastic anemia will have their ANC monitored closely. Those with a low ANC may require growth factors to increase their ANC. If your child develops a fever with a low ANC, he or she requires prompt medical evaluation no matter what time of the day or night. Medical evaluation includes laboratory tests, such as blood tests, exams, and other tests to determine the source of the fever. If a bacterial infection is suspected, your child needs to be started on antibiotics and may need to be admitted to the hospital for close observation.

Children with aplastic anemia also may require prophylactic or preventative medications to decrease their risk of developing an infection. Medication to prevent a specific type of pneumonia, called pneumocystic jirovecii pneumonia (PCP), is often needed. Although sulfamethoxazole/trimethoprim (Bactrim) is the best medication to prevent PCP pneumonia, a side effect of the medication is lower blood cell counts; therefore, it is not recommended in children with aplastic anemia. The use of this medication should be discussed with your healthcare provider. Other medications that may be used are pentamidine (given via aerosol or injection) or Dapsone (given orally). Children also may require medication to prevent fungal infections. Fluconazole (Diflucan) is a commonly used oral medication.

Iron Overload

Iron overload can occur in children who receive multiple RBC transfusions. Excess iron can build up in the liver, heart, and other organs of the body, causing the organ to not function as well as it should. Decreasing the number of transfusions a child receives is the best way to prevent iron overload from occurring. For children who develop iron overload, medications called *chelators* may be prescribed to decrease the amount of excess iron. These medications are either given through an IV, under the skin, or as an oral medication. For children who no longer require transfusions, phlebotomy (removal of RBCs similar to donating a unit of blood) may be recommended to remove excess iron.

WHO WILL CARE FOR MY CHILD?

A team of professionals at a specialty clinic will be caring for your child. This team usually consists of specially trained physicians called hematologists. These are doctors who are trained to care for children with blood problems. Nurse practitioners, nurses, pharmacists, social workers, child life specialists, psychologists, and dieticians also may be members of your child's healthcare team. You and your family are an important part of that team. You know your child better than anyone else. Be sure that you feel comfortable talking to your healthcare team members about symptoms you are noticing; questions you have regarding diagnosis, treatment, and medications; or any other concerns you may have.

WHAT RESOURCES EXIST FOR CHILDREN DIAGNOSED WITH APLASTIC ANEMIA AND THEIR FAMILIES?

Aplastic Anemia and MDS International Foundation

www.aamds.org

Blood & Marrow Transplant Information Network

www.bmtinfonet.org

HOW CAN I WORK WITH THE HEALTHCARE TEAM?

The care of your child requires a team approach. You are a key player on your child's healthcare team. You know your child better than anyone else and your input is important.

Always communicate openly with the other members of your child's healthcare team. Ask questions when there is anything you are not sure about. It may help to write down your questions as you think of them. This will help you remember all of your questions when you are talking to the healthcare team. Many families find it helpful to create a folder or binder in which they can store all of the information they have received about their child's diagnosis including copies of laboratory results. This also can be a good place to write down any questions that arise between appointments.

Important questions you may want to ask include

- How severe is my child's aplastic anemia, and what does that mean?
- What treatment choices are available?
- What treatment do you recommend and why?
- What are the risks or side effects during the treatment?
- What are the risks and side effects after the treatment?
- What are my child's chances for survival?
- What are the chances for recurrence?

ARE MY FEELINGS NORMAL?

Hearing that your child has a serious illness is often shocking and overwhelming. Parents often feel numb and have a hard time believing the diagnosis. It is important to know that this is normal and expected. Most families have difficulty processing all of the information the healthcare team is providing to them. However, with time, information will be absorbed.

Many families feel somehow responsible for their child's disease. Feelings of guilt because they could not protect their child from illness or about the amount of time it took to diagnose the child also are common. This disease is not caused by anything that you did or did not do. The cause of aplastic anemia is usually not known.

Feelings of sadness, anger, and helplessness about your child's diagnosis also are common. These feelings are normal. Each member of the family may express these emotions in different ways and at different times. Talking honestly with one another about these feelings, emotions, and reactions will help everyone in the family. Keep in mind that there is no right or wrong way to feel. Everyone needs the chance to express their feelings when they are ready and in their own way.

Talking to friends, family, and members of the healthcare team can be difficult at times, but expressing your feelings can help you cope. Your child will benefit from family and friends showing their care through communication and support.

HOW CAN I HELP MY CHILD?

Children often think that something they did caused their illness; reinforce that this is not the case. Make sure your child understands that your feelings of anger and sadness are directed at the disease and not at him or her. This will help to keep your relationship honest and to maintain closeness. Your child will need to share his or her feelings with someone whom he or she trusts. Sometimes, children choose to share their feelings with someone other than a parent because they are afraid they might upset the parent. Don't be afraid to ask your child about his or her feelings—it may be what your child is waiting for. Also, don't be afraid to share information with your child about what is happening and why it is happening. The things children imagine on their own often are more frightening than what is actually happening.

In spite of your child's disease, keep in mind

that he or she is still a child. All children need love, attention, the opportunity to learn and try new skills, and limits. As your child goes through treatment, keep in mind that he or she still has all the needs of a growing child. Do not avoid talking to your child about therapy; use direct terms and explanations your child will understand. Children tolerate treatment better if they understand it and are allowed to help make decisions about their care when appropriate.

As a parent, it may be difficult to watch your child go through a serious illness and treatment. Your child may sometimes seem sicker than before the therapy. Your feelings about what your child is going through during treatment must be balanced with the knowledge that treatment provides the chance of curing the disease and having your child live a full and meaningful life. Accepting the changes in your child that the aplastic anemia and the treatment may cause often is difficult, but keep in mind that many of these changes are often temporary. Always remember that, despite outward changes, your child is still the same person on the inside.

IS MY CHILD'S DIET IMPORTANT DURING THERAPY?

Your child's diet is very important during therapy. Research has shown that well-nourished children tolerate therapy better. Offer foods that are high in calories, protein, and carbohydrates. Small frequent meals often are better tolerated than three larger meals. When possible, avoid junk foods and foods that are high in salt in favor of more nutritious foods.

Your child's hydration status is also an important part of his or her well being. It is important to offer your child fluids to drink frequently throughout the day, or he or she may become dehydrated. Signs of dehydration include decreased urine output, dizziness, and a dry mouth.

Multivitamins, herbs, and medicines should be avoided unless approved by your child's healthcare team. These medications may interact with your child's therapy.

A dietician is a part of your child's healthcare team. He or she is trained in the caloric and nutritional needs of children. The dietician can provide you with information regarding your child's dietary needs and ideas about how you can meet these needs during treatment. Your child's healthcare team will monitor your child's nutritional status, height, and weight during and after treatment to try to prevent problems. When there is a concern about nutritional problems, your child's healthcare team will intervene.

CAN MY CHILD ATTEND SCHOOL DURING THERAPY?

Your child's ability to attend school during therapy will depend on the intensity of the treatment, your child's response to treatment, and how susceptible to infection your child is based on the ANC. There may be extended periods when your child is unable to attend school because of hospitalizations or

treatments. However, it is important that even during these times your child keeps up with his or her schoolwork. Talk with your child's healthcare team and school about arranging for homebound services, including a tutor, until he or she is able to return to school. Many children's hospitals have school programs that allow patients to attend school while hospitalized. These programs often help coordinate home tutors and obtain homework and schoolwork.

Discuss your child's ability to attend school with the healthcare team. Some children are able to attend school between hospitalizations or treatments and to use homebound services. The healthcare team can help coordinate the school services your child needs. When a child returns to school for the first time after starting treatment or at the end of therapy, many healthcare teams go to the school to educate teachers and students prior to a student's return. Once your child does return to school, the healthcare team can continue to assist you with getting any special services your child may need.

BIBLIOGRAPHY

Bacigalupo, A. (2017). How I treat acquired aplastic anemia. *Blood, 129*(11), 1428–1436.

Marsh, J. C., & Kulasekararaj, A. G. (2013). Management of the refractory aplastic anemia patient: what are the options?. *ASH Education Program Book, 2013*(1), 87–94.

Scheinberg, P. (2018). Activity of eltrombopag in severe aplastic anemia. *Blood advances, 2*(21), 3054–3062.

Scheinberg, P., & Young, N. S. (2012). How I treat acquired aplastic anemia. *Blood, 120*(6), 1185–1196.

Townsley, D. M., et al. (2017). Eltrombopag added to standard immunosuppression for aplastic anemia. *New England Journal of Medicine, 376*(16), 1540–1550.

Williams, D. A., et al. (2014). Diagnosis and treatment of pediatric acquired aplastic anemia (AAA): An initial survey of the North American Pediatric Aplastic Anemia Consortium (NAPAAC). *Pediatric Blood & Cancer, 61*(5), 869–874.

IMPORTANT PHONE NUMBERS

NOTES

8735 W. Higgins Road, Suite 300
Chicago, IL 60631
847.375.4724 • Fax 847.375.6478
info@aphon.org
www.aphon.org

aphon
Association of Pediatric Hematology/Oncology Nurses

English | Spanish

Manual para la Familia

Anemia Aplásica

SERIE HEMATOLOGÍA

aphon
Association of Pediatric Hematology/Oncology Nurses

Manual para la Familia

Anemia Aplásica

SERIE HEMATOLOGÍA

Anemia Aplásica
MANUAL PARA LA FAMILIA

Autores

Lynnette Anderson, MS RN CPNP

Mollie Haddigan Mulberry, MS RN CPNP CPON®

Susan Burke, MA RN CPNP CPHON®

Revisor de contenido

2015–2016 Steering Council

Revisor por parte de los padres

Peter Rodriguez

ACERCA DE ESTA PORTADA

Esta portada está especialmente diseñada para que tu hijo(a) la ilumine y personalice. Cuando tu hijo(a) termine de colorearla, devuélvela a la clínica o al consultorio médico donde te dieron el manual. El encargado de la atención médica de tu hijo(a) la enviará a APHON para que la publiquen en su sitio web.

Este manual ha sido publicado por Association of Pediatric Hematology/Oncology Nurses (APHON) con fines educativos únicamente. El contenido ha sido desarrollado por fuentes confiables y no pretende ser el único tratamiento aceptable o seguro para la anemia aplásica. Bajo ciertas circunstancias o condiciones, es posible que se requiera un tratamiento adicional o diferente.

A medida que nuevas investigaciones y experiencias clínicas amplíen las fuentes de información disponibles sobre el tratamiento para la anemia aplásica, es posible que sea necesario hacer ajustes en el tratamiento y la terapia con fármacos.

APHON no garantiza ni asegura, ni hace ninguna otra declaración, expresa o implícita, con respecto a la validez o suficiencia de los tratamientos o a la información relacionada contenida en este manual.

APHON otorga al comprador de este manual un permiso ilimitado para fotocopiar o imprimir el manual para uso educativo del comprador o de la institución del comprador. El comprador no puede alterar el contenido ni recibir ninguna ganancia económica por la distribución de fotocopias de este producto.

Copyright © 2019 by the Association of Pediatric Hematology/Oncology Nurses
8735 W. Higgins Road, Suite 300 • Chicago, IL 60631
847.375.4724 • Fax 847.375.6478 • info@aphon.org • www.aphon.org

¿QUÉ ES LA ANEMIA APLÁSICA?

La anemia aplásica es un síndrome de insuficiencia de la médula ósea. La médula ósea "se cierra" y deja de producir glóbulos blancos (WBC), glóbulos rojos (RBC) y plaquetas. Como resultado, los niños con anemia aplásica corren el riesgo de contraer infecciones o padecer anemia y hemorragias potencialmente mortales. Los niños con anemia aplásica pueden enfermarse gravemente y requerir hospitalización prolongada, transfusiones de sangre y plaquetas, antibióticos intravenosos (IV) y otras pruebas y tratamientos médicos.

¿QUÉ ES LA MÉDULA ÓSEA?

La médula ósea es un material esponjoso que se encuentra dentro de los huesos. Es como un "jardín" en el cuerpo, donde crecen las células productoras de sangre: los glóbulos blancos (WBC), los glóbulos rojos (RBC) y las plaquetas. Estas células se forman a partir de una célula madre muy joven, que es como una semilla. A medida que la semilla crece, desarrolla glóbulos blancos, glóbulos rojos y plaquetas completamente funcionales y maduros.

¿QUÉ HACEN LAS CÉLULAS DE LA MÉDULA ÓSEA?

Glóbulos blancos o leucocitos (WBC)

Los glóbulos blancos forman parte del sistema inmunológico y ayudan al cuerpo a combatir las infecciones. Los diferentes tipos de WBC tienen diferentes funciones. Los linfocitos producen anticuerpos que le permiten al cuerpo recordar una infección. Esta memoria ayuda al cuerpo a combatir y controlar una exposición futura a estas infecciones y a responder a las vacunas. Si estas células no funcionan correctamente, se pueden desarrollar infecciones muy graves y potencialmente mortales.

Los neutrófilos, que forman parte de los glóbulos blancos, combaten específicamente las infecciones bacterianas y fúngicas. El recuento absoluto de neutrófilos (ANC) es un porcentaje calculado de los glóbulos blancos (WBC) que son neutrófilos. Este número indica la capacidad que tiene el cuerpo de tu hijo(a) para combatir las infecciones bacterianas.

El recuento absoluto de neutrófilos (ANC), se calcula utilizando la siguiente fórmula:

ANC = total de WBC x (segs o polys + bandas)

Se multiplica el total de WBC por el total de segs o polys + las bandas. (Los segs o polys son glóbulos blancos maduros que combaten las infecciones. Las bandas son segs o polys inmaduros que no pueden combatir las infecciones con igual eficiencia, pero ayudan. Tanto los segs o polys como las bandas son neutrófilos. Los distintos laboratorios pueden usar terminologías diferentes para identificar a los neutrófilos. La enfermera de tu hijo(a) te puede enseñar cómo calcular el ANC.

Ejemplo: El total de WBC es 5. Esto significa 5,000. Tu hijo(a) tiene 20% de segs (0.20) y 5% de bandas (0.05).

El ANC se calcula de la siguiente manera:

ANC = 5,000 x (.20 + .05)

ANC = 5,000 x (.25)

ANC = 1,250

Los niños con un ANC bajo (menos de 1,000) son considerados neutropénicos o no capaces de combatir una infección. Los niños con un ANC inferior a 500 son considerados neutropénicos graves.

Glóbulos rojos

Los glóbulos rojos transportan oxígeno a todas las partes del cuerpo. El oxígeno alimenta y nutre todos los órganos, incluyendo al corazón, los pulmones, el estómago, los intestinos y el cerebro, permitiendo que funcionen bien. La hemoglobina es la proteína en los glóbulos rojos que se une al oxígeno. La anemia ocurre cuando la sangre no tiene suficientes glóbulos rojos sanos o hemoglobina. Cuando los niveles de hemoglobina son muy bajos, las células del cuerpo no obtienen suficiente oxígeno.

Plaquetas

Las plaquetas son adherentes y al agruparse ayudan al cuerpo a controlar el sangrado. Un ejemplo de esto es cuando una herida deja de sangrar. A medida que disminuye el sangrado, los glóbulos se unen y forman un coágulo. Si la sangre tiene un número bajo de plaquetas, el sangrado puede ser rápido y espontáneo (sin ser causado por alguna lesión). Cuando los niveles de plaquetas son muy bajos, se pueden producir sangrados en la cabeza u otras partes del cuerpo, lo que puede ser mortal.

¿CÓMO CONTRAJO ANEMIA APLÁSICA MI HIJO(A)?

La mayoría de los casos de anemia aplásica son idiopáticos, esto quiere decir que se desconoce la causa. Sabemos que la anemia aplásica no es causada por algo que los padres o los niños hicieron o dejaron de hacer.

La anemia aplásica se ha relacionado con la exposición a la radiación y a algunos productos químicos, como el benceno. Algunas enfermedades hereditarias, como la anemia de Fanconi, la disqueratosis congénita, el síndrome de Shwachman-Diamond y la anemia de Diamond-Blackfan, se han asociado con el desarrollo de la anemia aplásica. Las infecciones como el virus de Epstein Barr, la hepatitis y el parvovirus (quinta enfermedad) también se han asociado con las causas de la anemia aplásica.

¿CUÁLES SON LOS SIGNOS Y SÍNTOMAS DE LA ANEMIA APLÁSICA?

Los signos y síntomas de la anemia aplásica aparecen como resultado de la insuficiencia de la médula ósea. Si el recuento de glóbulos blancos de tu hijo(a) es bajo, está en riesgo de desarrollar fiebre e infecciones. Es importante controlar a tu hijo(a) de cerca para detectar si tiene fiebre, de ser así, ponte en contacto con el equipo de atención médica de inmediato.

Si el recuento de glóbulos rojos de tu hijo(a) es bajo, es posible que se ponga pálido(a), sufra fatiga (disminución de la energía), experimente dificultad para respirar o sufra dolores de cabeza. Si el nivel de hemoglobina se vuelve extremadamente bajo, puede recibir una transfusión de glóbulos rojos.

Si el recuento de plaquetas es bajo, está en riesgo de sufrir sangrados y puede tener hemorragias nasales espontáneas, encías sangrantes, hematomas excesivos, hematomas en áreas inusuales como la espalda o el pecho, y petequias (puntos color púrpura en la piel que son pequeñas hemorragias). Si el recuento de plaquetas es muy bajo y está experimentando sangrados, se le puede administrar una transfusión de plaquetas.

¿CÓMO SE DIAGNOSTICA LA ANEMIA APLÁSICA?

Cuando un niño presenta signos de anemia aplásica, uno de los primeros pasos para hacer el diagnóstico es el análisis de sangre. Los análisis de sangre se realizan insertando una aguja en el brazo o la mano del niño para extraer la sangre que se enviará a un laboratorio para su análisis. La extracción de sangre puede resultar difícil para los niños y los padres, pero es necesaria para obtener un diagnóstico preciso.

Una prueba llamada hemograma o recuento sanguíneo completo (CBC) mide la cantidad de glóbulos blancos (WBC), glóbulos rojos (RBC) y plaquetas que circulan en la sangre. En los niños con anemia aplásica, todos estos números son bajos. El recuento de reticulocitos, que mide la cantidad de glóbulos rojos jóvenes y saludables que el cuerpo está produciendo, también puede ser bajo.

El equipo de atención médica también ordenará un perfil químico para verificar el equilibrio electrolítico de tu hijo(a) y qué tan bien están funcionando sus riñones e hígado. Se puede realizar también una muestra de sangre para detectar infecciones virales recientes. Estas pruebas ayudarán al equipo de atención médica a buscar otras causas del recuento sanguíneo bajo y a confirmar el diagnóstico de anemia aplásica.

El diagnóstico de anemia aplásica se confirma mediante un aspirado de médula ósea y una biopsia. Estas pruebas ayudan al equipo de atención médica a comprender la causa de la insuficiencia de médula ósea de tu hijo(a) y a descartar otros motivos para los recuentos sanguíneos bajos. Durante un aspirado de médula ósea, se inserta una aguja a través del hueso, generalmente en la cresta ilíaca (hueso de la cadera), y se extrae una muestra de la médula ósea del espacio esponjoso del hueso. Después, un médico especializado (patólogo o hematólogo) examina la médula ósea bajo un microscopio para ver si los glóbulos blancos (WBC), los glóbulos rojos (RBC) y las plaquetas se están produciendo normalmente. El patólogo también busca células anormales, como células inmaduras productoras de sangre (blastos), que pueden indicar leucemia, y células dismórficas (de aspecto anormal), que pueden indicar una enfermedad diferente. La médula ósea también se examina para determinar la expresión proteica de las células malignas (cancerosas), lo que puede indicar leucemia y anomalías cromosómicas, que son signos de otras enfermedades. En niños con anemia aplásica, la expresión de proteínas y las pruebas cromosómicas son normales.

Es necesaria una biopsia de médula ósea para diagnosticar la anemia aplásica. Durante la biopsia de médula ósea, se inserta una aguja en el hueso de la cadera y se obtiene un pequeño "núcleo", o una pieza del hueso en forma de cilindro. El patólogo observa este núcleo y determina qué tan celular es la médula, o sea qué tantas células productoras de sangre tiene. En niños con anemia aplásica, la médula ósea es hipocelular, lo que significa que se ven muy pocas células productoras de sangre bajo el microscopio. El grado de celularidad se establece en porcentaje. Ese porcentaje ayuda a determinar la gravedad de la anemia aplásica.

El aspirado de médula ósea y la biopsia se realizan al mismo tiempo. Los niños generalmente son sedados o reciben anestesia general durante el procedimiento para evitar molestias. Al despertar de la sedación o de la anestesia, tu hijo(a) puede quejarse de dolor de hueso en el sitio de la médula ósea; sin embargo, este dolor suele ser leve y desaparece en 1 o 2 días. Si tu hijo(a) se siente incómodo(a), se le puede dar un medicamento leve para el dolor.

¿CÓMO SE CLASIFICA O ESTADIFICA LA ANEMIA APLÁSICA?

El International Aplastic Anemia Study Group (Grupo Internacional de Estudios de la Anemia Aplásica) ha establecido criterios específicos de valores de sangre y médula ósea. Estos criterios se utilizan para la estadificación de la anemia aplásica.

Los valores en la sangre son:

- recuento absoluto de neutrófilos (ANC) menor a 500 (lo normal es mayor a 1,000)
- recuento de plaquetas inferior a 20,000 (lo normal es 150,000-400,000)
- recuento de reticulocitos inferior al 1%.

Los valores en la médula ósea son:

- biopsia de médula ósea con menos de 25% de celularidad normal
- biopsia de médula ósea con menos de 50% de celularidad normal y con las células productoras de sangre representando menos del 30% de todas las células.

Se definirá como anemia aplásica severa (AAS) si se cumplen al menos dos de los tres criterios de los valores en sangre y cualquiera de los criterios de los valores en médula. La anemia aplásica muy grave (VSAA) incluye el diagnóstico anterior de anemia aplásica severa, pero con un ANC menor de 200.

¿CÓMO SE TRATA LA ANEMIA APLÁSICA?

Tipificación de antígenos leucocitarios humanos (HLA)

El médico de tu hijo(a) puede ordenar un examen de tipificación de antígenos leucocitarios humanos (HLA) para determinar si un trasplante de médula ósea es una opción de tratamiento recomendada. La tipificación de HLA se puede realizar a través de una muestra de sangre o frotando un hisopo en el interior de la mejilla. Esto a menudo se hace con los hermanos y padres de los niños diagnosticados con anemia aplásica. Esta prueba puede determinar si hay un miembro de la familia que puede ser un posible donante para un trasplante de médula ósea o si es necesario buscar una persona ajena a la familia.

Los HLA son proteínas o marcadores que se encuentran en la superficie de la mayoría de las células del cuerpo. El sistema inmunitario usa estos marcadores para reconocer qué células pertenecen al cuerpo y cuáles no. Los niños generalmente heredan la mitad de sus marcadores HLA de su madre y la otra mitad de su padre. Los hermanos que tienen los mismos padres tienen un 25% de posibilidades de tener las mismas proteínas. Cuando dos personas comparten las mismas proteínas HLA, se dice que son "compatibles". Un padre o una madre biológico(a) generalmente sólo tiene la mitad de compatibilidad o sea, es haploidéntico con su hijo(a). Para que un padre sea compatible con su hijo(a), debe tener algunos genes HLA en común con la madre, y viceversa. Sólo existe una probabilidad entre 200 de que un padre o una madre sea 100% compatible con su hijo(a). Para que el resultado del trasplante sea exitoso, es esencial que exista una estrecha coincidencia entre los marcadores HLA del donante y del paciente.

Inmunosupresión

Se cree que la anemia aplásica es un trastorno autoinmune en el cual el sistema inmunitario del cuerpo ataca las células productoras de sangre. Los medicamentos que inhiben el sistema inmunitario se usan para tratar de evitar que este proceso continúe. La terapia inmunosupresora es el tratamiento estándar recomendado para los niños que no tienen a su disposición un donante de médula ósea compatible.

La terapia de primera línea más común es la globulina antitimocítica (ATG) combinada con ciclosporina. La ATG está hecha de suero de caballo o conejo. Se produce inyectando a los animales linfocitos humanos (un tipo de glóbulos blancos que interviene en la respuesta inmunitaria del cuerpo), los cuales producen anticuerpos (una proteína producida por el sistema inmune) contra estos linfocitos que luego son recolectados. Posteriormente, la ATG se infunde en el niño y esto provoca que el funcionamiento de su sistema inmunológico disminuya. Mientras que tu hijo(a) reciba la ATG, se le administrarán antipiréticos (medicamentos para reducir la fiebre, como Tylenol), antihistamínicos (como Benadryl) y esteroides. Es común que los niños tengan fiebre y escalofríos durante la infusión, y esos medicamentos se usan para reducir estos efectos secundarios. La ATG se administra muy lentamente a través de una inyección intravenosa (infusión), generalmente durante un período de 4 días. Debido a que existe el riesgo de una reacción adversa a este tratamiento, los niños son hospitalizados mientras reciben la ATG. La enfermedad del suero es otro efecto secundario que generalmente ocurre de 1 a 2 semanas después de la administración de la ATG. Los síntomas incluyen fiebre, erupción cutánea y dolores en articulaciones y músculos. La enfermedad del suero se trata con esteroides y puede durar desde varios días hasta un par de semanas.

Otro medicamento que se usa en combinación con la ATG es la ciclosporina. La ciclosporina es un medicamento que se puede administrar por vía oral (por la boca) o por vía intravenosa (por la vena). Este medicamento se administra dos veces al día y ayuda a suprimir el sistema inmunitario. Comenzará al principio del tratamiento y continuará durante 6 meses o más después de que tu hijo(a) haya sido dado(a) de alta del hospital. El equipo de atención médica controlará los niveles de este medicamento para asegurarse de que tu hijo(a) reciba una dosis terapéutica. Este medicamento puede tener efectos secundarios como daño renal, presión arterial alta, niveles bajos de magnesio en la sangre, convulsiones y crecimiento excesivo de vello. Es importante analizar con el equipo de atención médica cualquier efecto secundario que tu hijo(a) pueda estar experimentando.

En noviembre de 2018, la Federal Drug Administration (FDA) de los Estados Unidos aprobó el medicamento Eltrombopag (Promacta®) como tratamiento de primera línea para la anemia aplásica severa en niños de 2 años en adelante. El Eltrombopag es un medicamento oral que se administra una vez al día en combinación con la terapia inmunosupresora estándar. Debido a que los datos sobre el uso de Eltrombopag en niños con anemia aplásica son limitados, este medicamento generalmente sólo se ofrece a los niños como parte de un ensayo clínico.

Después de haber sido dados de alta del hospital, los niños serán revisados con frecuencia en la clínica ambulatoria y sus recuentos sanguíneos serán monitoreados para checar su respuesta al tratamiento y ver si hay necesidad de una transfusión. Durante la supresión del sistema inmunitario, los niños corren el

riesgo de contraer una infección grave y deben de ser controlados de cerca. Es posible que necesiten medicamentos de apoyo para prevenir infecciones o para tratar la toxicidad de los órganos.

La respuesta a la terapia inmunosupresora puede ser lenta y durar de 3 a 6 meses. Alrededor de un 75% de los niños tendrá una mejoría o recuperará completamente sus recuentos sanguíneos. Alrededor de un tercio de los niños que responden a la terapia inmunosupresora sufrirá una recurrencia (recaída) de anemia aplásica.

El trasplante de médula ósea con un donante compatible no relacionado con el paciente es el tratamiento recomendado para los niños que no responden al tratamiento inicial de supresión inmunológica o para aquellos que tienen una recurrencia de anemia aplásica. Se puede considerar un segundo tratamiento de supresión inmunológica para los niños que no cuentan con un donante apropiado no relacionado. También se han probado otros medicamentos inmunosupresores en lugar de ciclosporina, como tacrolimus (Prograf), daclizumab (Zenepax) y micofenolato (Cellcept). También se puede considerar la posibilidad de administrar dosis altas de ciclofosfamida (Cytoxan).

Trasplante de células madre hematopoyéticas

HERMANO(A) DONANTE COMPATIBLE

Los niños que tienen un familiar con HLA compatible, generalmente un hermano o hermana, pueden proceder al tratamiento recomendado que es el trasplante de médula ósea, también llamado trasplante de células madre hematopoyéticas (HSCT), sin recibir ningún otro tratamiento para la anemia aplásica.

A los niños que ingresan en el hospital para recibir un trasplante HSCT, se les coloca una línea central (consulta la página 7) para recibir por vía intravenosa los medicamentos, los líquidos y los productos sanguíneos que necesitarán durante el procedimiento HSCT. Se usan dos medicamentos para destruir el sistema inmunitario que está funcionando mal: ATG y ciclofosfamida (Cytoxan), un agente de quimioterapia. Después de administrar estos medicamentos, se le inyecta al paciente una médula ósea nueva y saludable la cual ha sido recolectada (recogida) de un hermano o hermana. Después de aproximadamente 10 - 20 días, la nueva médula comenzará a crecer y a repoblar la médula ósea. Como resultado, los recuentos sanguíneos comenzarán a volver a la normalidad.

Generalmente, los niños son hospitalizados de 20 a 50 días después del trasplante HSCT. Durante este tiempo, son monitoreados muy de cerca para ver si hay complicaciones durante el crecimiento de la nueva médula. Cuando ya han sido trasladados a la clínica ambulatoria, son monitoreados con frecuencia y controlados de cerca para checar el injerto (crecimiento de las nuevas células sanguíneas) y constatar que no haya complicaciones por el HSCT, como la enfermedad de injerto contra huésped, infecciones o toxicidad orgánica.

El HSCT entre hermanos compatibles es un tratamiento muy eficaz para la anemia aplásica; sin embargo, pueden ocurrir complicaciones muy graves. El mayor riesgo de complicaciones ocurre durante los primeros 2 años después del HSCT; por lo tanto, se requiere una estrecha supervisión durante este tiempo.

TRASPLANTE DE DONANTE ALTERNATIVO

Los niños que no tienen un hermano o hermana compatible y que no responden a la supresión del sistema inmunitario o sufren una recurrencia de anemia aplásica, a menudo son derivados para recibir un HSCT alternativo. El potencial donante de médula ósea puede ser una persona no emparentada con el paciente que ha sido identificada por el National Marrow Donor Program (NMDP) (Programa Nacional de Donantes de Médula ósea), o un miembro de la familia parcialmente compatible, como uno de los padres. Un miembro del equipo de trasplante de médula ósea discutirá contigo los detalles sobre la identificación de un donante si esto fuera necesario en el caso de tu hijo(a). Este proceso es similar a un HSCT de un hermano compatible, pero puede requerir diferentes medicamentos y posiblemente radiaciones para que crezca la nueva médula ósea.

Complicaciones del trasplante de células madre hematopoyéticas (HSCT)

Los niños que se someten a un HSCT tienen riesgos de complicaciones. Sin embargo, los riesgos de una complicación relacionada con el trasplante son mayores en los trasplantes de donantes alternativos.

Las complicaciones incluyen:

- El no injerto ocurre cuando la nueva médula ósea no crece.
- El rechazo ocurre cuando el sistema inmunitario del niño reacciona con el nuevo sistema inmunitario del donante y las células del donante no crecen. El rechazo a veces se puede detener haciendo cambios en los medicamentos de inmunodepresión.
- La enfermedad de injerto contra huésped es un proceso durante el cual la nueva médula ósea reconoce al cuerpo del niño como algo extraño y ataca ciertos órganos, como la piel, el intestino y el hígado. Los síntomas incluyen erupción cutánea, náuseas, vómitos, diarrea, disminución del apetito y aumento de la función hepática.
- Las infecciones se desarrollan como resultado del régimen de quimioterapia y de la inmunodepresión. Los niños tienen un alto riesgo de desarrollar infecciones. Las infecciones pueden ser causadas por bacterias, virus (a menudo como resultado de la reactivación de virus que ya están viviendo en el cuerpo), hongos u otros organismos.
- Toxicidad o daño a los órganos: múltiples órganos en el cuerpo pueden verse afectados. El órgano y la extensión del daño dependen del tipo de HSCT que haya recibido el niño, así como de las complicaciones que haya experimentado.

Si a tu hijo(a) le recomiendan un trasplante, se te proporcionarán materiales escritos adicionales que aborden específicamente el tema de HSCT.

CUIDADOS DE APOYO

Dispositivo de acceso venoso

Un dispositivo de acceso venoso (VAD), a veces llamado vía central, es un catéter intravenoso que puede ser usado durante la terapia de tu hijo(a). Existen diferentes tipos de VAD. El equipo de atención médica discutirá los riesgos y beneficios de los diferentes tipos. El VAD se inserta quirúrgicamente cuando los niños están bajo sedación o anestesia general. Un VAD se puede usar para administrar medicamentos,

productos sanguíneos, líquidos IV o soporte nutricional cuando sea necesario. También se puede usar para extraer sangre para ciertas pruebas. El VAD puede permanecer en tu hijo(a) durante el tratamiento y se extraerá mediante cirugía cuando ya no sea necesario.

Transfusión de productos sanguíneos

Los glóbulos rojos (RBC) son las células que transportan oxígeno a diferentes partes del cuerpo. Cuando la hemoglobina de un niño es baja, su corazón tiene que trabajar más para bombear la sangre. Los niños con un nivel bajo de hemoglobina a menudo se sienten cansados (especialmente con la actividad), tienen dolores de cabeza y pueden sentir náuseas. Tu hijo(a) puede recibir una transfusión de glóbulos rojos para aumentar la hemoglobina en el cuerpo y facilitar el trabajo de su corazón para transportar oxígeno a todas las partes del cuerpo. Esto también puede ayudarlo a sentirse mejor.

Las transfusiones de glóbulos rojos (RBC) empacados son realizadas con sangre donada por personas sanas. La sangre se almacena en una bolsa y se infunde en el niño a través del acceso IV que se le ha colocado, como un VAD. Los riesgos de una transfusión de sangre incluyen reacciones alérgicas como picazón, urticaria o dificultad para respirar. Tu hijo(a) será monitoreado(a) muy de cerca por la enfermera para detectar alguna reacción.

Las plaquetas forman parte del sistema circulatorio y su función es prevenir y detener el sangrado. Los niños que tienen un recuento bajo de plaquetas tienen un mayor riesgo de sangrado. Pueden presentar hematomas, sangrado de las encías o pequeñas manchas rojas en la piel llamadas petequias. Se pueden infundir plaquetas para aumentar temporalmente el recuento de plaquetas.

El proceso de transfusión de plaquetas es similar al de una transfusión de glóbulos rojos. Los riesgos de reacciones son los mismos, y tu hijo(a) será monitoreado(a) de cerca durante la transfusión de plaquetas.

Aunque las transfusiones de sangre y plaquetas pueden ser necesarias para ayudar a prevenir complicaciones graves, no deben administrarse si no son necesarias. En el caso de un trasplante de células madre hematopoyéticas (HSCT), recibir más transfusiones puede aumentar las posibilidades de que tu hijo(a) rechace la médula ósea.

Los glóbulos blancos o leucocitos ayudan a combatir las infecciones y aunque los niños con anemia aplásica a menudo tienen recuentos muy bajos de éstos, las transfusiones de leucocitos rara vez se administran ya que sólo viven unas pocas horas y existe la posibilidad de efectos secundarios graves. En ciertas situaciones, si hay evidencia de una infección potencialmente mortal, se pueden recomendar transfusiones de glóbulos blancos.

Factores de crecimiento

Los factores de crecimiento son medicamentos que se administran para ayudar a aumentar la producción de diversas células sanguíneas en el cuerpo. Generalmente se administran como una inyección subcutánea (debajo de la piel) o como una infusión IV.

Los factores de crecimiento de glóbulos blancos son los más utilizados e incluyen el factor estimulante de colonias de granulocitos (G-CSF) o filgrastim (Neupogen), pegfilgastrim (Neulasta), y el factor estimulante de macrófagos de granulocitos (GM-CSF). Estos medicamentos ayudan a disminuir el riesgo de infección al aumentar el recuento absoluto de neutrófilos (ANC) y la

capacidad del cuerpo para combatir infecciones bacterianas. Los efectos secundarios comunes pueden incluir dolor o enrojecimiento en el sitio de la inyección, dolor de huesos, dolor de cabeza y náuseas.

Hay factores de crecimiento que pueden estimular la producción de glóbulos rojos y plaquetas pero, por lo general, no se usan para tratar a niños con anemia aplásica. El equipo de atención médica discutirá estas opciones contigo, en caso de estar indicadas.

Infecciones

Los niños con anemia aplásica tienen riesgo de contraer infecciones. Entre más bajo es el recuento absoluto de neutrófilos (ANC), mayor es el riesgo que tienen los niños de una infección. Los niños con un ANC inferior a 500 tienen un alto riesgo de contraer una infección, y aquellos con un ANC inferior a 200 tienen un riesgo muy alto.

El recuento absoluto de neutrófilos (ANC) de los niños con anemia aplásica será controlado muy de cerca. Aquellos con un ANC bajo pueden requerir factores de crecimiento para aumentarlo. Si tu hijo(a) tiene un ANC bajo y le sube la temperatura (fiebre), debe ser evaluado(a) inmediatamente, sin importar la hora, ni si es de día o de noche. La evaluación médica incluye pruebas de laboratorio, como análisis de sangre, exámenes y otras pruebas para determinar el origen de la fiebre. Si se sospecha que existe una infección bacteriana, tu hijo(a) debe comenzar con antibióticos y es posible que deba ser ingresado(a) en el hospital para una observación más estrecha.

Los niños con anemia aplásica también pueden necesitar medicamentos profilácticos o preventivos para disminuir el riesgo de una infección. A menudo se necesita un medicamento para prevenir un tipo específico de neumonía, llamada neumonía por Pneumocystis jiroveci (PCP). Aunque el sulfametoxazol / trimetoprima (Bactrim) es el mejor medicamento para prevenir la PCP, un efecto secundario del medicamento es un recuento de células sanguíneas más bajo; por lo que no se recomienda para tratar a niños con anemia aplásica. El uso de este medicamento debe discutirse con el proveedor de atención médica. Otros medicamentos que pueden usarse son pentamidina (administrado por aerosol o inyección) o Dapsona (administrado por vía oral). Los niños también pueden requerir medicamentos para prevenir infecciones fúngicas. El fluconazol (Diflucan) es un medicamento oral de uso común.

Sobrecarga de hierro

La sobrecarga de hierro puede ocurrir en niños que reciben múltiples transfusiones de glóbulos rojos. El hierro en exceso puede acumularse en el hígado, el corazón y otros órganos del cuerpo, haciendo que dicho órgano no funcione tan bien como debiera. La mejor manera de prevenir la sobrecarga de hierro es disminuir la cantidad de transfusiones. A los niños que desarrollan sobrecarga de hierro, se les puede recetar unos medicamentos llamados quelantes, los cuales disminuyen el exceso de hierro. Estos medicamentos se administran por vía intravenosa, debajo de la piel o en forma oral. A los niños que ya no requieren transfusiones, se les puede recomendar una flebotomía (extracción de glóbulos rojos similar a la donación de una unidad de sangre) para eliminar el exceso de hierro.

¿QUIÉN SE HARÁ CARGO DEL CUIDADO DE MI HIJO(A)?

Un equipo de profesionales en una clínica especializada será el encargado de cuidar a tu hijo(a). Este equipo generalmente está formado por médicos especialistas, llamados hematólogos, que están capacitados para atender a niños con problemas de sangre. También pueden formar parte del equipo de atención médica de tu hijo(a) enfermeras practicantes, enfermeras, farmacéuticos, trabajadores sociales, especialistas en vida infantil, psicólogos y dietistas. Tú y tu familia son una parte importante de ese equipo, ya que conocen a tu hijo(a) mejor que nadie. Siéntanse cómodos hablando con los miembros del equipo de atención médica sobre los síntomas que están notando, dudas sobre el diagnóstico, el tratamiento y los medicamentos; o cualquier otra inquietud que tengan.

¿QUÉ RECURSOS EXISTEN PARA LOS NIÑOS DIAGNOSTICADOS CON ANEMIA APLÁSICA Y SUS FAMILIAS?

Aplastic Anemia and MDS International Foundation

www.aamds.org

Blood & Marrow Transplant Information Network

www.bmtinfonet.org

¿CÓMO PUEDO TRABAJAR CON EL EQUIPO DE ATENCIÓN MÉDICA?

El cuidado de tu hijo(a) requiere de un enfoque de equipo y tú eres parte importante del equipo de atención médica, ya que conoces a tu hijo(a) mejor que nadie y tus aportes son muy importantes.

Siempre comunícate abiertamente con los otros miembros del equipo de atención médica de tu hijo(a). Pregunta siempre que tengas dudas; puedes escribir las preguntas conforme las piensas, esto te ayudará a recordarlas cuando hables con el equipo de atención médica. A muchas familias les resulta útil crear una carpeta o archivador para almacenar toda la información que han recibido sobre el diagnóstico de su hijo(a), incluyendo copias de los resultados de laboratorio. Ese también puede ser un buen lugar para escribir cualquier pregunta que surja entre una cita y otra.

Preguntas importantes que puedes hacer:

- ¿Qué tan grave es la anemia aplásica de mi hijo(a) y qué significa eso?
- ¿Qué opciones de tratamiento existen?
- ¿Qué tratamiento me recomiendan y por qué?
- ¿Cuáles son los riesgos o efectos secundarios durante el tratamiento?
- ¿Cuáles son los riesgos y los efectos secundarios después del tratamiento?
- ¿Cuáles son las posibilidades de supervivencia de mi hijo(a)?
- ¿Cuáles son las posibilidades de una recurrencia?

¿ES NORMAL LO QUE SIENTO?

Enterarte de que tu hijo(a) sufre de una enfermedad seria es a menudo impactante y abrumador. Muchos padres se bloquean y les cuesta trabajo creer el diagnóstico, pero es importante que sepan que esto es normal. A la mayoría de las familias al principio les cuesta trabajo procesar toda la información que el equipo de atención médica les proporciona. Sin embargo, con el tiempo toda la información será asimilada.

Muchas familias sienten que de alguna manera son responsables de la enfermedad del niño o niña. También son comunes los sentimientos de culpa por no haber podido protegerlo(a) de la enfermedad o por el tiempo que se tardaron en diagnosticar la enfermedad. La enfermedad no fue causada por nada de lo que hicieron o dejaron de hacer. Generalmente, las causas de la anemia aplásica no se conocen.

Los sentimientos de tristeza, enojo e impotencia con respecto al diagnóstico de un hijo(a) también son comunes y normales. Cada miembro de la familia puede expresar estas emociones de manera distinta y en diferentes momentos. Hablar de manera honesta y abierta sobre estos sentimientos, emociones y reacciones ayudará a toda la familia. Ten en cuenta que no hay una forma correcta o incorrecta de sentirse; todos necesitan la oportunidad de expresar sus sentimientos cuando estén listos y a su manera.

En ocasiones hablar con amigos, familiares y miembros del equipo de atención médica puede resultar difícil, pero expresar los sentimientos puede ayudar a hacer frente a la situación. Tu hijo(a) se beneficiará si la familia y los amigos muestran su cariño y preocupación a través de la comunicación y el apoyo.

¿CÓMO PUEDO AYUDAR A MI HIJO(A)?

Los niños a menudo piensan que fue algo que hicieron lo que les causó la enfermedad, hay que reforzarles que esto no es cierto. Asegúrate de que tu hijo(a) comprende que tus sentimientos de enojo y tristeza están dirigidos a la enfermedad y no a él o ella. Esto ayudará a que mantengan una relación cercana y honesta. Tu hijo(a) necesitará compartir sus sentimientos con alguien de confianza. A veces, los niños eligen compartir sus sentimientos con alguien que no sean los padres porque tienen miedo de preocuparlos. No tengas miedo de preguntarle a tu hijo(a) acerca de sus sentimientos, puede ser que eso sea lo que esté esperando. Además, no tengas miedo de compartir con tu hijo(a) información sobre lo que está pasando y por qué. A veces las cosas que los niños imaginan son más aterradoras de que lo que realmente son.

A pesar de que tu hijo(a) está enfermo(a), sigue siendo, primero que nada, un niño, y todos los niños necesitan amor, atención, y la oportunidad de aprender y probar nuevas habilidades y límites. Ten en cuenta que aunque esté recibiendo tratamiento, tiene las mismas necesidades que todos los niños en crecimiento. No evites hablarle sobre la terapia usando términos y explicaciones directas que pueda entender. Los niños toleran mejor el tratamiento si lo entienden y se les permite ayudar a tomar decisiones sobre su cuidado cuando sea posible.

Es posible que como padre/madre sea difícil ver a tu hijo(a) pasar por una enfermedad grave y someterse a un tratamiento. Tu hijo(a) a veces puede parecer más enfermo(a) que antes de que comenzara la terapia. Tus sentimientos con respecto a lo que está padeciendo tu hijo(a) durante el tratamiento pueden compensarse con el hecho de saber que el tratamiento le brinda la posibilidad de curarse y de lograr llevar una vida plena y significativa. A menudo es difícil aceptar los cambios que la anemia aplásica y el tratamiento pueden causar, pero ten en cuenta que muchos de ellos a menudo son temporales. Siempre recuerda que a pesar de los cambios externos, tu hijo(a), en el interior, sigue siendo la misma persona.

¿ES IMPORTANTE LA DIETA DE MI HIJO(A) DURANTE LA TERAPIA?

La dieta que lleve tu hijo(a) es un factor importante durante el tratamiento. Investigaciones han demostrado que los niños bien alimentados toleran mejor la terapia. Ofrécele alimentos altos en calorías, proteínas y carbohidratos. A menudo se toleran mejor comidas pequeñas y frecuentes que tres comidas más abundantes. En lo posible, evita los alimentos chatarra y aquellos con un alto contenido de sal y sustitúyelos por alimentos más nutritivos.

El estado de hidratación de tu hijo(a) también es una parte sustancial de su bienestar. Es importante que le ofrezcas líquidos para que beba con frecuencia durante todo el día para que no se deshidrate. Los signos de una deshidratación son la disminución de la producción de orina, los mareos y la boca seca.

Se deben evitar los multivitamínicos, las hierbas y los medicamentos, a menos que hayan sido aprobados por el equipo de atención médica, ya que pueden interferir con la terapia que está llevando.

El (la) nutriólogo(a) forma parte del equipo de atención médica de tu hijo(a) y está capacitado(a) para determinar las necesidades calóricas y nutricionales de los niños. Este(a) especialista puede proporcionarte información sobre las necesidades dietéticas de tu hijo(a), así como darte ideas sobre cómo puedes satisfacer estas necesidades durante el tratamiento. El equipo de atención médica controlará el estado nutricional, la altura y el peso de tu hijo(a) durante y después del tratamiento para tratar de prevenir cualquier problema. En caso de que exista una preocupación por algún problema nutricional, el equipo de atención médica intervendrá.

¿PUEDE MI HIJO ASISTIR A LA ESCUELA DURANTE LA TERAPIA?

La capacidad de tu hijo(a) para asistir a la escuela durante la terapia dependerá de la intensidad del tratamiento, su respuesta a éste y qué tan susceptible, según su recuento absoluto de neutrófilos (ANC), es a contraer una infección. Es posible que haya períodos prolongados en los cuales tu hijo(a) no pueda asistir a la escuela debido a las hospitalizaciones o los tratamientos. Sin embargo, es importante que, incluso durante este tiempo, tu hijo(a) se mantenga al día con su trabajo escolar. Habla con el equipo de atención médica y con el personal de la escuela sobre la posibilidad de tener acceso a los servicios en el hogar, incluido un tutor, hasta que pueda regresar a la escuela. Muchos hospitales pediátricos cuentan con programas escolares que permiten a los niños tomar clases mientras están en el hospital. Estos programas a menudo ayudan con la coordinación de tutores en el hogar, así como a obtener actividades y tareas escolares.

Habla con el equipo de atención médica sobre la capacidad de tu hijo(a) para asistir a la escuela. Algunos niños pueden asistir a la escuela entre hospitalizaciones o tratamientos y utilizar servicios de clases particulares. El equipo de atención médica puede ayudar a coordinar los servicios escolares que necesita tu hijo(a). Cuando un niño regresa a la escuela por primera vez después de comenzar el tratamiento, o al final de la terapia, los equipos de atención médica van a la escuela para orientar a los maestros y estudiantes sobre el regreso de un estudiante. Una vez que tu hijo(a) ha regresado a la escuela, el equipo de atención médica puede seguir ayudándote a obtener los servicios especiales que tu hijo(a) necesite.

BIBLIOGRAFÍA

Bacigalupo, A. (2017). How I treat acquired aplastic anemia. *Blood, 129*(11), 1428–1436.

Marsh, J. C., & Kulasekararaj, A. G. (2013). Management of the refractory aplastic anemia patient: what are the options?. *ASH Education Program Book, 2013*(1), 87–94.

Scheinberg, P. (2018). Activity of eltrombopag in severe aplastic anemia. *Blood advances, 2*(21), 3054–3062.

Scheinberg, P., & Young, N. S. (2012). How I treat acquired aplastic anemia. *Blood, 120*(6), 1185–1196.

Townsley, D. M., et al. (2017). Eltrombopag added to standard immunosuppression for aplastic anemia. *New England Journal of Medicine, 376*(16), 1540–1550.

Williams, D. A., et al. (2014). Diagnosis and treatment of pediatric acquired aplastic anemia (AAA): An initial survey of the North American Pediatric Aplastic Anemia Consortium (NAPAAC). *Pediatric Blood & Cancer, 61*(5), 869–874.

NÚMEROS TELEFÓNICOS IMPORTANTES

NOTAS

8735 W. Higgins Road, Suite 300
Chicago, IL 60631
847.375.4724 • Fax 847.375.6478
info@aphon.org
www.aphon.org