

Este estudio tiene como objetivo acelerar la aprobación de medicamentos contra la leucemia mieloide aguda (AML, por sus siglas en inglés) y hacer llegar tratamientos seguros y eficaces a los pacientes pediátricos.

¿Qué es la leucemia mieloide aguda?

La leucemia mieloide aguda (AML, por sus siglas en inglés) es un tipo de cáncer que comienza en la médula ósea, el tejido esponjoso del interior de los huesos donde se forman las células sanguíneas. Se produce por el daño al ADN (material genético) de una célula que está en fase de desarrollo en la médula ósea. Una vez que la célula de la médula ósea se transforma en una célula leucémica, se multiplica de forma descontrolada en miles de millones de células leucémicas.

Estas células, denominadas “blastos leucémicos”:

- No funcionan de manera normal
- Pueden multiplicarse y sobrevivir mejor que las células normales
- Impiden la producción de células sanguíneas normales, lo que ocasiona una reducción de la cantidad de células sanguíneas sanas (glóbulos rojos, glóbulos blancos y plaquetas)

¿Qué son los ensayos clínicos?

Cada medicamento o régimen de tratamiento nuevo pasa por una serie de estudios, denominados “ensayos clínicos”, antes de llegar a formar parte del tratamiento estándar para una enfermedad. La siguiente información lo ayudará a entender mejor lo que implican los ensayos clínicos, cómo se realizan y cómo pueden ser de beneficio para usted.

- Los ensayos clínicos son concebidos cuidadosamente y revisados a fondo por médicos e investigadores expertos con el fin de hacerlos tan seguros y científicamente precisos como sea posible.
- Los médicos, así como otros miembros del equipo de profesionales médicos, observan atentamente a los pacientes que participan en los ensayos clínicos para garantizar su seguridad.
- Un ensayo clínico puede modificarse o interrumpirse en cualquier momento si surge un problema. Los pacientes que participan en un ensayo clínico también tienen la opción de retirarse del mismo en cualquier momento.
- La participación en un ensayo clínico que se realiza con cuidado tal vez ofrezca al paciente acceso a otras opciones terapéuticas.
- La participación de pacientes en ensayos clínicos previos ha permitido el desarrollo de los tratamientos con los que contamos hoy en día.

La Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma (LLS, por sus siglas en inglés) está dirigiendo el Ensayo Maestro para Pacientes Pediátricos con Leucemia Mieloide Aguda (PedAL, en

inglés) a fin de mejorar el tratamiento del cáncer en los niños. Este ensayo clínico se realiza en muchos centros y estará en curso durante muchos años. Es una colaboración que incluye:

- Instituciones académicas de investigación
- Empresas farmacéuticas
- Servicios de análisis genéticos y de biomarcadores
- Funcionarios reguladores
- Grupos cooperativos de ensayos clínicos
- Una organización de investigación clínica para asistir a LLS en la coordinación del estudio

La meta de LLS, por medio del ensayo PedAL, es evaluar más de un tratamiento nuevo para la leucemia mieloide aguda en el mismo ensayo clínico. El objetivo es ayudar a acelerar el tiempo que toma hacer llegar nuevos tratamientos aprobados a más pacientes con diagnóstico de leucemia mieloide aguda.

Su hijo se ha inscrito en este estudio, ¿y ahora qué?

1. Puede que ya haya dado su consentimiento para que a su hijo le realicen una prueba de detección citogenética y un análisis genómico (vea el reverso).
2. Su hijo se someterá a una biopsia de médula ósea.
3. La muestra de médula ósea se enviará al laboratorio en seguida para el análisis genómico.
4. La prueba de detección citogenética puede tomar alrededor de tres días. El análisis genómico tomará más tiempo.
5. Mientras que ustedes esperan los resultados, es posible que su hijo tenga que permanecer en el hospital.
6. Una vez que se reciban los resultados sobre los aspectos biológicos particulares de la enfermedad de su hijo, los médicos hablarán con usted y su hijo (si tiene la edad suficiente) acerca de los tratamientos de los distintos subestudios que podrían ser adecuados.
7. Si los resultados de las pruebas de su hijo no se corresponden con los criterios de selección de ninguno de los subestudios, el médico le hablará sobre otras opciones de tratamiento.
8. Cada subestudio del ensayo se concentrará en un grupo distinto de la población de pacientes con leucemia mieloide aguda.
9. No obstante, independientemente del tratamiento que recibe, se realizarán muchas pruebas, evaluaciones y citas médicas.

¿Qué es la prueba de detección o análisis citogenético?

En esta prueba se utiliza un microscopio a fin de examinar los cromosomas que se encuentran dentro de las células. Los cromosomas son la parte de la célula que contiene la información genética. Las células humanas normales contienen 46 cromosomas (22 pares de cromosomas autosómicos más los dos cromosomas sexuales, que son distintos en varones y mujeres). Los cromosomas tienen un determinado tamaño, forma y estructura. En algunos casos de leucemia mieloide aguda se observan cambios anormales en los cromosomas de las células leucémicas. Los resultados de esta prueba ayudan al médico a planificar el tratamiento de su hijo.

¿Qué es el análisis genómico?

El análisis genómico es el proceso por el cual se analizan las células o tejidos en busca de cambios en genes que puedan ser un signo de una enfermedad, tal como el cáncer. Este tipo de prueba puede realizarse con una muestra de tejido tumoral a fin de diagnosticar un cáncer, planificar el tratamiento o averiguar la medida en que el tratamiento surte efecto.

¿Cuánto tiempo dura el estudio?

Este ensayo clínico podría durar muchos años.

1. Se enviará la muestra de médula ósea de su hijo al laboratorio para una serie de pruebas médicas, entre ellas, los análisis citogenético y genómico. Usted, su hijo (si tiene la edad suficiente) y el médico recibirán los resultados.
2. Empezará el tratamiento, que variará en función del subestudio al que su hijo sea asignado. Cada subestudio cuenta con un “protocolo” o plan de tratamiento distinto, que consiste en distintos medicamentos, así como dosis y duraciones de tratamiento.
3. Una vez terminado el tratamiento, habrá un período de seguimiento.

¿Cuál es la diferencia entre el Ensayo maestro PedAL y los demás ensayos clínicos pediátricos?

Este ensayo clínico tiene el objetivo de acelerar el proceso de búsqueda de más y mejores tratamientos para la leucemia mieloide aguda. En un ensayo clínico típico se evalúa un solo medicamento, o una combinación de medicamentos, y se comparan los desenlaces clínicos del tratamiento en investigación con los del tratamiento estándar. El ensayo PedAL está concebido con varias opciones de tratamiento, de manera

que los investigadores puedan evaluar más de un medicamento a la vez y determinar su eficacia en el tratamiento de la leucemia mieloide aguda.

Las inscripciones a este ensayo clínico solo están abiertas a pacientes pediátricos que han presentado una recaída del cáncer (reaparición de la enfermedad tras el tratamiento). La mayoría de los ensayos clínicos del tratamiento de la leucemia mieloide aguda son para pacientes con diagnóstico reciente.

El Ensayo maestro PedAL puede servir como un estudio modelo para los futuros ensayos clínicos pediátricos del tratamiento del cáncer.

¿Hay recursos que los padres, tutores y pacientes pueden consultar para obtener más información?

Toda persona que desee obtener más información sobre la leucemia mieloide aguda, este ensayo clínico, recursos pediátricos, información para cuidadores o cualquier otro tema puede hablar con el médico y el equipo de profesionales médicos. También puede llamar, enviar un correo electrónico o iniciar una sesión de chat con un Especialista en Información de LLS (vea a continuación).

¿Cómo puede ayudar un Especialista en Información?

Los Especialistas en Información de LLS son enfermeros, educadores en salud y trabajadores sociales altamente capacitados y especializados en oncología. Están disponibles para hablar con usted en forma individual para aconsejarlo y ayudarlo, a usted y a su familia, con los desafíos del tratamiento y los aspectos económicos y sociales correspondientes. Además, brindan información precisa y actualizada sobre las enfermedades de la sangre, las opciones de tratamiento y los recursos de apoyo. (Contamos con personal que habla español, así como servicios de interpretación).

- Llame al: (800) 955-4572
- Correo electrónico y sesiones de chat en vivo: www.LLS.org/especialistas

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. El personal de LLS revisa cuidadosamente el contenido para comprobar su exactitud y confirma que todas las opciones diagnósticas y terapéuticas se presentan de una manera razonable y balanceada, sin tendencia particular a favor de cualquier opción.

Especialistas en Información: **800.955.4572**

La misión de la Sociedad de Lucha contra la Leucemia y el Linfoma (LLS, por sus siglas en inglés) es curar la leucemia, el linfoma, la enfermedad de Hodgkin y el mieloma, y mejorar la calidad de vida de los pacientes y sus familias. Para obtener más información, visite www.LLS.org/espanol.