

Puntos clave

- La mielofibrosis (MF, por sus siglas en inglés) es un tipo raro de cáncer de la médula ósea. Forma parte de un grupo de tipos de cáncer de la sangre relacionados que se conocen como “neoplasias mieloproliferativas” (MPNs, por sus siglas en inglés), en los que las células de la médula ósea que producen las células sanguíneas se desarrollan y funcionan de forma anormal.
- La mielofibrosis es un tipo de leucemia crónica que puede presentarse por sí sola (mielofibrosis primaria) o como resultado de otro trastorno de la médula ósea. Otras neoplasias mieloproliferativas que pueden progresar para transformarse en mielofibrosis incluyen la policitemia vera y la trombocitemia esencial.
- La mielofibrosis se presenta cuando ocurre una mutación genética en las células madre de la médula ósea. Entre el 50 y el 60 por ciento de las personas con mielofibrosis presentan una mutación del gen de la quinasa Janus 2 (*JAK2*, por su abreviatura en inglés), y aproximadamente el 25 por ciento presentan una mutación del gen de la calreticulina (*CALR*). Recientemente se han encontrado varias otras mutaciones en pacientes con mielofibrosis. Los investigadores están estudiando otras posibles mutaciones genéticas que podrían ser responsables de la mielofibrosis. No se conoce la causa de la(s) mutación(es) génica(s) ni de la enfermedad.
- La mielofibrosis normalmente se desarrolla lentamente, y algunas personas pueden vivir sin síntomas durante años. En otras personas, sin embargo, la enfermedad puede empeorar de forma progresiva y requerir tratamiento. En ambos casos, los pacientes deben ser observados con regularidad mediante seguimiento médico.
- Las metas del tratamiento para la mayoría de los pacientes con mielofibrosis son aliviar los síntomas, reducir el agrandamiento del bazo, mejorar los conteos de células sanguíneas (p. ej., en el caso de la anemia) y reducir el riesgo de complicaciones. Entre los tratamientos se incluyen las transfusiones de sangre, la quimioterapia, la radioterapia o la extirpación del bazo (esplenectomía), los medicamentos para el tratamiento de la anemia y el alotrasplante de células madre.

El ruxolitinib (Jakafi®) es el primer medicamento aprobado por la Administración de Alimentos y Medicamentos de los Estados Unidos (FDA, por sus siglas en inglés) para el tratamiento de la mielofibrosis, debido a que se ha demostrado que reduce los síntomas sistémicos relacionados con la mielofibrosis y el agrandamiento del bazo. Se están estudiando otros posibles tratamientos para la mielofibrosis en ensayos clínicos.

- El alotrasplante de células madre (ASCT, por sus siglas en inglés) es la única posible cura para la mielofibrosis. Este tratamiento presenta un riesgo considerable de efectos secundarios potencialmente mortales. El alotrasplante de células madre no es una buena opción de tratamiento para la mayoría de las personas con mielofibrosis debido a consideraciones como la edad, el curso de la enfermedad u otros problemas de salud que pudieran tener.

Introducción

La mielofibrosis forma parte de un grupo de tipos de cáncer de la sangre estrechamente relacionados que se conocen como “neoplasias mieloproliferativas”, en los que las células de la médula ósea que producen las células sanguíneas del organismo se desarrollan y funcionan de forma anormal. El resultado es la excesiva formación de tejido fibroso (cicatrizal) en la médula ósea, la cual puede provocar anemia grave, debilidad, fatiga, agrandamiento del bazo y del hígado y deterioro físico del cuerpo (pérdida de masa o tamaño corporal).

La mielofibrosis puede presentarse por sí sola, llamada “mielofibrosis primaria”, o como consecuencia de la progresión de otras neoplasias mieloproliferativas, especialmente la policitemia vera (PV, por sus siglas en inglés) y la trombocitemia esencial (ET, por sus siglas en inglés). Entre el 15 y el 20 por ciento de los casos de mielofibrosis comienzan ya sea como policitemia vera o como trombocitemia esencial. La mielofibrosis también se conoce con varios otros nombres, entre ellos, metaplasia mieloide agnogénica, mielofibrosis idiopática crónica, mioesclerosis con metaplasia mieloide y mielofibrosis idiopática.

Esta hoja informativa incluye información sobre el diagnóstico, el tratamiento y los resultados previstos de la mielofibrosis, así como información sobre los nuevos tratamientos en fase de investigación en ensayos clínicos y recursos de apoyo.

Acerca de la mielofibrosis

La mielofibrosis es un tipo raro de cáncer de médula ósea en el cual el tejido fibroso (cicatricial) reemplaza a la médula ósea. La médula ósea es el tejido blando y adiposo que se encuentra en el interior de los huesos. El cáncer se presenta cuando ocurre una mutación en el ADN de una sola célula madre hematopoyética (productora de sangre). Las células madre de la médula ósea pueden reproducirse y dividirse en múltiples células especializadas que componen la médula ósea y la sangre. A medida que la célula mutada de la médula ósea se duplica y divide, transmite la(s) mutación(es) a nuevas células. Con el tiempo, esta producción de células anormales supera la capacidad de la médula ósea de producir suficientes células sanguíneas normales, entre ellas:

- Glóbulos rojos, que transportan el oxígeno a los tejidos
- Glóbulos blancos, que combaten las infecciones
- Plaquetas, que ayudan a que la sangre se coagule

La incapacidad de la médula ósea de producir suficientes células sanguíneas sanas puede provocar anemia grave, debilidad, dolor en los huesos, fatiga y aumento del riesgo de contraer infecciones o sangrados. La proliferación anormal de las células productoras de sangre también puede tener lugar fuera de la médula ósea, lo que se llama “hematopoyesis extramedular”, en órganos tales como el hígado, el bazo, los pulmones, los ganglios linfáticos y la médula espinal, provocando así inflamación.

Una de las características importantes y constantes de la mielofibrosis es la producción excesiva de “megacariocitos”, término que denomina las células gigantes de la médula ósea que se dividen en fragmentos y producen de cientos a miles de plaquetas. Las plaquetas son pequeñas células sanguíneas (que comprenden aproximadamente una décima parte del volumen de los glóbulos rojos) que se adhieren al lugar de una lesión de los vasos sanguíneos y forman un tapón para sellar el vaso sanguíneo lesionado, a fin de detener el sangrado. Normalmente, se producen plaquetas nuevas para reemplazar a las plaquetas usadas en el cuerpo. En la mielofibrosis, se producen más megacariocitos de lo necesario, y esto causa la liberación de un exceso de plaquetas que entran en la sangre y de sustancias químicas llamadas “citocinas” que entran en la médula ósea. Las citocinas estimulan el desarrollo de tejido fibroso en la médula ósea. Paradójicamente, la cantidad de megacariocitos puede llegar a ser tan anormal que, en algunos pacientes, disminuye la producción de plaquetas.

La mielofibrosis se presenta en alrededor de 1.5 de cada 100,000 personas en los Estados Unidos anualmente. La enfermedad afecta tanto a los hombres como a las mujeres y generalmente se diagnostica en personas mayores de 60 años de edad. Sin embargo, la mielofibrosis puede presentarse a cualquier edad.

Alrededor del 90 por ciento de las personas con mielofibrosis presentan una mutación (un cambio en su ADN) en uno de tres genes: el gen de la quinasa Janus 2, el gen de la calreticulina o el gen de la leucemia mieloproliferativa (*JAK2*, *CALR* y *MPL* por sus abreviaturas en inglés). Cada una de estas tres mutaciones génicas provoca una señalización anormal en la vía de la quinasa Janus, la cual regula la producción de células sanguíneas. La vía de la quinasa Janus es una cascada de proteínas (enzimas) dentro de la célula que se activan unas a otras y, finalmente, provocan un cambio en la actividad celular, en este caso, un aumento de la división y proliferación celulares. Alrededor del 50 por ciento de los pacientes presentan la mutación “V617F *JAK2*”, que se encuentra en el gen *JAK2*, mientras que alrededor del 25 por ciento presentan una mutación del gen de la calreticulina (*CALR*) y del 5 al 10 por ciento de los pacientes con mielofibrosis presentan una mutación del gen de la leucemia mieloproliferativa (*MPL*). Además, a lo largo de los últimos años, se han encontrado mutaciones en muchos otros genes, tales como *ASXL1*, *EZH2*, *IDH1/2*, *SRSF2* y *TET2*, en el 5 al 20 por ciento de los pacientes con mielofibrosis; estas mutaciones pueden presentarse además de las mutaciones *JAK2*, *CALR* o *MPL*, y una persona puede tener varias de estas mutaciones al mismo tiempo. Los científicos están investigando la función que pueden tener estas y otras mutaciones génicas, correspondientes a otras vías de señalización, en la aparición y progresión de la mielofibrosis.

No se conoce el motivo por el que ocurren estas mutaciones genéticas en la mielofibrosis. Es posible que la exposición a sustancias petroquímicas, tales como el benceno y el tolueno, y la radiación ionizante puedan aumentar el riesgo de presentar este tipo de cáncer. Pero solamente una pequeña proporción de las personas expuestas a estas sustancias químicas presentan mielofibrosis. Una teoría acerca de la razón por la que la mielofibrosis se presenta en algunas personas es que han heredado genes que limitan su capacidad de eliminar la toxicidad de los agentes causantes. En la mayoría de los casos, la mielofibrosis no es una enfermedad hereditaria, pero hay algunos casos raros de neoplasias mieloproliferativas, incluyendo la mielofibrosis, en múltiples miembros de una familia. No se conoce ningún enfoque para la prevención.

Signos y síntomas

La mielofibrosis normalmente se desarrolla lentamente. En las primeras etapas, muchas personas (aproximadamente un tercio) no presentan síntomas de la enfermedad. Sin embargo, a medida que aumenta la alteración de la producción de células sanguíneas normales, las personas pueden presentar los siguientes signos y síntomas:

- Cansancio, debilidad y falta de aliento, normalmente debido a la presencia de una cantidad insuficiente de glóbulos rojos (anemia)

- Dolor o una sensación de saciedad por debajo de las costillas, en el lado izquierdo, como resultado del agrandamiento del bazo (esplenomegalia)
- Agrandamiento del hígado (en el lado derecho del abdomen, por debajo de las costillas)
- Palidez
- Sangrado o moretones que se presentan con facilidad como resultado de tener una cantidad insuficiente de plaquetas (trombocitopenia)
- Sudoración nocturna excesiva
- Fiebre
- Infecciones frecuentes debidas a la presencia de una cantidad insuficiente de glóbulos blancos (neutropenia)
- Dolor en los huesos o las articulaciones
- Pérdida de peso

Atención de apoyo

Hay varias terapias de apoyo que se pueden emplear para controlar la anemia (y las cantidades insuficientes de células sanguíneas en general), el agrandamiento del bazo u otros síntomas sistémicos de la mielofibrosis del paciente. Estas terapias se describen a continuación.

Anemia. El reemplazo de nutrientes que estimulan la producción de glóbulos rojos, tales como el hierro, el ácido fólico y la vitamina B₁₂, puede servir para aliviar la anemia. Los siguientes tratamientos se usan para la anemia relacionada con la mielofibrosis; algunos de ellos también pueden servir para aumentar las cantidades de plaquetas y glóbulos blancos, en el caso de que sean insuficientes. Los medicamentos se describen en mayor detalle en la sección *Tratamiento*, en la página 5. Algunos pueden ocasionar efectos secundarios potencialmente serios, así que es importante hablar con el médico sobre las opciones en su caso.

- **Transfusiones de sangre:** Las transfusiones de sangre periódicas pueden aumentar la cantidad de glóbulos rojos y reducir los síntomas de anemia, entre ellos, la fatiga y la debilidad.
- **Terapia con andrógenos:** Esta terapia incluye medicamentos como el esteroide anabólico danazol, administrado por vía oral. Tomar una versión sintética de las hormonas masculinas (andrógenos) puede servir para mejorar la producción de glóbulos rojos y, por tanto, reducir la anemia.
- **Eritropoyetina:** Esta terapia con una hormona que estimula la producción de glóbulos rojos, administrada por vía intravenosa (IV) o inyección subcutánea, también se puede usar para tratar la anemia.

- **Glucocorticoides** (también conocidos como “corticoesteroides” o “esteroides”): Esta terapia, administrada por vía oral, también se puede usar para tratar la anemia.
- **Inmunomoduladores (IMiDs, por sus siglas en inglés):** La talidomida (Thalomid®) y la lenalidomida (Revlimid®), ambas administradas por vía oral, están aprobadas por la FDA en el tratamiento del mieloma, un tipo de cáncer de la sangre, y se están usando para el tratamiento de la anemia en pacientes con mielofibrosis.
- **Interferón alfa** (Intron® A [interferón alfa 2b], Roferon®-A [interferón alfa 2a], PEGASYS® [peginterferón alfa 2a]): Es una versión sintética de una sustancia producida por las células del cuerpo para combatir infecciones y tumores; estos medicamentos se pueden administrar por inyección intramuscular o subcutánea.

Agrandamiento del bazo. Hay varias opciones para manejar los efectos dolorosos de un bazo agrandado (esplenomegalia) causado por la mielofibrosis. Los medicamentos se describen en mayor detalle en la sección *Tratamiento*, en la página 5. Algunos pueden ocasionar efectos secundarios potencialmente serios, así que es importante hablar con el médico sobre las opciones en su caso.

- **Un inhibidor de la quinasa Janus (JAK, por su abreviatura en inglés):** El ruxolitinib (Jakafi®), administrado por vía oral, es el primer medicamento que ha sido aprobado por la FDA para el tratamiento de la mielofibrosis, debido a que se ha demostrado que reduce los síntomas relacionados con la enfermedad y controla el agrandamiento del bazo.
- **Quimioterapia:** La hidroxiurea (Hydrea®) se administra por vía oral. La cladribina (Leustatin®) se administra por vía intravenosa (IV).
- **Inmunomoduladores:** Estos incluyen los medicamentos talidomida (Thalomid) y lenalidomida (Revlimid).
- **Interferón alfa** (Intron A, Roferon-A, PEGASYS): Esta terapia también puede controlar el agrandamiento del bazo.
- **Extirpación quirúrgica del bazo (esplenectomía):** Este procedimiento se considera si otras formas de terapia no han reducido el dolor ni las complicaciones asociadas con el agrandamiento del bazo. Sin embargo, se deben sopesar los beneficios y los riesgos de este procedimiento antes de tomar una decisión. Los beneficios incluyen una reducción de los síntomas, la disminución de la hipertensión portal (vea la sección *Complicaciones* en la página 4) y menor necesidad de recibir transfusiones de glóbulos rojos. Los pacientes con mielofibrosis que se someterán a una esplenectomía deben ser evaluados antes de la cirugía y observados posteriormente debido al aumento del riesgo de complicaciones de sangrado, entre ellos: la formación de coágulos sanguíneos que pueden provocar una apoplejía (derrame cerebral) o embolia pulmonar; infecciones; agrandamiento del hígado; y un aumento en la cantidad de plaquetas.

- Radioterapia: La radioterapia emplea un haz de alta energía, como los rayos X, para destruir las células cancerosas. Cuando otros métodos de tratamiento han fallado y la extirpación quirúrgica del bazo no es una opción viable, se puede usar la radioterapia para ayudar a reducir el tamaño del bazo.

Síntomas sistémicos. Además de la anemia y el agrandamiento del bazo, los pacientes también pueden presentar sudoración nocturna excesiva, fiebre, dolor en los huesos o las articulaciones, picazón, fatiga, debilidad y pérdida involuntaria de peso. Las siguientes opciones de tratamiento pueden ayudar a los pacientes que presentan estos efectos.

- Ruxolitinib (Jakafi)
- Glucocorticoides

Complicaciones

A medida que la mielofibrosis progresa, pueden surgir complicaciones.

- Hipertensión portal: El aumento del flujo sanguíneo desde un bazo agrandado puede elevar la presión arterial dentro de la vena porta, que lleva sangre del bazo al hígado. Esto puede forzar un exceso de sangre hacia venas más pequeñas en el estómago y el esófago, lo cual puede ocasionar la ruptura de las venas y el sangrado.
- Hematopoyesis extramedular: La formación de células sanguíneas fuera de la médula ósea, llamada “hematopoyesis extramedular”, puede crear acumulaciones (tumores) de células sanguíneas en desarrollo que se presentan en otras áreas del cuerpo. Estos tumores pueden causar problemas tales como sangrado en el sistema gastrointestinal, toser o escupir sangre, compresión de la médula espinal o convulsiones.
- Endurecimiento e inflamación del tejido óseo: La mielofibrosis puede causar el endurecimiento de la médula ósea y la inflamación del tejido conjuntivo que rodea los huesos, provocando como consecuencia dolor muy intenso y sensibilidad en los huesos y articulaciones.
- Gota: Debido a que la mielofibrosis aumenta la producción de ácido úrico en el cuerpo, el cual es un producto secundario de la descomposición de las purinas (una sustancia que se encuentra naturalmente en el cuerpo), se pueden formar depósitos de cristales de ácido úrico con forma de aguja en las articulaciones, lo que causa dolor e inflamación en las articulaciones (gota).
- Leucemia mieloide aguda (AML, por sus siglas en inglés): En alrededor del 15 al 20 por ciento de los pacientes con mielofibrosis, la enfermedad se transforma en leucemia mieloide aguda, un tipo de cáncer de la sangre y la médula ósea que progresa rápidamente.

Diagnóstico

La mielofibrosis se diagnostica según los criterios de la Organización Mundial de la Salud (OMS). No existe una prueba única que pueda usarse para diagnosticar la mielofibrosis en una persona; el diagnóstico se establece con base en los resultados de la biopsia de médula ósea, los conteos de células sanguíneas y la bioquímica sanguínea, y el examen físico. En las personas que no presentan síntomas, es posible que se sospeche la presencia de mielofibrosis cuando un chequeo médico de rutina revela un agrandamiento del bazo y los resultados de las pruebas de sangre son anormales. Los resultados de una prueba de sangre llamada hemograma (conteo sanguíneo completo o CBC, por sus siglas en inglés) que sugieren un diagnóstico de mielofibrosis a menudo incluyen:

- Una disminución del conteo de glóbulos rojos hasta un valor menor del rango normal (anemia)
- Un aumento del conteo de glóbulos blancos hasta un valor mayor del rango normal
- Un aumento del conteo de plaquetas hasta un valor mayor del rango normal (esto se observa en alrededor de un tercio de los pacientes)
- Una disminución de leve a moderada del conteo de plaquetas, hasta un valor menor del rango normal (esto se observa en alrededor de un tercio de los pacientes)

Además de los conteos de células sanguíneas, es posible que las pruebas de sangre también muestren lo siguiente:

- Glóbulos rojos en forma de lágrima y glóbulos rojos y blancos inmaduros en la sangre (detectados al examinar las células sanguíneas al microscopio)
- Plaquetas gigantes, una formación anormal de plaquetas y micromegacariocitos en la sangre circulante (células de la médula ósea responsables de la producción de las plaquetas)
- Niveles séricos elevados de ácido úrico, deshidrogenasa láctica (LDH, por sus siglas en inglés), fosfatasa alcalina y bilirrubina
- Niveles séricos disminuidos de albúmina, colesterol total y lipoproteínas de alta densidad (HDL, por sus siglas en inglés)

Debido a que hay varias otras enfermedades de la sangre como la leucemia y el linfoma que pueden provocar fibrosis medular, también es posible que se realicen las siguientes pruebas para confirmar el diagnóstico de mielofibrosis:

- Examen de médula ósea: Los resultados de la aspiración y biopsia de médula ósea pueden confirmar el diagnóstico de mielofibrosis. En estos procedimientos (realizados normalmente al mismo tiempo), se extrae una pequeña cantidad de hueso y médula ósea del

paciente y, luego, un hematopatólogo (un médico que se especializa en la evaluación de células, tejidos y órganos para diagnosticar las enfermedades) analiza la muestra al microscopio. El análisis de los componentes genéticos de las células de la médula ósea puede demostrar la presencia de mutaciones en las células, lo que puede ayudar a descartar otros tipos de trastornos de la médula ósea. Por ejemplo, la ausencia del cromosoma Philadelphia o de la translocación de los genes *BCR* y *ABL* les permite a los médicos descartar la leucemia mieloide crónica (CML, por sus siglas en inglés). También se puede usar una muestra de sangre o de médula ósea para realizar una prueba llamada “cariotipo”. En esta prueba, se usa un microscopio para examinar el tamaño, la forma y el número de cromosomas en un muestreo de células. Los resultados del cariotipo pueden servir para tomar ciertas decisiones con respecto al tratamiento.

- Pruebas genéticas: Se puede analizar una muestra de sangre o de médula ósea en un laboratorio para buscar mutaciones génicas, tales como las mutaciones *JAK2*, *CALR* o *MPL*, que están presentes en el 90 por ciento de los pacientes con mielofibrosis.
- Pruebas de imagenología: Se pueden usar imágenes por ultrasonido (ecografías) para determinar el tamaño del bazo. Se pueden usar imágenes por resonancia magnética (MRI, por sus siglas en inglés) para identificar cambios en la médula ósea que indiquen la presencia de mielofibrosis.

Planificación del tratamiento

Algunos médicos usan un sistema de puntuación pronóstica para planificar una estrategia de tratamiento que se adapta a los factores de riesgo del paciente, la cual puede incluir:

- Observación solamente
- Jakafi
- Terapias en investigación (p. ej., otros inhibidores de la quinasa Janus)
- Farmacoterapia
- Alotrasplante de células madre o alotrasplante de células madre de intensidad reducida
- Esplenectomía
- Radioterapia

Un modelo es el Sistema Dinámico Internacional de Puntuación Pronóstica (DIPSS, por sus siglas en inglés), el cual clasifica el riesgo como bajo (sin factores de riesgo), intermedio-1 (1 o 2 factores de riesgo), intermedio-2 (3 o 4 factores de riesgo) y alto (5 o 6 factores de riesgo). Los factores independientes de riesgo incluyen:

- Edad mayor de 65 años

- Anemia
- Leucocitosis (cantidad elevada de glóbulos blancos)
- Células blásticas en la sangre circulante
- Síntomas generales (p. ej., pérdida de peso superior al 10 por ciento del peso total en el año anterior, fiebre sin explicación o sudoración excesiva que persiste por más de un mes)

La situación médica de cada paciente es diferente y debería ser evaluada individualmente por un oncólogo o hematólogo que se especialice en el tratamiento del cáncer de la sangre. Es importante que usted hable con los miembros de su equipo de profesionales médicos sobre todas las opciones de tratamiento, incluidos los tratamientos en fase de estudio en ensayos clínicos.

Para obtener más información sobre cómo escoger a un médico o un centro de tratamiento, consulte la hoja informativa de LLS titulada *Selección de un especialista en cáncer de la sangre o de un centro de tratamiento*.

Tratamiento

No existe una farmacoterapia (tratamiento con medicamentos) que pueda curar la mielofibrosis. El alotrasplante de células madre (vea la sección *Trasplante de células madre* en la página 7) es la única posible cura para la mielofibrosis. El procedimiento es peligroso para los pacientes mayores con mielofibrosis que también pueden tener otros problemas de salud, así que el alotrasplante de células madre es normalmente adecuado sólo para un pequeño subconjunto de pacientes más jóvenes, en general menos del 10 por ciento de los pacientes con mielofibrosis.

Generalmente, los pacientes sin síntomas que no presentan signos de anemia, agrandamiento del bazo ni otras complicaciones no reciben tratamiento. Algunas personas permanecen estables y sin síntomas por muchos años. Sin embargo, estos pacientes deben ser seguidos por medio de chequeos médicos y exámenes regulares para detectar cualquier signo o síntoma de progresión de la enfermedad.

Farmacoterapias

- Inhibidores de la quinasa Janus (JAK, por sus siglas en inglés): Esta clase de medicamentos inhibe a las enzimas llamadas “*JAK1*” y “*JAK2*”, las que tienen una función en la producción de las células sanguíneas. El ruxolitinib (Jakafi), administrado por vía oral, es el primer inhibidor de la quinasa Janus y el único medicamento aprobado por la FDA para tratar los síntomas y signos de la mielofibrosis, entre ellos, el agrandamiento del bazo, la sudoración nocturna, la picazón y el dolor óseo y muscular. Se indica para el tratamiento de pacientes con mielofibrosis de riesgo intermedio o alto, incluidas la mielofibrosis primaria, la mielofibrosis posterior

a la policitemia vera y la mielofibrosis posterior a la trombocitemia esencial. Los efectos secundarios más comunes que afectan las células sanguíneas son la trombocitopenia (disminución de la cantidad de plaquetas hasta un nivel menor de lo normal) y la anemia. Otros efectos secundarios comunes incluyen moretones, mareos y dolor de cabeza. Otros efectos secundarios, como las infecciones atípicas (p. ej., herpes simple), son raros, pero deben tomarse en cuenta. No se recomienda el uso de Jakafi en pacientes que presentan un conteo de plaquetas menor de $50 \times 10^9/L$.

Los pacientes deberían ser conscientes de que, después de dejar de tomar Jakafi, es de prever que reaparezcan los signos y síntomas de la mielofibrosis. Se han observado casos aislados de pacientes que suspendieron el tratamiento con Jakafi durante períodos de enfermedades intervinientes agudas, después de las cuales el curso clínico del paciente continuó empeorando. No se ha establecido si la suspensión de la terapia contribuyó al curso clínico de estos pacientes. Cuando se suspende la terapia con Jakafi por razones aparte de la trombocitopenia, se puede considerar una reducción gradual de la dosis del medicamento.

Para obtener más detalles, consulte la información de prescripción completa de Jakafi, disponible en www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2014/202192s009lbl.pdf (en inglés), o comuníquese con un Especialista en Información de LLS.

- **Quimioterapia:** Las quimioterapias convencionales matan las células del cáncer que se dividen rápidamente. Estos tratamientos también pueden afectar las células sanas que se dividen rápidamente, como las células que forman las uñas y los folículos pilosos, las células que revisten el tubo gastrointestinal y las células madre que producen las células sanguíneas. Algunas quimioterapias sistémicas para el tratamiento de los síntomas de mielofibrosis incluyen:
 - **Cladribina (Leustatin®):** Este agente quimioterapéutico, administrado por vía intravenosa (IV), es un análogo de purinas que interfiere con la capacidad de las células de procesar el ADN. Ayuda a disminuir los síntomas de anemia y de agrandamiento del bazo en los pacientes con mielofibrosis. Debido a que reduce la cantidad de todas las células sanguíneas, la cladribina puede aumentar el riesgo de infecciones y sangrado.
 - **Hidroxiurea (Hydrea):** Este agente quimioterapéutico común, administrado por vía oral, se utiliza para reducir varios síntomas de la mielofibrosis, así como las cantidades elevadas de plaquetas y glóbulos blancos, el agrandamiento del bazo, la sudoración nocturna y la pérdida de peso. Los pacientes que tienen cantidades insuficientes de células sanguíneas o anemia grave no deben tomar hidroxiurea. Algunos pacientes pueden presentar úlceras cutáneas cuando lo toman a largo plazo.
- **Inmunomoduladores (IMiDs, por sus siglas en inglés):** Los medicamentos de esta clase actúan contra las células del cáncer afectando el funcionamiento del sistema inmunitario. Dos tipos de inmunomoduladores, la talidomida (Thalomid) y la lenalidomida (Revlimid), ambos administrados por vía oral, se utilizan para tratar la anemia en pacientes con mielofibrosis. Se han informado respuestas favorables a la talidomida en el 20 al 60 por ciento de los pacientes con mielofibrosis. La talidomida puede producir neuropatía periférica. La lenalidomida puede reducir la cantidad de neutrófilos (un tipo de glóbulo blanco que combate las infecciones), lo que provoca un aumento del riesgo de infecciones. Las mujeres embarazadas, o que están considerando la posibilidad de quedar embarazadas, no deben tomar inmunomoduladores.
- **Interferón alfa (Intron A, Roferon-A, PEGASYS):** Este medicamento, administrado por inyección intramuscular o subcutánea, es una versión sintética de una sustancia producida por las células del cuerpo para combatir infecciones y tumores. Se ha usado para el tratamiento del agrandamiento del bazo, el dolor en los huesos y las cantidades elevadas de plaquetas en determinados pacientes con mielofibrosis. Debido a sus efectos sobre el sistema inmunitario, el interferón alfa puede empeorar las anomalías de la glándula tiroidea, la diabetes mellitus o los trastornos autoinmunitarios. El interferón alfa también puede causar depresión o empeorarla.
- **Terapia con andrógenos (Oximetolona [Anadrol-50®], danazol):** Estos medicamentos, ambos administrados por vía oral, son versiones sintéticas (análogos) de las hormonas masculinas y pueden promover la producción de glóbulos rojos. Se usan para aliviar los síntomas de la anemia grave. Alrededor de uno de cada tres pacientes con anemia que se sometieron al tratamiento con andrógenos presentó una mejora en los conteos de glóbulos rojos. Debido a los efectos tóxicos de los andrógenos en el hígado, el tratamiento con estos medicamentos incluye el uso de pruebas de sangre para realizar un seguimiento de las funciones hepáticas. Los andrógenos pueden ocasionar el crecimiento de vello facial u otros efectos masculinizantes en las mujeres; su uso está contraindicado en hombres con antecedentes de cáncer de próstata.
- **Eritropoyetina recombinante (Epogen®, Procrit®):** Este tratamiento, administrado por vía intravenosa (IV) o inyección subcutánea, sirve para regular la producción de glóbulos rojos. Sin embargo, el efecto de este medicamento sobre los síntomas relacionados a la anemia ha sido limitado en los pacientes con mielofibrosis. La eritropoyetina puede aumentar el riesgo de coágulos sanguíneos.

- **Glucocorticoides** (también llamados “corticoesteroides” o “esteroides”): Los glucocorticoides, tales como la prednisona, administrados por vía oral, son compuestos esteroides que se usan en el tratamiento de muchas afecciones y pueden tener beneficios para los pacientes con mielofibrosis que tienen anemia de importancia clínica. Alrededor de uno de cada tres pacientes con anemia presenta una mejora en los conteos de glóbulos rojos con el tratamiento con prednisona. El uso a largo plazo de glucocorticoides puede causar osteoporosis. Los glucocorticoides también pueden aumentar el nivel de azúcar en la sangre y la presión arterial.
- **Clorhidrato de anagrelida** (Agylin®): Este medicamento, administrado por vía oral, se puede usar para tratar a los pacientes que presentan un conteo muy alto de plaquetas, especialmente después de la extirpación del bazo (“esplenectomía”). Para asegurar la dosis correcta, es necesario realizar pruebas de sangre frecuentemente. La anagrelida puede provocar dolores de cabeza y un ritmo cardíaco acelerado en algunos pacientes.

Para obtener más información sobre los efectos secundarios, consulte el librito gratuito de LLS titulado *Efectos secundarios de la farmacoterapia* y la página web de la FDA con información sobre medicamentos en www.fda.gov/drugs/resourcesforyou/consumers/default.htm (en inglés).

Radioterapia

La radioterapia puede resultar útil en una pequeña cantidad de pacientes para tratar el agrandamiento del bazo, el dolor en los huesos y los tumores extramedulares.

Esplenectomía

El bazo puede extirparse quirúrgicamente si se agranda mucho y, como consecuencia de este problema, se observa un conteo muy bajo de plaquetas, una anemia grave o hipertensión portal en el paciente. La decisión de realizar una esplenectomía se toma evaluando los beneficios y los riesgos para el paciente particular. Los pacientes con mielofibrosis que se someterán a una esplenectomía deben ser evaluados antes de la cirugía y observados luego de la misma por el aumento del riesgo de complicaciones de sangrado, entre ellos: la formación de coágulos sanguíneos que pueden provocar una apoplejía (derrame cerebral) o una embolia pulmonar; infecciones; el agrandamiento del hígado; y un aumento en la cantidad de plaquetas.

Trasplante de células madre

El alotrasplante de células madre es el único tratamiento actual con el que es posible curar la mielofibrosis, pero para la mayoría de los pacientes con mielofibrosis también conlleva un alto riesgo de efectos secundarios

potencialmente mortales. En este procedimiento, el paciente recibe dosis altas de quimioterapia o radioterapia para destruir la médula ósea dañada. Luego, se infunden en el paciente con mielofibrosis las células madre hematopoyéticas (productoras de sangre) sanas de un donante compatible (un hermano o hermana, o una persona no emparentada cuyas células madre son “compatibles” con las del paciente). Las células sanas trasplantadas se dirigen a la médula ósea del paciente y reemplazan a las células madre defectuosas. Las nuevas células proliferan y empiezan una nueva producción de glóbulos rojos, glóbulos blancos (incluyendo células inmunitarias) y plaquetas.

La mayoría de los pacientes con mielofibrosis son de mayor edad y suelen tener otras afecciones de salud que pueden impedir la función de los órganos. Las personas mayores también tienen más probabilidades de padecer otros problemas médicos, presentar complicaciones causadas por el tratamiento y tener una menor tolerancia a los efectos acumulativos de la quimioterapia intensiva y los tratamientos de radioterapia que son necesarios antes del trasplante. Sin embargo, estas son generalizaciones. El alotrasplante de células madre es una opción para las personas mayores siempre que sea adecuado desde el punto de vista médico. La cuestión de si el paciente es candidato o no a un trasplante se determina según las indicaciones médicas y la disponibilidad de un donante. No existe ninguna edad límite específica para el trasplante de células madre.

El alotrasplante de células madre de intensidad reducida o “no mieloablativo” es un tipo de trasplante que se está usando para tratar a algunos pacientes con leucemia, linfoma o mieloma. En comparación con el alotrasplante estándar de células madre, en el trasplante de intensidad reducida se administran dosis menores de medicamentos quimioterapéuticos y/o radioterapia al paciente a fin de prepararlo para el trasplante. El éxito del trasplante de intensidad reducida se debe al efecto injerto contra tumor de las células madre del donante, en vez de depender de las dosis altas de quimioterapia. Este enfoque puede resultar beneficioso para pacientes de edad avanzada y los que están muy enfermos, así como para ciertos otros pacientes. Actualmente, los trasplantes de intensidad reducida se realizan con resultados cada vez más alentadores para los pacientes con mielofibrosis.

Hable con el médico para determinar si el trasplante de células madre es una opción de tratamiento en su caso. Para obtener más información sobre el trasplante de células madre, consulte el librito gratuito de LLS titulado *Trasplante de células madre sanguíneas y de médula ósea*.

Efectos secundarios del tratamiento en pacientes con mielofibrosis

Los efectos secundarios del tratamiento dependerán de varios factores, entre ellos, el tipo y la dosis del tratamiento, la edad del paciente y las afecciones médicas coexistentes. La terapia puede inducir fatiga, náuseas, fiebre, escalofríos, mareos, falta de aliento, neuropatía periférica (hormigueo, ardor, adormecimiento o dolor en las manos o los pies), caída temporal del cabello y otros efectos secundarios.

El manejo de los efectos secundarios es importante. Si tiene alguna preocupación en cuanto a los efectos secundarios, hable con el médico para obtener ayuda. La mayoría de los efectos secundarios son temporales y se resuelven una vez completado el tratamiento. Para obtener información sobre medicamentos específicos, consulte el librito gratuito de LLS titulado *Efectos secundarios de la farmacoterapia* y la página web de la FDA con información sobre medicamentos en www.fda.gov/drugs/resourcesforyou/consumers/default.htm (en inglés).

Tratamientos en fase de investigación

Se recomienda que los pacientes exploren las opciones de tratamiento en ensayos clínicos y que se inscriban en alguno si reúnen los requisitos para participar. Los ensayos clínicos prueban medicamentos y tratamientos nuevos antes de que la FDA los apruebe como tratamientos estándares, y muchos de ellos están apoyados por los programas de investigación de LLS.

Los ensayos clínicos son estudios de investigación cuidadosamente controlados y realizados según rigurosas pautas para ayudar a los investigadores a determinar los efectos beneficiosos y los posibles efectos secundarios adversos de los nuevos tratamientos. Los ensayos clínicos están diseñados para ser precisos y muy seguros. La participación de pacientes en ensayos clínicos es importante para el desarrollo de tratamientos nuevos y más efectivos para la mielofibrosis y puede darles acceso a más opciones de tratamiento.

Se recomienda que los pacientes interesados en participar en ensayos clínicos hablen con sus médicos para determinar si un ensayo clínico sería una opción adecuada de tratamiento en su caso.

Para obtener más información sobre los ensayos clínicos, consulte el librito gratuito de LLS titulado *Los ensayos clínicos para el cáncer de la sangre* en www.LLS.org/materiales o visite www.LLS.org/clinicaltrials (en inglés).

El descubrimiento de la mutación del gen *JAK2* en 2005 dio lugar a ensayos clínicos sobre varios inhibidores de la quinasa Janus en el tratamiento de la mielofibrosis. Se cree que la mutación del gen *JAK2* es una de varias mutaciones génicas que tiene una función en el desarrollo de la mielofibrosis.

A pesar de que se están evaluando varios inhibidores de la quinasa Janus en estudios clínicos, ninguno de ellos es específicamente para pacientes con la mutación V617F del gen *JAK2*. Estos medicamentos inhiben la vía de la quinasa Janus dentro de las células de la médula ósea y la sangre, independientemente de que el paciente tenga una mutación del gen *JAK2*, *CALR*, *MPL* o cualquier otra mutación. También se está evaluando la combinación de los inhibidores de la quinasa Janus con otros fármacos, tales como los medicamentos inmunomoduladores, los andrógenos o los inhibidores de otras vías de señalización aparte de la vía de la quinasa Janus. Estas terapias de combinación pueden aportar beneficios adicionales, por ejemplo para mejorar la anemia o generar respuestas mejores y más prolongadas al tratamiento. También se están desarrollando medicamentos que tienen como objetivo mejorar la anemia o disminuir la fibrosis medular.

Algunas clases de terapias y medicamentos novedosos en fase de investigación incluyen:

- Los inhibidores de la quinasa Janus que se dirigen a la señalización anormal en la vía de la quinasa Janus, la cual está presente en todos los pacientes con mielofibrosis, en gran parte debido a mutaciones del gen *JAK2*, *CALR* o *MPL*. Varios inhibidores de la quinasa Janus están actualmente en fase de ensayos clínicos y están demostrando su eficacia para reducir el tamaño del bazo, disminuir síntomas como la sudoración nocturna y la fatiga y, posiblemente, para mejorar la anemia. Entre estos nuevos tratamientos se incluyen el momelotinib (CYT387), el pacritinib (SB1518) y el NS-018.
- Los inhibidores de la histona deacetilasa (HDAC, por sus siglas en inglés), que cumplen una función importante en la regulación de la expresión génica. Está en curso un estudio clínico del panobinostat (Farydak®), que está aprobado por la FDA para el tratamiento del mieloma múltiple, en combinación con ruxolitinib en pacientes con mielofibrosis. El pracinostat es otro inhibidor de la histona deacetilasa que se está estudiando en combinación con ruxolitinib.
- Los agentes antifibróticos interfieren en el proceso de reparación del tejido y la fibrosis. El PRM-151 es un medicamento que se usa en la terapia antifibrótica, que se está evaluando en la mielofibrosis. El anticuerpo contra la lisil-oxidasa homólogo 2 es otro tipo de medicamento antifibrótico que se está estudiando en un ensayo clínico.
- También se están evaluando terapias que se dirigen a otras vías que pueden estar anormalmente activadas en la mielofibrosis. El LCL-161 es un medicamento oral que bloquea la actividad de las proteínas inhibidoras de la apoptosis (IAP, por sus siglas en inglés), las cuales promueven la supervivencia celular. El SL-401 constituye una terapia que se dirige al receptor IL-3, que se encuentra en la superficie de las células de la mielofibrosis.

- Los inhibidores de puntos de control inmunitario (nivolumab, ipilimumab) forman parte de una nueva clase de medicamentos que emplean el sistema inmunitario del cuerpo para combatir al cáncer. Se está evaluando el nivolumab (Opdivo®), que está aprobado por la FDA para el tratamiento del melanoma y del cáncer de pulmón de células no pequeñas, como terapia para la mielofibrosis.
- Se está evaluando el sotatercept (ACE-011), un medicamento que estimula la producción de glóbulos rojos, para el tratamiento de la anemia en la mielofibrosis.
- El imetelstat es un inhibidor de la telomerasa que afecta la capacidad que tienen las células en el proceso de división de reparar la pérdida de ADN que ocurre durante la división celular. Se está estudiando este medicamento en la mielofibrosis para averiguar si puede mejorar la función medular y normalizar las cantidades de células sanguíneas.

Resultados del tratamiento

El pronóstico (el resultado probable de una enfermedad) varía ampliamente entre los pacientes con mielofibrosis. Los factores de riesgo asociados con el pronóstico de cada paciente se evalúan en forma individual. Mientras que la mediana de supervivencia para las personas con mielofibrosis es de alrededor de 5 años, las personas menores de 55 años de edad con buenos factores pronósticos tienen una mediana de supervivencia de 11 años. Sin embargo, algunas personas pueden sobrevivir durante décadas tras el diagnóstico. Es importante saber que los datos sobre resultados pueden mostrar cómo han respondido al tratamiento algunos grupos de personas con mielofibrosis, pero no pueden indicar cómo responderá una persona en particular. Por estas razones, se recomienda que los pacientes hablen con sus médicos acerca de la información sobre la supervivencia.

Si bien no hay un sistema de estadificación para la mielofibrosis, el Sistema Internacional de Puntuación Pronóstica (IPSS, por sus siglas en inglés) utiliza los siguientes cinco factores de riesgo para estimar la duración de la supervivencia a partir del momento del diagnóstico:

- Edad de 65 años o mayor
- Anemia - un nivel de hemoglobina menor de 10 gramos por decilitro (g/dL)
- Síntomas tales como fiebre, sudores nocturnos o pérdida de peso
- Leucocitosis - un conteo elevado de glóbulos blancos, mayor de 25,000/microL
- Células blásticas en la sangre circulante - al menos 1 por ciento

Según el Sistema Internacional de Puntuación Pronóstica, los pacientes a los que no les corresponden ninguna de estas características adversas, con excepción de la edad, tienen una mediana de supervivencia de más de diez años. La presencia de tres de las características adversas anteriores reduce la mediana de supervivencia a 2 años. Sin embargo, los estudios recientes a largo plazo de ruxolitinib (Jakafi) sugieren que este medicamento puede mejorar la supervivencia en los pacientes con mielofibrosis por varios años.

Agradecimiento

Por su revisión de la versión en inglés de esta hoja informativa, *Myelofibrosis Facts*, y sus importantes aportes al material presentado en esta publicación, LLS agradece a:

Srdan Verstovsek, MD, PhD

Profesor de Medicina, Departamento de Leucemia
The University of Texas MD Anderson Cancer Center
Houston, TX

Estamos aquí para ayudar

LLS es la organización voluntaria de salud más grande del mundo dedicada a financiar las investigaciones, la educación y los servicios al paciente correspondientes al cáncer de la sangre. LLS tiene oficinas locales por todos los Estados Unidos y en Canadá. Para localizar la oficina que se encuentra más cercana a su domicilio, visite nuestro sitio web en www.LLS.org/chapterfind (en inglés) o comuníquese con:

La Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma (The Leukemia & Lymphoma Society)

3 International Drive
Suite 200

Rye Brook, NY 10573

Comuníquese con un Especialista en Información al (800) 955-4572

o por correo electrónico a infocenter@LLS.org (se habla español)

Las secciones a continuación enumeran varios recursos que están a su disposición. LLS ofrece información y servicios sin costo a los pacientes y familias afectados por los distintos tipos de cáncer de la sangre. Use esta información para:

- Informarse sobre los recursos que están disponibles para usted y sus familiares y cuidadores
- Hacer preguntas y obtener la información que necesita de los profesionales médicos a cargo de su atención médica y tratamiento
- Aprovechar al máximo el conocimiento y las habilidades de su equipo de profesionales médicos

Consulte con un Especialista en Información. Los Especialistas en Información son enfermeros, educadores en salud y trabajadores sociales titulados a nivel de maestría y especializados en oncología. Ellos ofrecen información actualizada sobre las enfermedades, las opciones de tratamiento y los servicios de apoyo relacionados con el cáncer de la sangre. Para obtener más información:

- Llame al (800) 955-4572 (Lun-Vie, de 9 a. m. a 9 p. m., hora del Este)
Algunos Especialistas en Información hablan español y se ofrecen servicios de interpretación.
- Envíe un correo electrónico a infocenter@LLS.org
Puede enviar correos electrónicos y recibir respuestas en español.
- Visite www.LLS.org/especialistas
Esta página web incluye un resumen de los servicios de los Especialistas en Información y un enlace para iniciar una sesión de conversación (chat) en directo por Internet. Por medio de este enlace, puede conversar en español con un Especialista en Información por Internet.

También puede acceder a información y recursos en el sitio web de LLS en www.LLS.org/espanol.

Materiales informativos gratuitos. LLS ofrece publicaciones gratuitas en inglés y en español con fines de educación y apoyo. Puede acceder a estas publicaciones por Internet en www.LLS.org/materiales, o llame al (800) 955-4572 para hablar con un Especialista en Información. Se le pueden enviar copias impresas por correo sin costo.

Programas educativos ofrecidos por Internet y por teléfono. LLS ofrece programas educativos sin costo por Internet y por teléfono para los pacientes, cuidadores y profesionales médicos. Para obtener más información, llame al (800) 955-4572 para hablar con un Especialista en Información, o visite www.LLS.org/programas.

Sesiones de conversación (chats) y foros de comunicación por Internet. Los chats y foros de comunicación pueden proporcionar apoyo a los pacientes y ayudarlos a ponerse en contacto con otros pacientes que se encuentran en circunstancias similares y compartir información. Para obtener más información, llame al (800) 955-4572 para hablar con un Especialista en Información, o visite las páginas web en www.LLS.org/chat y www.LLS.org/discussionboard (en inglés).

Oficinas locales de LLS. LLS ofrece servicios comunitarios y apoyo a través de su red de oficinas locales en los Estados Unidos y Canadá. Estos servicios incluyen:

- El *Programa Primera Conexión de Patti Robinson Kaufmann*
A través de este programa, LLS puede ponerlo en contacto con otro paciente que tiene la misma

enfermedad que usted tiene. Muchas personas se benefician de la oportunidad única de compartir experiencias y conocimientos.

- Grupos de apoyo en persona
Los grupos de apoyo les ofrecen oportunidades a los pacientes y cuidadores de reunirse y compartir experiencias e información sobre las enfermedades y los tratamientos, así como apoyo mutuo.

Para obtener más información sobre estos programas, llame al (800) 955-4572 o visite www.LLS.org/servicios. También puede comunicarse directamente con una oficina local de LLS para enterarse de las opciones en su comunidad. Si necesita asistencia para localizar la oficina de LLS más cercana, llame al (800) 955-4572 para hablar con un Especialista en Información, o visite www.LLS.org/chapterfind (en inglés).

Ensayos clínicos (estudios de investigación médica). Se están investigando nuevos tratamientos en ensayos clínicos. LLS ayuda a los pacientes a obtener información sobre los ensayos clínicos y acceder a los tratamientos que se ofrecen en estos estudios de investigación médica. Para obtener más información:

- Llame al (800) 955-4572
Un Especialista en Información de LLS puede ayudarlo a realizar búsquedas de ensayos clínicos según su diagnóstico y necesidades de tratamiento.
- Visite: www.LLS.org/clinicaltrials (en inglés)
Haga clic en TrialCheck® para acceder a la herramienta de búsqueda en Internet.

Defensa de los derechos del paciente. Con la ayuda de voluntarios, LLS aboga por políticas y leyes que mejoren el acceso a una atención médica de calidad y que aceleren el proceso de aprobación de nuevos tratamientos. Para obtener más información, llame al (800) 955-4572 para hablar con un Especialista en Información, o visite www.LLS.org/abogar.

A través de la iniciativa “MF Challenge”, la Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma y la Fundación para la Investigación sobre las Neoplasias Mieloproliferativas están colaborando para avanzar las terapias para pacientes con mielofibrosis. Esta alianza se formó para financiar las investigaciones innovadoras a través de subvenciones para las pruebas de concepto, con la meta de aumentar la comprensión científica que conduce a tratamientos nuevos para pacientes con mielofibrosis.

Otros recursos

CancerCare® [atención para las personas con cáncer]

www.cancer.org/espanol

(800) 813-4673 (se habla español)

CancerCare® ofrece servicios profesionales de apoyo sin costo para las personas afectadas por el cáncer. Los servicios incluyen: consejería, grupos de apoyo, talleres educativos, publicaciones y asistencia económica.

Fundación para la Educación sobre las Neoplasias Mieloproliferativas (MPN Education Foundation)

www.mpdinfo.org (en inglés)

La Fundación para la Educación sobre las Neoplasias Mieloproliferativas ofrece información, educación y apoyo relacionados con las neoplasias mieloproliferativas y también se dedica a promover la investigación y el desarrollo de medicamentos para mejorar la calidad de vida y la atención médica de los pacientes con neoplasias mieloproliferativas. Además, lleva a cabo conferencias para pacientes y médicos, y facilita la inscripción y participación de los pacientes en estudios clínicos y encuestas.

Fundación de Investigación sobre las Neoplasias Mieloproliferativas (MPN Research Foundation)

www.mpnresearchfoundation.org (en inglés)

La Fundación de Investigación sobre las Neoplasias Mieloproliferativas es una organización sin fines de lucro cuya misión principal es promover, financiar y apoyar las investigaciones más innovadoras y eficaces sobre las causas, los tratamientos y la posible cura para la trombocitemia esencial, la policitemia vera y la mielofibrosis. Además, la organización ofrece información y apoyo a las personas que tienen neoplasias mieloproliferativas. El sitio web ofrece una traducción computarizada del sitio en varios idiomas, entre ellos el español, a través de "Google Translate".

Consortio para la Investigación sobre los Trastornos Mieloproliferativos (The Myeloproliferative Disorders Research Consortium o MPD-RC)

www.mpdrc.org (en inglés)

El MPD-RC es un consorcio internacional y multiinstitucional sin fines de lucro que está financiado por el Instituto Nacional del Cáncer. Fue fundado para coordinar, facilitar y realizar estudios de investigación básica y clínica sobre las neoplasias mieloproliferativas sin presencia del cromosoma Philadelphia (Ph-MPNs, por su abreviatura en inglés).

Instituto Nacional del Cáncer (The National Cancer Institute o NCI)

www.cancer.gov/espanol

(800) 422-6237 (se habla español)

El Instituto Nacional del Cáncer, que forma parte de los Institutos Nacionales de la Salud, es un centro nacional de recursos para la información y educación sobre todos los tipos de cáncer, incluyendo las neoplasias mieloproliferativas. El NCI también ofrece un sistema de búsqueda de ensayos clínicos por Internet, el Registro PDQ® de Ensayos Clínicos sobre el Cáncer, en www.cancer.gov/clinicaltrials (en inglés). Por medio de este sistema, los pacientes pueden buscar ensayos clínicos según su diagnóstico y sus necesidades de tratamiento.

Referencias

Lichtman MA, Tefferi A., Capítulo 91. Primary myelofibrosis. Lichtman MA, Kipps TJ, Seligsohn U, et al, eds. *Williams Hematology*, 8va ed. Disponible en: AccessMedicine. Consultado el 17 de septiembre de 2015.

Mayo Clinic, Myelofibrosis. www.mayoclinic.org/diseases-conditions/myelofibrosis/basics/definition/con-20027210. Consultado el 26 de octubre de 2015.

National Cancer Institute. Chronic Myeloproliferative Disorders Treatment (PDQ®). Actualizado: 12 de agosto de 2015 Disponible en: www.cancer.gov/types/myeloproliferative/patient/chronic-treatment-pdq. Consultado el 26 de octubre de 2015.

Tefferi A. Primary myelofibrosis: 2014 update on diagnosis, risk-stratification and management. *American Journal of Hematology*. 2014;89(9):915-925.

Vannucchi AM, Kantarjian HM, Kiladjian JJ, et al. A pooled analysis of oversurvival in COMFORT-I and COMFORT-II, 2 randomized phase 3 trials of ruxolitinib for the treatment of myelofibrosis. *Haematologica*. 2015;100(9):1139-1145.

Vannucchi AM, Lasho TL, Guglielmelli P, et al. Mutations and prognosis in primary myelofibrosis. *Leukemia*. 2013;27(9):1861-1869.

Verstovsek S, Mesa RA, Gotlib J, et al. Efficacy, safety, and survival with ruxolitinib in patients with myelofibrosis: results of a median 3-year follow-up of COMFORT-I. *Haematologica*. 2015;100(4):479-488.

Esta publicación tiene como objetivo brindar información precisa y confiable con respecto al tema en cuestión. Es distribuida por la Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma (LLS, por sus siglas en inglés) como un servicio público, entendiéndose que LLS no se dedica a prestar servicios médicos ni otros servicios profesionales.