

INTRODUCCIÓN AL TRATAMIENTO

# AMILOIDOSIS DE CADENAS LIGERAS (AMILOIDOSIS AL)



*Alison padece  
amiloidosis AL.*



Amyloidosis  
Research  
Consortium

ARCI.ORG

# EL CONOCIMIENTO ES PODER

## ACERCA DEL CONSORCIO DE INVESTIGACIÓN SOBRE AMILOIDOSIS

El Consorcio de Investigación sobre Amiloidosis (ARC, por sus siglas en inglés) es una organización sin fines de lucro dedicada a impulsar avances en la concienciación, la ciencia y el tratamiento de las enfermedades amiloides. La misión del ARC es mejorar y prolongar las vidas de las personas con amiloidosis. El ARC está comprometido con las iniciativas de colaboración que aceleran el ritmo de los descubrimientos, proporcionan un mayor acceso de los pacientes a una atención más eficaz y mejoran los resultados a corto y largo plazo. El ARC trabaja con agentes del sector, la administración pública y la comunidad científica e investigadora para impulsar la innovación y llevar tratamientos prometedores de los laboratorios a las clínicas. Nuestra labor de divulgación y formación informa y faculta a pacientes, familias, cuidadores, médicos e investigadores.

---

Puede obtener más información acerca del ARC en [www.arci.org](http://www.arci.org) o puede llamar al **(617) 467-5170**.



# ÍNDICE

<b>INTRODUCCIÓN</b> .....	<b>3</b>
<b>ACERCA DE LA AMILOIDOSIS AL</b> .....	<b>4</b>
<b>OBJETIVOS DEL TRATAMIENTO</b> .....	<b>4</b>
<i>¿Cómo se deciden los planes de tratamiento?</i> .....	5
<i>¿Quién estará involucrado en mi tratamiento?</i> .....	6
<b>TRATAMIENTOS PARA LA AMILOIDOSIS AL</b> .....	<b>7</b>
<i>¿Cómo funcionan los antineoplásicos?</i> .....	9
<i>¿Cómo funcionan los corticoides?</i> .....	9
<i>¿Qué es un autotrasplante de progenitores hematopoyéticos (ATPH)?</i> .....	9
<b>¿QUÉ OCURRE DURANTE UN TRASPLANTE DE CÉLULAS MADRE?</b> .....	<b>11</b>
<b>EFFECTOS SECUNDARIOS DEL TRATAMIENTO</b> .....	<b>11</b>
<i>¿Cuáles son los efectos secundarios habituales de la quimioterapia?</i> .....	12
<i>¿Durante cuánto tiempo necesitaré quimioterapia?</i> .....	13
<b>TRATAMIENTO DE APOYO</b> .....	<b>13</b>
<b>¿CÓMO SABRÉ SI ESTOY MEJOR?</b> .....	<b>14</b>
<b>¿CÓMO SE EVALÚA LA RESPUESTA AL TRATAMIENTO?</b> .....	<b>14</b>
<i>Respuesta hematológica</i> .....	14
<i>Respuesta de los órganos</i> .....	16
<b>RECAÍDA/ENFERMEDAD RESISTENTE Y SUS OPCIONES</b> .....	<b>17</b>

**¿EXISTEN OTROS TIPOS DE TRATAMIENTOS?..... 17**

**ENSAYOS CLÍNICOS..... 18**

**INDICACIONES POSTERIORES ..... 19**

**PREGUNTAS PARA SU EQUIPO MÉDICO..... 20**

**GLOSARIO ..... 22**

El ARC agradece a Lisa Mendelson, graduada en enfermería, maestría en ciencias de enfermería, enfermera especialista titulada, profesora adjunta de Medicina en la Facultad de Medicina de la Universidad de Boston, por su aportación a la elaboración de este folleto.

ARC agradece el apoyo para la traducción de este folleto proporcionado por: Alexion, AstraZeneca Rare Disease, y Prothena Biosciences.



# INTRODUCCIÓN

La amiloidosis AL es una enfermedad grave que puede ser progresiva y mortal si no se trata. Sin embargo, muchos pacientes se benefician de los tratamientos actuales, lo que mejora y prolonga su vida, a menudo durante varios años.

El tratamiento óptimo de la enfermedad requiere un diagnóstico precoz, una identificación precisa del tipo de amiloidosis y un tratamiento eficaz. Los tratamientos de apoyo y el seguimiento exhaustivo también son imprescindibles.

Es fundamental que aprenda todo lo que pueda sobre la enfermedad, su tratamiento y cómo le podría afectar. Un/a paciente bien informado/a puede colaborar de manera activa con su equipo de atención de salud a la hora de tomar decisiones sobre el tratamiento, gestionar su atención y resolver sus necesidades.

**El objetivo de este folleto es convertirse en un recurso completo y una guía para tomar decisiones fundamentadas sobre el tratamiento.**

# ACERCA DE LA AMILOIDOSIS AL

La amiloidosis de cadenas ligeras (amiloidosis AL) es una enfermedad minoritaria sistémica que se debe a los glóbulos sanguíneos anormales que se generan en la médula ósea. Suele afectar a personas de entre 50 y 80 años, pero también se ha diagnosticado en pacientes con solo 20 años. La amiloidosis AL perjudica tanto a hombres como mujeres, aunque hay cierto predominio en los varones. En la amiloidosis AL, las células plasmáticas anormales causan cadenas ligeras anormales; estas proteínas se pliegan incorrectamente hasta formar fibras amiloides (fibrillas). Estas producen daños, ya que se aglutinan y acumulan en los órganos, nervios y tejidos. Las características de la acumulación de amiloides difieren en cada paciente y eso suele afectar a más de un órgano. Un diagnóstico y tratamiento tempranos son imprescindibles para evitar o disminuir la evolución de la enfermedad.

**En la amiloidosis AL, las células plasmáticas anormales fabrican proteínas anormales de cadena ligera que se pliegan incorrectamente hasta formar fibrillas de amiloide y se acumulan en los tejidos y los órganos.**

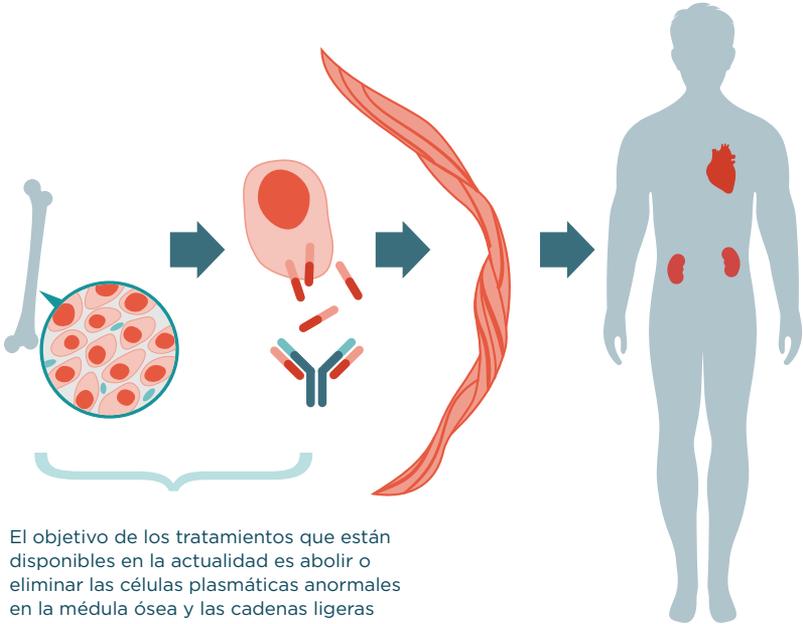
## OBJETIVOS DEL TRATAMIENTO

El objetivo de los tratamientos que están disponibles en la actualidad es abolir o eliminar las células plasmáticas anormales en la médula ósea y las cadenas ligeras libres (CLL) que generan. El tratamiento de apoyo se utiliza para tratar los síntomas y las complicaciones relacionadas con la amiloidosis AL, además de para reducir al mínimo los efectos secundarios de un tratamiento.

Cuando se disminuye o frena la producción de cadenas ligeras libres, disminuye o se detiene la acumulación de amiloides; además de que se estabiliza y mejora la función de los órganos.

Si el tratamiento deja de funcionar o se produce una recaída, se pueden utilizar diversos tratamientos para abordar la enfermedad. Existen numerosas opciones de tratamiento para cada paciente, incluyendo a aquellos con una enfermedad avanzada en el momento del diagnóstico.

### OBJETIVO DEL TRATAMIENTO



### ¿CÓMO SE DECIDEN LOS PLANES DE TRATAMIENTO?

La amiloidosis AL afecta a cada paciente de una manera distinta y exige un tratamiento adaptado a cada paciente. Las decisiones médicas se toman a partir del estado de cada paciente y las ventajas y desventajas de cada estrategia de tratamiento. Los factores que se tienen en cuenta son la preferencia del/de la paciente, la edad, la evolución de la enfermedad y, a qué órganos ha afectado, las enfermedades concomitantes y la salud general.

## ¿QUIÉN ESTARÁ INVOLUCRADO EN MI TRATAMIENTO?

La amiloidosis AL es una enfermedad compleja que se trata mejor a través de un equipo interdisciplinario que incluye a hematólogos, cardiólogos, nefrólogos, neurólogos y gastroenterólogos. Su hematólogo/a será quien suele encabezar el equipo, pero la colaboración entre los especialistas es imprescindible para optimizar la atención.

### ¿QUÉ HACEN ESTOS ESPECIALISTAS?

**Cardiólogo/a:** Un/a médico/a especialista en el corazón.

**Gastroenterólogo/a:** Un/a médico/a especialista en el tracto gastrointestinal.

**Hematólogo/a:** Un/a médico/a especialista en las enfermedades de la sangre.

**Nefrólogo/a:** Un/a médico/a especialista en los riñones.

**Neurólogo/a:** Un/a médico/a especialista en el sistema nervioso.

# TRATAMIENTOS PARA LA AMILOIDOSIS AL

Las células plasmáticas anormales provocan amiloidosis AL y mieloma múltiple. Por otro lado, los tratamientos para la amiloidosis AL se han adaptado de aquellos que se utilizan para el mieloma múltiple. Estos incluyen a los antineoplásicos (también llamados fármacos anticancerosos) y el autotrasplante de progenitores hematopoyéticos (ATPH).

Su hematólogo/a le creará un plan de tratamiento. La mayoría de los pacientes toman uno o dos antineoplásicos además de un tratamiento corticoideo. Los fármacos funcionan en conjunto para acabar con las células plasmáticas que crean proteínas de cadena ligera que producen amiloide.

A la hora de tomar decisiones de tratamiento, los médicos trabajarán en compensar la necesidad de una respuesta rápida que detenga el daño a los órganos, mientras reduce al mínimo la enfermedad debido a los efectos secundarios.

Los antineoplásicos se administran en ciclos; una dosis o varios días o semanas de tratamiento, seguida de varios días o semanas sin administrarlo. Los intervalos entre las dosis permiten que las células sanas se recuperen antes del siguiente ciclo.

Muchos pacientes responden bien después de tan solo unos ciclos. Los análisis de laboratorio a veces muestran una mejora hematológica incluso antes. La respuesta al tratamiento se evalúa después de tres ciclos y se adapta según sea necesario.

## ANTINEOPLÁSTICOS

### **Antineoplásicos:**

- Melfalán (Alkeran®)
- Ciclofosfamida (Cytoxan®)
- Bortezomib (Velcade®)
- Lenalidomida (Revlimid®)

### **Fármacos inmunomoduladores:**

- Talidomida (Thalomid®)
- Pomalidomida (Pomalyst®)

### **Fármacos selectivos:**

- Ixazomib (Ninlaro®)

### **Fármacos con anticuerpos monoclonales:**

- Isatuximab (Sarclisa®)
- Daratumumab (Darzalex®)

## TRATAMIENTO CORTICOIDEO

- Dexametasona
- Prednisona

## TRATAMIENTOS

Existen muchas combinaciones de antineoplásicos y tratamientos corticoideos que se pueden utilizar para tratar la amiloidosis AL y no existe un tratamiento que funcione para todos los pacientes. Su médico/a le recomendará el mejor tratamiento para usted en función de varios factores.

## ¿CÓMO FUNCIONAN LOS ANTINEOPLÁSTICOS?

Los antineoplásicos actúan dañando o aniquilando las células

plasmáticas anormales. Al detener su división y reproducción, evitan la producción de amiloide. Algunos fármacos se toman por vía oral (comprimidos), mientras que otros se administran por vía intravenosa (en vena).

Los fármacos atacan a todas las células del organismo que se dividen rápidamente. Esto incluye a las células plasmáticas anormales, pero también podría incluir a otras, como los folículos pilosos y las células que tapizan la boca y el estómago. Debido a ello, aparecen efectos secundarios durante el tratamiento.

## ¿CÓMO FUNCIONAN LOS CORTICOIDES?

Los corticoides son sustancias hormonales que se generan de forma natural en el organismo. Aquellos que se utilizan para tratar la amiloidosis AL reprimen la inflamación y la función inmunitaria. Se denominan glucocorticoides. Cuando se utilizan junto con la quimioterapia, potencian la respuesta al tratamiento frente a lo que se obtiene cuando solo se utiliza la quimioterapia.

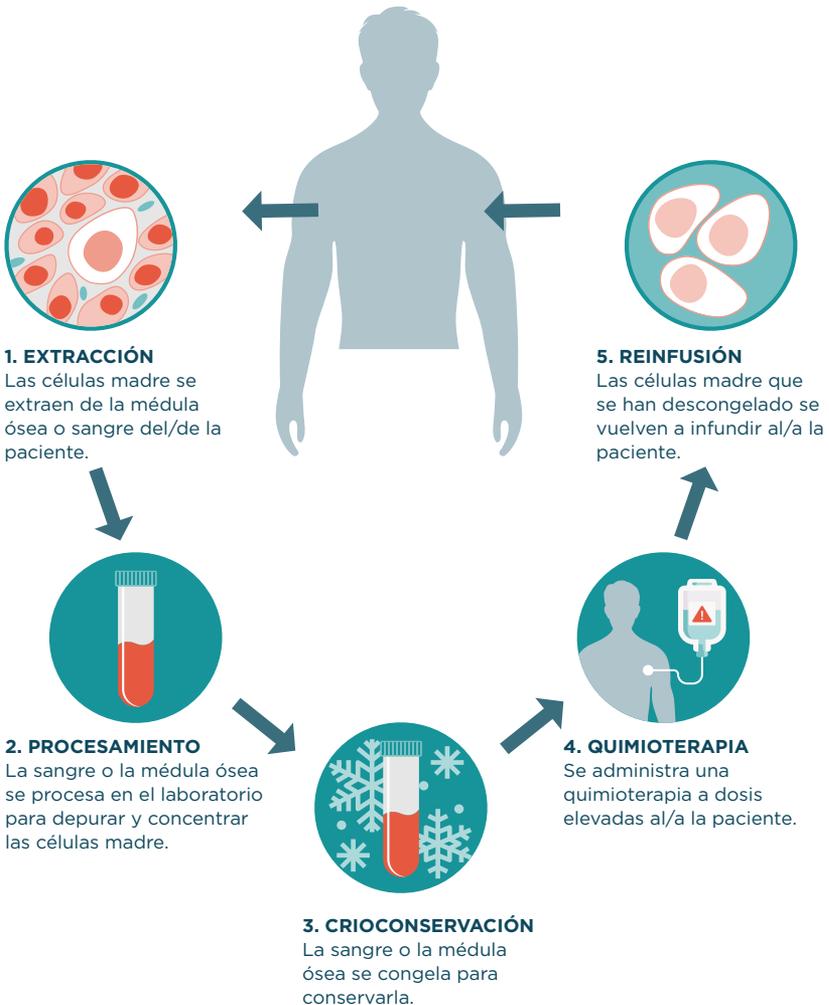
## ¿QUÉ ES UN AUTOTRASPLANTE DE PROGENITORES HEMATOPOYÉTICOS (ATPH)?

El ATPH es un tratamiento intensivo que extrae las células madre del/de la paciente, las congela para almacenarlas y las devuelve tras una quimioterapia a dosis elevadas. La quimioterapia, un tipo de antineoplásico, se utiliza para eliminar, destruir, disminuir o inhibir el crecimiento de las células anormales.

La quimioterapia a dosis elevadas aniquila las células madre hematopoyéticas que se generan en la médula ósea. Tras la quimioterapia a dosis elevadas, las células madre del/de la paciente se vuelven a infundir para «rescatar» la médula ósea y para ayudar a que se generen células nuevas. Para evitar el riesgo de que se produzcan complicaciones mortales, solo los pacientes con un riesgo bajo pueden someterse a un ATPH o un 20 % de los pacientes con amiloidosis AL. Los pacientes se seleccionan en función de la edad, la implicación de los órganos y las enfermedades concomitantes. La idoneidad se establece en cada caso.

Puede preguntarle a su centro de tratamiento acerca de cuántos pacientes con amiloidosis AL (no mieloma) han recibido un trasplante de células madre por parte de su equipo de atención sanitaria.

## AUTOTRASPLANTE DE PROGENITORES HEMATOPOYÉTICOS (ATPH)



# ¿QUÉ OCURRE DURANTE UN TRASPLANTE DE CÉLULAS MADRE?

## EXTRACCIÓN

Las células madre se extraen (u obtienen) antes de una sesión de quimioterapia a dosis elevadas. Esto se lleva a cabo mediante la aféresis, un procedimiento mediante el cual se extrae sangre con una máquina que separa y extrae las células madre, mientras devuelve los hemoderivados restantes al torrente circulatorio del/ de la paciente.

## TRASPLANTE

Las células madre que se han extraído, se congelan y almacenan. Tras la quimioterapia a dosis elevadas, se devuelven las células madre al/a la paciente como en una transfusión de sangre.

## RECUPERACIÓN

La recuperación de la médula ósea (también denominada incorporación del injerto) tarda unas dos semanas. Para evitar posibles infecciones, puede recibir transfusiones de sangre o plaquetas, además de antibióticos.

El proceso de recuperación dura varios meses. En función de dónde se lleve a cabo la intervención, es posible que haya que hospitalizar al/a la paciente hasta que el hemograma vuelva a sus valores normales. Esto se hace para evitar posibles infecciones.

## EFFECTOS SECUNDARIOS DEL TRATAMIENTO

Los fármacos que se utilizan para tratar la amiloidosis AL pueden producir varios efectos secundarios de diversa intensidad. En la mayoría de los casos, sus médicos y personal de enfermería le pueden recomendar medidas sencillas o medicamentos para tratarlos. En algunas ocasiones, los planes de tratamiento se modifican para reducir los efectos secundarios.

Muchos de los efectos del tratamiento dependen de la dosis y mejoran cuando se disminuye la dosis o cuando se deja de tomar el medicamento. Si se debe retirar el medicamento, suele estar disponible otro.

Si presenta algún efecto secundario, es fundamental que informe a su equipo de atención de salud; se debe hacer un seguimiento riguroso de algunos síntomas. Informe a sus médicos acerca de los medicamentos que toma, mencionando también los suplementos y tratamientos homeopáticos, ya que las interacciones con los antineoplásicos pueden tener consecuencias imprevistas.

**La mayoría de los pacientes presentan efectos secundarios. Por lo general, existen medidas sencillas o medicamentos para tratarlos.**

## **EFFECTOS SECUNDARIOS FRECUENTES DEL TRATAMIENTO**

Algunos de los efectos secundarios frecuentes de los antineoplásicos son náuseas, vómitos, diarrea, infecciones, aftas bucales, caída del cabello y cansancio. Estos medicamentos también pueden provocar infertilidad. Si esto le preocupa, hable con su médico/a antes de empezar a tomar un tratamiento y consulte las opciones que existen para abordar este problema. En función de los medicamentos que esté tomando, pueden aparecer otros efectos secundarios, como una neuropatía periférica o coágulos sanguíneos.

Los corticoides pueden provocar dolor abdominal, hiperglucemia, mayor riesgo de infección, aumento del apetito, inestabilidad emocional, insomnio y debilidad muscular. Los pacientes que padecen amiloidosis AL suelen presentar hinchazón (edema) en las piernas y los pies. En estos casos, se hace un seguimiento riguroso y se trata con diuréticos (medicamentos que eliminan el exceso de líquido).

**La mayoría de los efectos secundarios duran poco tiempo. Se pueden tratar con tratamientos de apoyo y desaparecen poco a poco tras finalizar el tratamiento. El tiempo que debe pasar para que esto ocurra depende de cada paciente.**

## **¿DURANTE CUÁNTO TIEMPO NECESITARÉ ANTINEOPLÁSICOS?**

Los tratamientos que incluyen antineoplásicos, se administran en un ciclo de varias semanas. Muchos pacientes logran una buena respuesta después de solo algunos ciclos con antineoplásicos. En algunos casos, los análisis de laboratorio muestran una mejora incluso antes. Ciertos tratamientos se pueden suministrar durante meses o años, en función del fármaco y de cómo responde su organismo.

Es fundamental que mantenga todas las citas de seguimiento para que su equipo de atención de salud pueda hacer un seguimiento de los resultados del tratamiento y adaptarlo si es necesario. La determinación temprana de la respuesta es imprescindible y podría afectar en gran medida a su evolución y respuesta general.

## **TRATAMIENTO DE APOYO**

El tratamiento de apoyo se proporciona para tratar las complicaciones relacionadas con la amiloidosis AL, además de los efectos secundarios del tratamiento. Estos tratamientos incluyen medicamentos antieméticos para evitar las náuseas y los vómitos, diuréticos, antiácidos en forma de comprimidos para proteger el estómago, antivirales en forma de comprimidos para evitar el zóster, evaluaciones nutricionales y antibióticos.

En pacientes en donde el corazón y el riñón están afectados, los diuréticos son primordiales en el tratamiento. Restricción de sal y un manejo adecuado de los líquidos son importantes para mantener la función de los órganos y la calidad de vida.

## ¿CÓMO SABRÉ SI ESTOY MEJOR?

Tanto para usted como para sus seres queridos, la principal señal de que el tratamiento funciona es cuando empieza a sentirse mejor. Los efectos secundarios de la quimioterapia podrían retrasar el alivio, pero a medida que mejora la función de los órganos, es probable que también mejoren los síntomas y los efectos secundarios.

Los tratamientos actuales son más eficaces y menos tóxicos que los que se utilizaban para tratar la amiloidosis AL hace unos años. Los tratamientos nuevos y un mejor control de las complicaciones pueden mejorar la calidad de vida y prolongarla durante muchos años después del diagnóstico.

## ¿CÓMO SE EVALÚA LA RESPUESTA AL TRATAMIENTO?

La respuesta al tratamiento se evalúa de dos maneras: el efecto que tiene en la sangre (respuesta hematológica) y en la función de los órganos. Hay que tener en cuenta que la función de los órganos podría tardar entre 6 y 12 meses en mejorar DESPUÉS de la respuesta hematológica, por lo que no pierda la esperanza si no empieza a sentirse mejor inmediatamente.

### RESPUESTA HEMATOLÓGICA

Existen tres pruebas que indican la respuesta hematológica:

1. Concentración de cadenas ligeras libres en suero: todas las personas tienen cadenas ligeras en la sangre llamadas kappa y lambda. Esta prueba determina la proporción de las dos cadenas ligeras para comprobar si hay una que «domina» y está produciendo fibrillas de amiloide. Cuando la proporción es normal, significa que es buena señal. Esta prueba no diferencia las cadenas ligeras normales de las cadenas ligeras anormales.
2. Prueba de electroforesis e inmunofijación en suero: esta prueba se centra en buscar las cadenas ligeras anormales o los clones (tanto kappa como lambda) en la sangre.

- Prueba de electroforesis e inmunofijación en orina: esta prueba busca las cadenas ligeras malas o los clones en la orina.

**Las cadenas ligeras libres en suero son proteínas precursoras de amiloide. Circulan por el torrente circulatorio hasta que se depositan en los órganos en forma de fibrillas de amiloide.**

### NIVELES DE RESPUESTA HEMATOLÓGICA

Remisión completa (RC)	Muy buena remisión parcial (MBRP)	Remisión parcial (RP)
Cociente de CLL normal ( $\kappa$ : $\lambda$ ) y prueba de inmunofijación en orina y en suero negativa	Diferencia entre cadenas ligeras libres implicadas y no implicadas (dFLC, por sus siglas en inglés) menor a 40 mg/l	Reducción del 50% en la dFLC desde los valores iniciales

*Las pruebas frecuentes de CLL se utilizan para hacer un seguimiento de la respuesta a la quimioterapia. La prueba más útil es la de la dFLC (diferencia entre cadenas ligeras libres implicadas y no implicadas). La dFLC se calcula al restar la concentración del tipo normal (no implicado) de cadenas ligeras de la concentración del tipo anormal (implicado) de cadenas ligeras.*

**El objetivo de la quimioterapia es lograr una remisión completa (RC) o una muy buena remisión parcial (MBRP). Si ha logrado una remisión parcial (RP), es posible que sus médicos se planteen cambiar su tratamiento.**

## CRITERIOS DE LA RESPUESTA DE LOS ÓRGANOS

La NT-proBNP, el BNP y las troponinas son biomarcadores de la función cardíaca que se liberan a modo de respuesta a los cambios de la presión en el corazón. Si estos valores disminuyen, es buena señal.

El cambio de la función renal se determina mediante los niveles de proteínas sobrantes en la orina (proteinuria). Si este valor disminuye, es señal de que está respondiendo bien. La función renal también se determina mediante un análisis de sangre llamado creatinina. Si este nivel es elevado antes del tratamiento, será una buena señal que disminuya. Si es normal, entonces también será buena señal que no haya ningún cambio.

La fosfatasa alcalina es una enzima que tiene un papel esencial en la función del hígado. Si este valor disminuye y un ultrasonido o exploración clínica demuestra que el tamaño del hígado ha disminuido, entonces eso es una buena señal que se utiliza para analizar la respuesta al tratamiento.

CRITERIOS DE LA RESPUESTA DE LOS ÓRGANOS	
<b>NT-proBNP</b>	Al menos una reducción del 30 % desde un valor inicial.
<b>Proteinuria</b>	Una reducción de al menos un 50 %, sin un aumento en la creatinina sérica del 25 % respecto a los valores iniciales.
<b>Fosfatasa alcalina</b>	Una reducción del 50 % respecto a los valores anormales.
<b>Ultrasonido abdominal (hígado)</b>	Una reducción de al menos 2 cm

# RECAÍDA/ENFERMEDAD RESISTENTE Y SUS OPCIONES

Si su amiloidosis AL ha dejado de responder al tratamiento inicial, se considera que la enfermedad es resistente. Si reaparece tras un periodo de remisión, se denomina recaída.

Sabemos que descubrir que su enfermedad es resistente o que ha sufrido una recaída puede ser estresante y decepcionante. Por ello, puede resultar útil hablar con su médico/a, familia u otros pacientes sobre cómo se siente. El ARC proporciona ayuda y recursos para ayudarle en estos momentos y durante el tratamiento.

Existen opciones de tratamiento en caso de que sufra una recaída o que su enfermedad sea resistente. Se pueden volver a administrar tratamientos previos si respondió a ellos de manera adecuada o se puede recetar un tratamiento distinto. La situación de cada paciente es diferente y, por lo tanto, los médicos la evalúan por separado.

**Existen opciones de tratamiento en caso de recaída o ausencia de respuesta al tratamiento. La situación de cada paciente es distinta y, por lo tanto, se evalúa por separado.**

## ¿EXISTEN OTROS TIPOS DE TRATAMIENTOS?

Es posible que algunos pacientes con amiloidosis AL sean aptos para recibir un trasplante cardíaco o renal si presentan una remisión completa (RC) o una muy buena remisión parcial (MBRP). Los pacientes más probables son los de menos de 60 años, en el caso de trasplante cardíaco, y los de menos de 70 años, en el caso de trasplante renal. Se considera que muchos pacientes son de riesgo demasiado elevado dependiendo de la edad, una enfermedad terminal o mala salud.

# ENSAYOS CLÍNICOS

Los ensayos clínicos son estudios de investigación que tienen como objetivo demostrar la eficacia y seguridad de los tratamientos nuevos. Los fármacos o tratamientos que se autorizan en la actualidad para cada enfermedad están disponibles gracias a los ensayos clínicos y la participación de los pacientes en dichos ensayos.

Los ensayos comprueban si los fármacos nuevos o las combinaciones nuevas de los tratamientos actuales son mejores que el actual tratamiento habitual. Los pacientes que participan en los ensayos clínicos podrían ser los primeros en sacar provecho de los avances en la atención de salud, pero también pueden presentarse efectos secundarios inesperados o riesgos. Es fundamental que hable con su equipo de atención de salud acerca de lo que implica un ensayo clínico para que pueda tomar una decisión fundamentada respecto a su participación.

## **Algunas de las ventajas de participar en un ensayo clínico son:**

- Beneficiarse de los últimos adelantos en cuanto a investigación y tratamientos nuevos.
- Realización de pruebas y de un seguimiento con más frecuencia por parte de especialistas en enfermedades.
- Ayudar a los investigadores a obtener más información y a mejorar los tratamientos para el futuro.

## **Algunos de los posibles riesgos asociados a la participación en ensayos clínicos son:**

- Efectos secundarios inesperados.
- El tratamiento nuevo no funciona cómo se esperaba.
- Es posible que forme parte de un grupo de referencia al que se le administra el tratamiento habitual y no el tratamiento nuevo.

**El objetivo del ARC es ayudarle a encontrar ensayos clínicos y centros de tratamiento dotados de personal especializado en la atención a pacientes con amiloidosis AL.**

# INDICACIONES POSTERIORES

Los tratamientos para la amiloidosis AL han mejorado notablemente a lo largo del tiempo y continúan haciéndolo, gracias a los ensayos clínicos que se están llevando a cabo en torno a estrategias terapéuticas, medicamentos novedosos e inmunoterapias.

Aunque la identificación temprana y un tratamiento intensivo son la única forma de lograr una remisión completa y una respuesta de los órganos, el pronóstico para los pacientes con amiloidosis AL ha mejorado mucho en muy poco tiempo. Los próximos meses y años son muy prometedores para prolongar y mejorar la vida de todos los pacientes que padecen amiloidosis AL.

# PREGUNTAS PARA SU EQUIPO MÉDICO

Antes de recibir tratamiento para la amiloidosis AL, deberá asegurarse de que se responda a todas sus preguntas, dudas y necesidades. A continuación, le mostramos algunas de las preguntas que podría hacerle a su equipo de atención de salud.

- ¿Qué opciones de tratamiento tengo? ¿Qué ventajas y riesgos conllevan?
- ¿Cómo afectará el tratamiento a mi rutina habitual? ¿Cómo me sentiré antes, durante y después del tratamiento?
- ¿Ha sido eficaz este tratamiento en otros pacientes?
- ¿Qué valores analíticos y resultados de pruebas son imprescindibles para hacer un seguimiento de la respuesta y de los efectos secundarios?
- ¿Existe algún ensayo clínico más adecuado para tratar mi enfermedad?
- ¿Qué recursos están a mi alcance y al de mi familia?
- ¿Cómo debo prepararme para el tratamiento?
- ¿Quién supervisará mi tratamiento y cuál es la mejor manera de ponerse en contacto en caso de pregunta o urgencia?

## DESPUÉS DEL TRATAMIENTO

- ¿Con qué frecuencia son necesarios los análisis de sangre y otros tratamientos de seguimiento?
- ¿Tendré que tomar otros medicamentos o tratamientos?
- ¿Cómo sabré si ha reaparecido la amiloidosis AL?

Siempre se están creando ensayos nuevos para ayudar a ampliar las opciones de tratamiento y mejorar la calidad de vida. Regístrese en MAP (My Amyloidosis Pathfinder) para recibir notificaciones cuando se publiquen ensayos clínicos y centros de tratamiento nuevos.



Selección de  
centros de tratamiento



Buscador de ensayos  
clínicos

**[www.myamyloidosispathfinder.org](http://www.myamyloidosispathfinder.org)**

# GLOSARIO

**Aféresis.** Método que extrae sangre con una máquina que separa y extrae las células madre y devuelve los hemoderivados restantes al/a la donante o paciente.

**Amiloidosis AL.** Tipo progresivo de amiloidosis sistémica debida a las células plasmáticas anormales que crean proteínas de cadena ligera; estas se pliegan incorrectamente hasta crear amiloide y circulan por la sangre, formando acumulaciones en varios órganos y tejidos.

**Análisis de cadenas ligeras libres en suero.** Análisis de sangre que sirve para determinar la cantidad de cadenas ligeras libres en sangre.

**Anticuerpos.** Proteínas en la sangre que producen los glóbulos blancos especializados (células plasmáticas) y que combaten las infecciones y enfermedades; también se denominan inmunoglobulina.

**Autotrasplante de progenitores hematopoyéticos (ATPH).** Método en el que se extraen las células madre del/de la paciente, se almacenan y luego se devuelven tras una quimioterapia a dosis elevadas.

**Cadena ligera libre (CLL).** Parte de una inmunoglobulina (anticuerpo) que circula libremente por el torrente circulatorio.

**Calidad de vida.** Término que se refiere al nivel de bienestar y satisfacción de una persona, además de a la capacidad de llevar a cabo actividades cotidianas. Determina el bienestar general.

**Cansancio.** Sensación de estar muy cansado/a, agotado/a o somnoliento/a todo o casi todo el tiempo.

**Células madre.** Células a partir de las que se forman los glóbulos sanguíneos; se suelen encontrar en la médula ósea.

**Células plasmáticas.** Glóbulos blancos especializados que producen inmunoglobulinas (anticuerpos) para combatir las infecciones; en la amiloidosis AL, estas células fabrican fragmentos tóxicos de cadenas ligeras que se pliegan incorrectamente hasta formar amiloide circulante.

**Corticoide.** Sustancias hormonales que el organismo fabrica de manera natural; se utilizan para reducir la inflamación.

**Creatinina.** Resultado del metabolismo energético que se suele separar de la sangre por filtración y que se encuentra en la orina; los valores elevados de creatinina en sangre pueden indicar insuficiencia renal.

**Ecografía.** Prueba médica que utiliza ondas sonoras de alta frecuencia para captar imágenes en directo del interior de su cuerpo.

**Edema.** Hinchazón, sobre todo en los pies y las piernas, debido a la retención de líquidos.

**Efectos secundarios.** Cualquier acción o efecto no deseado de un medicamento o tratamiento.

**Enfermedad resistente.** Amiloidosis AL que no ha respondido al tratamiento anterior.

**Ensayo clínico.** Estudio de investigación sobre la seguridad y eficacia de tratamientos nuevos o actuales en pacientes que han firmado una hoja de consentimiento informado y conocen las posibles ventajas y riesgos. Los ensayos se llevan a cabo tras obtener resultados positivos en experimentos de laboratorio, con el objetivo de encontrar mejores maneras de evitar, descubrir, diagnosticar o tratar una enfermedad.

**Fármacos inmunomoduladores.** Fármaco que actúa sobre las células del sistema inmunitario del organismo.

**Glóbulo blanco.** Tipo principal de célula que se origina en la médula ósea y que ataca la infección y las células cancerosas; forman parte del sistema inmunitario.

**Hemograma.** Número de glóbulos rojos, glóbulos blancos y plaquetas en sangre.

**Inhibidor de la proteasoma.** Fármaco que obstaculiza el funcionamiento normal de parte de una célula llamada proteasoma, lo que provoca que las células anormales mueran, mientras que no afecta tanto a las células sanas.

**Inmunoglobulinas (Ig).** Proteína que protege al organismo ante infecciones; también se conoce como anticuerpo.

**NT-proBNP.** Porción N-terminal del pro-péptido natriurético tipo B; un biomarcador de la función cardíaca.

**Pronóstico.** Posible evolución de una enfermedad.

**Quimioterapia.** Tratamiento con medicamentos potentes para destruir las células cancerosas y pseudocancerosas. La quimioterapia se puede administrar por vía intravenosa (en vena) o por vía oral (en comprimidos).

**Recaída.** Amiloidosis AL que ha respondido al tratamiento anterior, pero que da muestras de que va a reaparecer.

**Sistema inmunitario.** Grupo complejo de células y órganos que protegen al organismo ante infecciones o enfermedades.

## PÓNGASE EN CONTACTO CON EL ARC

Consortio de investigación sobre amiloidosis (ARC)  
320 Nevada Street, Suite 210  
Newton, MA 02460

Correo electrónico: **support@arci.org**  
Teléfono: **(617) 467-5170**  
De lunes a viernes de 09:00 a 17:00 EST

Puede obtener más información en  
**ARCI.ORG**



Amyloidosis  
Research  
Consortium