What the Experts Say

SICKLE CELL DISEASE

WHY IT IS IMPORTANT?

Sickle Cell Disease (SCD), which affects the shape and other characteristics of red blood cells, is passed from both parents to their child. Symptoms typically appear in infants around 5-6 months, making it important that caregivers of young children are aware of SCD symptoms and sometimes life-threatening complications.

Children with SCD need to be monitored closely. They may have physical, intellectual, and emotional delays as a result of physical problems and frequent missed days of learning and socializing in group settings.

Treatments for SCD are improving. Parents, teachers, nurses, and doctors can work together to prevent complications and to involve children with SCD in as many typical play and education activities as possible.

There are other hemoglobin abnormalities, like Sickle Cell Trait, that can be passed from parent to child, but most of them do not cause serious health effects in the child.

Sickle cell disease is a lifelong disease that usually includes recurring or chronic pain.

WHAT YOU CAN DO

Ensure all caregivers and teachers know about the disease, including steps to prevent complications and signals that immediate medical attention is necessary.

Ask parents to share health information about their child including a copy of the child's written care and emergency plan. If parents do not have a plan, encourage them to meet with the child's doctor to develop one. Plans should include:

- Infection control guidelines such as frequent handwashing, immunizations, practicing safe food practices, daily penicillin to prevent infections, and avoiding reptiles like turtles, lizards, and snakes.
- A regular check-up schedule that includes hearing and vision checks.
- Healthy foods and any needed nutritional supplements.
- Written instructions for all medications, including how to use over-the-counter medications to man-

Copyright © 2019 University of Arkansas for Medical Sciences

age pain. If the child will need medicine while in your care, have the pharmacist provide a separate container of prescribed drugs with instructions.

Caregivers will need detailed information about the child's health status, appropriate activities, signs of worsening condition, treatment, and medications, and what to do in case of emergency.

Children with SCD need to drink more fluids than other children. They will need extra diaper changes or bathroom breaks.

Give parents information about community resources including advocacy or support groups. Services may include quality early care and education, emotional support, and early intervention services. When parents cannot send their child to center-based care, consider referral for a home visitor program such as Home Instruction for Parents of Preschool Youngsters (**HIPPY**) or **Parents as Teachers**.

Anticipate absences or time out from activities. Help the child readjust after an extended absence. Encourage other children to be kind and to help the child feel included. Provide quiet places for the child to rest. Allow extra naps if needed.

Teach children how to recognize and express their needs. Teach them to ask a grown-up for help when they are tired, hot, cold, thirsty, or in pain.

Follow infection control guidelines and monitor for signs of pain, fever, or infection. These can include irritability in a young child. A child with a temperature of 101°F or more should see a doctor immediately.

Provide extra water or other fluids recommended by the child's health care provider and monitor to ensure the child is drinking enough. Allow for extra bathroom breaks, too.

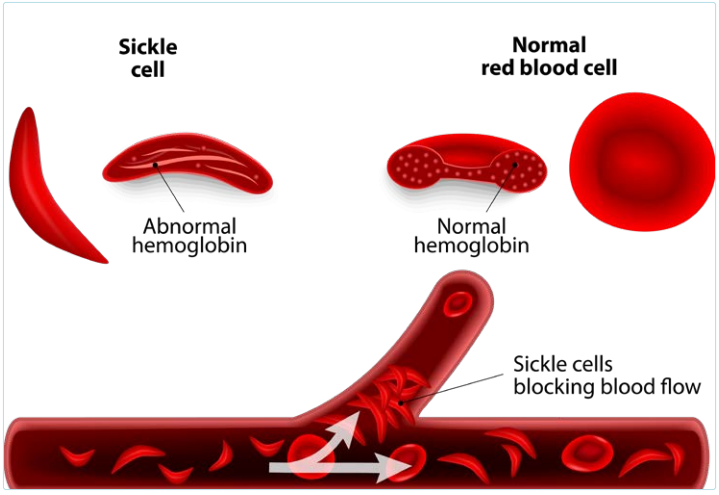
Pay attention to inside and outside temperatures. Help a child adjust clothing for hot or cold temperatures.

Encourage moderate exercise, which is usually tolerated by children with SCD. Exercise and play are important for all children's health. Children should be monitored for dehydration, overheating, or exhaustion.

Monitor children's development. Use checklists, such as the Developmental Milestones prepared by the Centers for Disease Control and Prevention. Determine whether children are gaining physical, mental, and emotional skills on time. Alert parents and ask them to consult a doctor if a child misses a milestone.

WHAT THE EXPERTS SAY

Sickle Cell Disease is caused by abnormal **hemoglobin**. Hemoglobin is a protein in red blood cells that carries oxygen to all parts of the body. Abnormal hemoglobin causes red blood cells to be shaped more like a sickle, a tool used on farms. Sickle cells break and have shorter life spans than normal red blood cells. This causes a low red blood cell count, called **anemia**. Sickle cells also become rigid and sticky. They may block blood vessels, which can lead to pain, strokes, and tissue death from lack of oxygen.



Copyright © 2019 University of Arkansas for Medical Sciences

SCD can affect people of any race, but in the United States it is most common among African-Americans. Young children with SCD are more vulnerable to infections, stress, heat, and cold. They are also at risk for language or intellectual delays and problems with attention or impulsivity. Using developmental screenings can help catch these types of problems early.

Signs, Symptoms, and Medical Complications

Each person handles the disease differently. Symptoms may be mild or severe.

Infants first show signs of SCD around 5-6 months. The most common symptoms are swelling of the hands and feet, often with fever. Infants are irritable and have pain. Pain medicine and increased fluids are common treatments for infants.

Toddlers and preschoolers most often report pain. Pain crisis is the most common reason for hospitalization of children with SCD. Children may have fever, swelling, and inflammation that can last for hours or for weeks. Reduced blood flow can damage the body's organs, muscles, and bones and lead to life-altering or life-threatening conditions.

It is best if children are monitored regularly by a doctor who is a specialist in SCD to prevent complications.

Sickle Cell Disease Complications, Symptoms, and Treatments

Complication	Symptoms	Treatment
Anemia	Fatigue, irritability, dizziness, fast heart rate, difficulty breathing, pale skin color, cold hands and feet, chest pain, yellow color to skin and whites of the eyes, and slow growth.	If severe, blood transfusion. Sickle cell anemia is not caused by too little iron. Iron supplements can cause harm.
Pain	Unpredictable pain that may be described as sharp, stabbing, or throbbing. It may be mild or severe and often comes without warning.	If caught early, over-the-counter pain relievers may help. Sometimes pain treatment requires hospitalization and strong pain medication.
Bacterial infections of the blood, lungs, or bones	Fever of 101°F or more.	Immediate doctor visit. Treatment may include antibiotics and sometimes blood transfusions.
Acute chest syndrome	Chest pain, coughing, difficulty breathing, and fever.	Hospitalization, oxygen, blood transfusion, or medicine to treat infection or to open up airways.
Sudden spleen enlargement	Sudden weakness, pale lips, fast breathing, fast heart rate, extreme thirst, and belly pain on the left side.	Blood transfusion.

Copyright © 2019 University of Arkansas for Medical Sciences

Complication	Symptoms	Treatment
Stroke and brain damage	May see paralysis and confusion or may see no symptoms. Sometimes strokes are detected because of imaging tests, learning and behavior problems, or disabilities.	Blood transfusions after a first stroke decrease risks of recurrent strokes.
Organ damage	Early symptoms are often not present. There may be pain, yellowish skin and eyes, or a penis with sustained erection.	Prevention of organ failure through routine medical monitoring is best because symptoms often do not appear until irreversible damage is done.
Bone damage	Pain—especially in hips, shoulders, hands or feet. Fever, slow growth, arthritis, bone tenderness, leg ulcers, or bone fractures.	Pain management, splinting or immobilization, antibiotics, sometimes surgery.
Eye damage	Vision deterioration or loss.	Laser treatment.
Delayed growth and nutrional deficits	Low height and weight, pain, and poor appetite.	Folic acid, vitamin B6, vitamin D.
Abnormal erection	Painful and prolonged erection of the penis.	If erection lasts more than 4 hours, urgent medical attention.

All caregivers need to be aware of these symptoms. Delays in treatment for some complications can be life-threatening.

Prevention

The Centers for Disease Control and Prevention recommends five actions to prevent infection in children with SCD:

1. **Handwashing.** Parents and caregivers should wash their hands multiple times throughout the day.
2. **Food Safety.** Make sure foods are properly refrigerated, handled, and cooked well enough to kill germs. Salmonella can be especially harmful to children with SCD.
3. **Avoid Reptiles.** Again, because of salmonella risk, children with SCD should avoid snakes, turtles and lizards.
4. **Immunizations.** Usual childhood vaccines including pneumococcus, Hib (Haemophilus Influenza Type b) and meningococcus are needed. Extra pneumococcal immunizations beyond the usual childhood schedule are recommended for preschool-aged children with SCD.
5. **Prophylactic penicillin** should be started by 3 months of age. It is given daily by mouth and usually stopped at 5 years unless there is a history of bacterial infection of the blood, removal of the spleen, or the family wishes to continue it.

Painful episodes can be prevented by avoiding triggers such as cold, dehydration, infection, excessive physical exertion, and stress. Be alert to signs of infection. Fever of 101°F or more indicates need for immediate medical evaluation.

Copyright © 2019 University of Arkansas for Medical Sciences

Medical Advances

Thanks to new, improved medical treatments, survival rates are increasing. People with SCD can live a long life.

Stem cell transplantation is the only cure for SCD. This treatment is used most often for stroke or for complications in the brain. Chances of a successful transplant without major complications are greater than 90%. Most recipients are children. Transplants are not common yet because of lack of suitable stem cell donors and toxic complications.

Hydroxyurea is the only FDA-approved medication for treatment of SCD. It reduces the occurrence of pain crises, acute chest syndrome, and the need for transfusions. It is usually well tolerated. Treatment begins as young as 9 months and continues lifelong.

Blood Transfusions may be done on a one-time basis as a response to serious complications, or they may be done on a monthly basis for prevention of complications, such as pain and stroke. SCD doctors will determine if and when transfusions are needed.

Research in gene therapy may lead to other cures. Until then, you can help families manage SCD. Your partnership can help minimize pain and help children with SCD participate in normal group activities with their peers.

Sickle Cell Trait

People who inherit a normal hemoglobin gene from one parent and an abnormal hemoglobin gene from the other parent have Sickle Cell Trait. These people usually are healthy.

Although they do not have SCD, they can pass the gene to their children. People with Sickle Cell Trait need counseling about the odds of having children with SCD.

The trait is diagnosed with a simple blood test.

RESOURCES

Watch videos, read articles, and download fact sheets and toolkits about SCD.

Centers for Disease Control
www.cdc.gov

Learn about programs that provide in-home support. Educators show families how to support children's development and get them ready for school.

Home Instruction for Parents of Preschool Youngsters (HIPPY)
www.hippyusa.org

Parents as Teachers
www.parentsasteachers.org

REFERENCES

Badawy SM, Thompson AA, Liem RI. Beliefs about hydroxyurea in youth with sickle cell disease. Hematol Oncol Stem Cell Ther. 2018;11(3):142-148. doi:10.1016/j.hemonc.2018.01.001.

Centers for Disease Control and Prevention. Data and Statistics on Sickle Cell Disease. https://www.cdc.gov/ncbddd/

Copyright © 2019 University of Arkansas for Medical Sciences

sicklecell/data.html. Published 2017. Accessed December 15, 2018.
Downes M, Kirkham FJ, Telfer PT, de Haan M. Altered Neurophysiological Processing of Auditory Attention in Preschool Children With Sickle Cell Disease. J Pediatr Psychol. 2018;43(8):856-869. doi:10.1093/jpepsy/jsx115.
Downes M, Kirkham FJ, Telfer PT, de Haan M. Assessment of Executive Functions in Preschool Children With Sickle Cell Anemia. J Int Neuropsychol Soc. 2018;24(09):949-954. doi:10.1017/S1355617718000255.
Han J, Zhang X, Saraf SL, et al. Risk factors for vitamin D deficiency in sickle cell disease. Br J Haematol. 2018;181(6):828-835. doi:10.1111/bjh.15270.
Lee MT, Licursi M, McMahon DJ. Vitamin D deficiency and acute vaso-occlusive complications in children with sickle cell disease. Pediatr Blood Cancer. 2015;62(4):643-647. doi:10.1002/pbc.25399.
Leonard A, Abraham A. Gene Therapy: The Path Toward Becoming a Realistic Cure for Sickle Cell Disease. In: Sickle Cell Disease and Hematopoietic Stem Cell Transplantation. Cham: Springer International Publishing; 2018:303-328. doi:10.1007/978-3-319-62328-3_15.
Osunkwo I, Hodgman EI, Cherry K, et al. Vitamin D deficiency and chronic pain in sickle cell disease. Br J Haematol. 2011;153(4):538-540. doi:10.1111/j.1365-2141.2010.08458.x.
Quinn CT. Sickle cell disease. Cancer Therapy Advisor. https://www.cancertherapyadvisor.com/pediatrics/sickle-cell-disease/article/623157/. Published 2017. Accessed December 15, 2018.
Sarri G, Bhor M, Abogunrin S, et al. Systematic literature review and assessment of patient-reported outcome instruments in sickle cell disease. Health Qual Life Outcomes. 2018;16(1):99. doi:10.1186/s12955-018-0930-y.
Schatz J, Schlenz AM, Smith KE, Roberts CW. Predictive validity of developmental screening in young children with sickle cell disease: a longitudinal follow-up study. Dev Med Child Neurol. 2018;60(5):520-526. doi:10.1111/dmcn.13689.
Schatz J, Schlenz A, Reinman L, Smith K, Roberts CW. Developmental Screening in Pediatric Sickle Cell Disease. J Dev Behav Pediatr. 2017;38(8):654-662. doi:10.1097/DBP.0000000000000486.
Vaishya R, Agarwal AK, Edomwonyi EO, Vijay V. Musculoskeletal Manifestations of Sickle Cell Disease: A Review. Cureus. 2015;7(10):e358. Published 2015 Oct 20. doi:10.7759/cureus.358

Original Authors: Teri Patrick, Patti Bokony
2019 Revision Authors: Cynthia Crone, Melanie Chapin-Critz

Copyright © 2019 University of Arkansas for Medical Sciences

Lo que dicen los expertos

ENFERMEDAD DE CÉLULAS FALCIFORMES

POR QUÉ ES IMPORTANTE

La enfermedad de células falciformes (SCD, por sus siglas en inglés), que afecta la forma y otras características de los glóbulos rojos, se transmite de ambos padres a sus hijos.

Los síntomas generalmente aparecen en bebés alrededor de los 5 a 6 meses, lo que hace que sea importante que los cuidadores de niños pequeños estén conscientes de los síntomas de la SCD y, a veces, de las complicaciones que amenazan la vida.

Los niños con SCD deben ser monitoreados de cerca. Pueden tener retrasos físicos, intelectuales y emocionales como resultado de problemas físicos y defrecuentes días perdidos de aprendizaje y socialización en entornos grupales.

Los tratamientos para SCD están mejorando. Los padres, maestros, enfermeras y médicos pueden trabajar juntos para prevenir complicaciones e también para involucrar a los niños con SCD en la mayor cantidad de juegos y actividades educativas como sea posible.

Existen otras anomalías de la hemoglobina, como el rasgo de células falciformes, que pueden transmitirse de padres a hijos, pero la mayoría de ellas no causan efectos de salud graves en el niño afectado.

SCD es una enfermedad de por vida que generalmente incluye dolor recurrente o crónico.

¿QUÉ PUEDE HACER?

Asegúrese de que todos los cuidadores y maestros conozcan sobre enfermedad, incluidos los pasos para prevenir complicaciones y señales de que se necesita atención médica inmediata.

Pídales a los padres que compartan información médica sobre su hijo, incluida una copia escrita acerca del cuidado especial del niño y el plan de emergencia. Si los padres no tienen un plan, anímelos a reunirse con el médico del niño para desarrollar uno. Los planes deben incluir:

- Pautas para el control de infecciones, como lavarse las manos con frecuencia, inmunizaciones, mantener prácticas alimentarias seguras, penicilina diaria para prevenir infecciones y evitar reptiles como

Copyright © 2019 University of Arkansas for Medical Sciences

tortugas, lagartos y serpientes.

- Un programa de chequeo regular que incluye controles de audición y visión.
- Alimentos saludables y cualquier suplemento nutricional necesario.
- Instrucciones escritas para todos los medicamentos, incluso cómo usar medicamentos de venta libre para controlar el dolor. Si el niño necesitara medicamentos mientras esté bajo su cuidado, haga que el farmacéutico le proporcione un contenedor separado de medicamentos recetados con instrucciones.

Los niños con SCD necesitan beber más líquidos que otros niños. Necesitan cambios extra de pañales o descansos en el baño.

Los cuidadores necesitarán información detallada sobre el estado de salud del niño, las actividades apropiadas, los signos de empeoramiento de la enfermedad, el tratamiento y los medicamentos, y qué hacer en caso de emergencia.

Proporcionar a los padres información sobre recursos de la comunidad, incluida la defensa o grupos de apoyo. Los servicios pueden incluir cuidado y educación temprana de calidad, apoyo emocional y servicios de intervención temprana. Cuando los padres no pueden enviar a sus hijos a un centro de atención, considere la opción de un programa de visitas domiciliarias como Instrucción en el hogar para padres de niños en edad preescolar (HIPPY) o Padres como maestros.

Anticipe las ausencias o el tiempo fuera de las actividades. Ayude al niño a reajustarse después de una ausencia prolongada. Aliente a otros niños a ser amables y ayudar a que el niño se sienta incluido. Proporcione lugares tranquilos para que el niño descanse. Permitir siestas adicionales es necesario.

Enseñe a los niños cómo reconocer y expresar sus necesidades. Enséñeles a pedir ayuda a un adulto cuando estén cansados, tengan calor, frío, sed o dolor.

Siga las pautas de control de infecciones y observe si hay signos de dolor, fiebre o infección. Estos pueden incluir irritabilidad en un niño pequeño. Un niño con una temperatura de 101°F o más debe ver a un médico inmediatamente.

Proporcione agua extra u otros líquidos recomendados por el proveedor de atención médica y el monitor del niño para asegurarse de que el niño esté bebiendo lo suficiente. Permita también descansos adicionales en el baño.

Preste atención a las temperaturas interiores y exteriores. Ayude a un niño a ajustar la ropa para temperaturas frías o calientes.

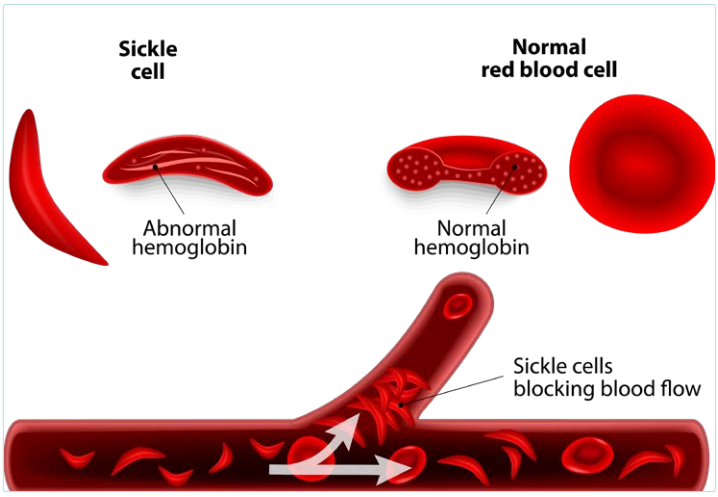
Fomente el ejercicio moderado que generalmente es tolerado por los niños con SCD. El ejercicio y el juego son importantes para la salud de todos los niños. Los niños deben ser monitoreados en busca de deshidratación, sobrecalentamiento o agotamiento.

Monitoree el desarrollo de los niños. Use listas de chequeo, como los escalafones del desarrollo preparados por el Centro para el Control y la Prevención de Enfermedades (CDC). Determine si los niños están ganando habilidades físicas, mentales y emocionales a tiempo. Alerte a los padres y pídales que consulten a un médico si un niño pierde un escalafón.

Copyright © 2019 University of Arkansas for Medical Sciences

LO QUE DICEN LOS EXPERTOS

La enfermedad de células falciformes es causada por **hemoglobina** anormal. La hemoglobina es una proteína en los glóbulos rojos que transporta oxígeno a todas las partes del cuerpo. La hemoglobina anormal hace que los glóbulos rojos se formen más como una hoz, una herramienta que se usa en las granjas. Las células falciformes se rompen y tienen vidas más cortas que los glóbulos rojos normales. Esto causa un recuento bajo de glóbulos rojos, llamado **anemia**. Las células falciformes también se vuelven rígidas y pegajosas. Pueden bloquear los vasos sanguíneos, lo que puede provocar dolor, accidentes cerebrovasculares y muerte del tejido por falta de oxígeno.



La SCD puede afectar a personas de cualquier raza, pero en los Estados Unidos es más común entre los afroamericanos. Niños pequeños con SCD son más vulnerables a las infecciones, el estrés, el calor y el frío. También corren el riesgo de retrasos en el lenguaje o intelectuales y problemas de atención o impulsividad. El uso de exámenes de desarrollo puede ayudar a detectar este tipo de problemas en una etapa temprana.

Signos, síntomas y complicaciones médicas

Cada persona maneja la enfermedad de manera diferente. Los síntomas pueden ser leves o severos.

Los bebés primero muestran signos de SCD alrededor de 5-6 meses. Los síntomas más comunes son hinchazón de las manos y los pies, a menudo con fiebre. Los bebés son irritables y tienen dolor. Los medicamentos para el dolor y el aumento de líquidos son tratamientos comunes para los bebés.

Los niños pequeños y en edad preescolar reportan dolor con mayor frecuencia. La crisis de dolor es la razón más común para la hospitalización de niños con SCD. Los niños pueden tener fiebre, hinchazón e inflamación que pueden durar horas o semanas. La reducción del flujo sanguíneo puede dañar los órganos, músculos y huesos del cuerpo y llevar a condiciones que alteran o ponen en peligro la vida.

Es mejor si los niños son monitoreados regularmente por un médico especialista en SCD para prevenir complicaciones.

SCD complicaciones, síntomas y tratamientos

Complicación	Síntomas	Tratamiento
Anemia	Fatiga, irritabilidad, mareos, ritmo cardíaco acelerado, dificultad para respirar, color pálido de la piel, manos y pies fríos, dolor en el pecho, color amarillo en la piel y el blanco de los ojos, y lentitud en el crecimiento.	Si es grave, transfusión de sangre. La anemia de células falciformeses *no* es causada por muy poco hierro. Los suplementos de hierro pueden causar daño.

Copyright © 2019 University of Arkansas for Medical Sciences

Complicación	Síntomas	Tratamiento
Dolor	Dolor impredecible que se puede describir como agudo, punzante. Puede ser leve o grave y, a menudo, se presenta sin previo aviso.	Si se detectan temprano, los analgésicos de venta libre pueden ayudar. A veces el tratamiento del dolor requiere hospitalización y medicamentos fuertes para el dolor.
Infecciones bacterianas de la sangre, los pulmones o los huesos	Fiebre de 101°F o más.	Visita inmediata al médico. El tratamiento puede incluir antibióticos y, a veces, transfusiones de sangre.
Síndrome de dolor agudo de tórax	Dolor en el pecho, tos, dificultad para respirar y fiebre.	Hospitalización, oxígeno, transfusión de sangre o medicamentos para tratar infecciones o para abrir las vías respiratorias.
Agrandamiento repentino del bazo	Debilidad repentina, labios pálidos, respiración acelerada, ritmo cardíaco acelerado, sed extrema y dolor abdominal en el lado izquierdo.	Transfusión de sangre.
Accidente cerebrovascular y daño cerebral	Es posible que vea parálisis y confusión o que no presente síntomas. A veces se detectan accidentes cerebrovasculares debido a pruebas de diagnóstico por imágenes, problemas de aprendizaje y comportamiento, o discapacidades.	Las transfusiones de sangre después de un primer accidente cerebrovascular disminuyen los riesgos de accidentes cerebrovasculares recurrentes.
Daño orgánico	A menudo no se presentan síntomas tempranos. Puede ver dolor, piel y ojos amarillentos, o pene erecto sostenido.	La prevención de la insuficiencia orgánica a través del control médico de rutina es mejor porque los síntomas a menudo no aparecen hasta que se produce un daño irreversible.
Daño óseo	Dolor, especialmente en caderas, hombros, manos o pies, fiebre, crecimiento lento, artritis, sensibilidad ósea, úlceras en las piernas, fracturas de huesos.	Manejo del dolor, férulas o inmovilización, antibióticos, a veces cirugía.
Daño ocular	Deterioro o pérdida de la visión.	Tratamiento láser.
Crecimiento demorado y déficits nutricionales	Baja altura y peso, dolor y falta de apetito.	Ácido fólico, vitamina B6, vitamina D.
Erección anormal	Erección dolorosa y prolongada del pene.	Si la erección dura más de 4 horas, atención médica urgente.

Todos los cuidadores deben estar conscientes de estos síntomas. Los retrasos en el tratamiento de algunas complicaciones pueden ser potencialmente mortales.

Copyright © 2019 University of Arkansas for Medical Sciences

Prevención

Los Centros para el Control y la Prevención de Enfermedades recomiendan cinco acciones para prevenir la infección en niños con SCD:

1. **Lavado de manos.** Los padres y cuidadores deben lavarse las manos varias veces durante el día.
2. **Seguridad alimentaria.** Asegúrese de que los alimentos estén adecuadamente refrigerados, manipulados y cocinados lo suficientemente bien como para matar gérmenes. La salmonela puede ser especialmente dañina para los niños con SCD.
3. **Evite los reptiles**. Una vez más, debido al riesgo de salmonela, los niños con SCD deben evitar las serpientes, tortugas y lagartos.
4. **Inmunizaciones.** Se necesitan las vacunas infantiles habituales, como neumococos, Hib (Haemophilus Influenza Type b) y meningococos. Se recomiendan inmunizaciones neumocócicas adicionales más allá del horario habitual de la niñez para niños en edad preescolar con SCD.
5. **Penicilina profiláctica** debe iniciarse a los 3 meses de edad. Se administra diariamente por vía oral y, por lo general, se detiene a los 5 años, a menos que haya un historial de infección bacteriana de la sangre, extirpación del bazo o si la familia desea continuarla.

Los episodios dolorosos se pueden prevenir evitando factores desencadenantes como el frío, la deshidratación, la infección, el esfuerzo físico excesivo y el estrés. Este alerta los signos de infección. La fiebre de 101°F o más indica la necesidad de una evaluación médica inmediata.

Características de células falciformes

Las personas que heredan un gen de hemoglobina normal de un progenitor y un gen de hemoglobina anormal del otro progenitor tienen un rasgo de células falciformes. Estas personas suelen ser saludables.

Aunque no tienen SCD, pueden transmitir el gen a sus hijos. Las personas con rasgo de células falciformes necesitan asesoramiento sobre las probabilidades de tener hijos con SCD.
La condición se diagnostica con un simple análisis de sangre.

Avances médicos

Gracias a nuevos tratamientos médicos mejorados, las tasas de supervivencia están aumentando. Las personas con SCD pueden vivir una larga vida.

El trasplante de células madre es la única cura para la SCD. Este tratamiento se usa con más frecuencia para el accidente cerebrovascular o para las complicaciones en el cerebro. Las posibilidades de un trasplante exitoso sin complicaciones mayores son mayores al 90%. La mayoría de los destinatarios son niños. Los trasplantes no son comunes todavía debido a la falta de donantes adecuados de células madre y complicaciones tóxicas.

La hidroxiurea es el único medicamento aprobado por la FDA para el tratamiento de la SCD. Reduce la aparición de crisis de dolor, síndrome torácico agudo y la necesidad de transfusiones. Suele ser bien tolerado. El tratamiento comienza a los 9 meses y continúa de por vida.

Las transfusiones de sangre pueden realizarse una sola vez como respuesta a complicaciones graves, o pueden realizarse mensualmente para la prevención de complicaciones, como dolor y apoplejía. Los médicos de SCD determinarán si se necesitan transfusiones y cuándo.

La investigación en terapia génica puede llevar a otras curas. Pero hasta entonces, puede ayudar a las familias a manejar la SCD. Su ayuda puede ayudar a minimizar el dolor y ayudar a los niños con SCD a participar en actividades grupales normales con sus compañeros.

Copyright © 2019 University of Arkansas for Medical Sciences

RECURSOS

Vea videos, lea artículos y descargue hojas de datos y herramientas sobre SCD.

Centros para el Control de Enfermedades
www.cdc.gov

Conozca sobre los programas que brindan apoyo en el hogar. Los educadores les muestran a las familias cómo apoyar el desarrollo de los niños y prepararlos para la escuela.

Instrucción en el hogar para padres depreescolar (HIPPY)
www.hippyusa.org

Padres como maestros
www.parentsasteachers.org

REFERENCIAS

Badawy SM, Thompson AA, Liem RI. Beliefs about hydroxyurea in youth with sickle cell disease. Hematol Oncol Stem Cell Ther. 2018;11(3):142-148. doi:10.1016/j.hemonc.2018.01.001.

Centers for Disease Control and Prevention. Data and Statistics on Sickle Cell Disease. https://www.cdc.gov/ncbddd/sicklecell/data.html. Published 2017. Accessed December 15, 2018.

Downes M, Kirkham FJ, Telfer PT, de Haan M. Altered Neurophysiological Processing of Auditory Attention in Preschool Children With Sickle Cell Disease. J Pediatr Psychol. 2018;43(8):856-869. doi:10.1093/jpepsy/jsx115.

Downes M, Kirkham FJ, Telfer PT, de Haan M. Assessment of Executive Functions in Preschool Children With Sickle Cell Anemia. J Int Neuropsychol Soc. 2018;24(09):949-954. doi:10.1017/S1355617718000255.

Han J, Zhang X, Saraf SL, et al. Risk factors for vitamin D deficiency in sickle cell disease. Br J Haematol. 2018;181(6):828-835. doi:10.1111/bjh.15270.

Lee MT, Licursi M, McMahon DJ. Vitamin D deficiency and acute vaso-occlusive complications in children with sickle cell disease. Pediatr Blood Cancer. 2015;62(4):643-647. doi:10.1002/pbc.25399.

Leonard A, Abraham A. Gene Therapy: The Path Toward Becoming a Realistic Cure for Sickle Cell Disease. In: Sickle Cell Disease and Hematopoietic Stem Cell Transplantation. Cham: Springer International Publishing; 2018:303-328. doi:10.1007/978-3-319-62328-3_15.

Osunkwo I, Hodgman EI, Cherry K, et al. Vitamin D deficiency and chronic pain in sickle cell disease. Br J Haematol. 2011;153(4):538-540. doi:10.1111/j.1365-2141.2010.08458.x.

Quinn CT. Sickle cell disease. Cancer Therapy Advisor. https://www.cancertherapyadvisor.com/pediatrics/sickle-cell-disease/article/623157/. Published 2017. Accessed December 15, 2018.

Sarri G, Bhor M, Abogunrin S, et al. Systematic literature review and assessment of patient-reported outcome instruments in sickle cell disease. Health Qual Life Outcomes. 2018;16(1):99. doi:10.1186/s12955-018-0930-y.

Schatz J, Schlenz AM, Smith KE, Roberts CW. Predictive validity of developmental screening in young children with sickle cell disease: a longitudinal follow-up study. Dev Med Child Neurol. 2018;60(5):520-526. doi:10.1111/dmcn.13689.

Schatz J, Schlenz A, Reinman L, Smith K, Roberts CW. Developmental Screening in Pediatric Sickle Cell Disease. J Dev Behav Pediatr. 2017;38(8):654-662. doi:10.1097/DBP.0000000000000486.

Vaishya R, Agarwal AK, Edomwonyi EO, Vijay V. Musculoskeletal Manifestations of Sickle Cell Disease: A Review. Cureus. 2015;7(10):e358. Published 2015 Oct 20. doi:10.7759/cureus.358

Original Authors: Teri Patrick, Patti Bokony
2019 Revision Authors: Cynthia Crone, Melanie Chapin-Critz

Copyright © 2019 University of Arkansas for Medical Sciences