

# La leucemia mielomonocítica juvenil (LMMJ)



Fundación  
**JOSEP  
CARRERAS**  
contra la leucemia

## *Acerca de esta publicación:*

Hemos elaborado esta publicación junto a profesionales médicos expertos en cada subtipo de enfermedad y, la misma, ha sido revisada y aprobada de nuevo por la dirección médica de la Fundación, formada por hematólogos con gran experiencia.

A pesar de ello, es importante destacar que ni esta ni ninguna información general que un paciente pueda encontrar, sustituyen al criterio, recomendación y relación del paciente con su hematólogo/a. Éste/a es quien conoce mejor el caso individual de cada persona y quien podrá recomendar uno u otro tratamiento.

*La información de esta publicación sobre la leucemia mielomonocítica juvenil (LMMJ) ha sido ofrecida por la Dra. Laura Belver, investigadora en leucemia mielomonocítica juvenil del Instituto de Investigación contra la Leucemia Josep Carreras*

La **Fundación Josep Carreras contra la Leucemia** es una organización sin ánimo de lucro fundada en 1988 por el propio tenor, Josep Carreras, tras recuperarse de una leucemia aguda. La entidad dedica todos sus recursos a 3 grandes áreas: la investigación científica, la búsqueda de donantes no emparentados para pacientes que necesitan un trasplante de progenitores hematopoyéticos y no disponen de un donante compatible entre sus familiares, y programas sociales de orientación, acompañamiento y recursos como los pisos de acogida. [Ver más.](#)

La información de esta publicación ha sido elaborada en septiembre de 2023. Para cualquier información adicional, escriba a [imparables@fcarreras.es](mailto:imparables@fcarreras.es)

© Reservados todos los derechos. No se permite la reproducción total o parcial de esta obra, ni su incorporación a un sistema informático, ni su transmisión en cualquier forma o por cualquier medio (electrónico, mecánico, fotocopia, grabación u otros) sin autorización previa y por escrito de los titulares del copyright: Fundación Josep Carreras contra la Leucemia. C/Muntaner, 383 2º - 08021 Barcelona. Registrada en el Registro de Fundaciones de la Generalitat de Catalunya con el nº 424. (+34 93 414 55 66 – [info@fcarreras.es](mailto:info@fcarreras.es))

<b>¿Qué es la leucemia, la médula ósea y cuáles son los tipos de células sanguíneas?</b> .....	<b>3</b>
<b>¿Qué es la leucemia linfoblástica mielomonocítica juvenil?</b> .....	<b>12</b>
<b>¿Cuáles son las causas de la leucemia mielomonocítica juvenil?</b> .....	<b>13</b>
<b>¿Cómo se clasifica la leucemia mielomonocítica juvenil?</b> .....	<b>14</b>
<b>¿Cuáles son los síntomas de la leucemia mielomonocítica juvenil?</b> .....	<b>15</b>
<b>¿Cómo se diagnostica la leucemia mielomonocítica juvenil?</b> .....	<b>17</b>
<b>¿Cuál es el tratamiento de la leucemia mielomonocítica juvenil?</b> .....	<b>18</b>
<b>¿Qué probabilidades de curación tienen los niños con LMMJ?</b> .....	<b>21</b>
<b>Nuevos tratamientos contra la leucemia mielomonocítica juvenil</b> .....	<b>22</b>
<b>Seguimiento</b> .....	<b>23</b>
<b>Recomendaciones y otros aspectos prácticos</b> .....	<b>24</b>
<b>Enlaces recomendados</b> .....	<b>26</b>
▶ <b>Enlaces de interés sobre temas médicos relacionados con la leucemia mielomonocítica juvenil</b>	
▶ <b>Enlaces de interés sobre otros temas relacionados con la leucemia aguda en niños</b>	
▶ <b>Enlaces de interés: entidades locales (recursos y servicios)</b>	
<b>Apoyo y ayuda</b> .....	<b>29</b>

# ¿Qué es la leucemia, la médula ósea y cuáles son los tipos de células sanguíneas?

## ¿Qué es la leucemia?

La leucemia es un tipo de cáncer de la sangre que empieza en las células de la sangre que anidan en la médula ósea. Existen muchos tipos de leucemia distintos que pueden afectar a niños o a adultos. Cada tipo de leucemia puede afectar a un grupo celular y tienen distintos tratamientos y pronósticos. En general, hablamos de **leucemias agudas** para las que tienen un curso agresivo, y de **leucemias crónicas**, cuyas células afectadas proliferan lentamente.

La leucemia provoca un aumento descontrolado de los glóbulos blancos. Estas células cancerosas infiltran la médula ósea e impiden que se puedan formar correctamente el resto de las células sanguíneas (glóbulos rojos, plaquetas y glóbulos blancos sanos – leucocitos-).

Por ello, entre otros, se presentan síntomas característicos de **anemia**, por la mala producción de glóbulos rojos; **hemorragias o petequias**, por la creación insuficiente o disfuncional de plaquetas; y propensión a las **infecciones**, por la bajada de defensas (linfocitos).

En España, según datos de la SEOM (Sociedad Española de Oncología Médica), cada año son diagnosticados alrededor de 6.000 nuevos casos de leucemia. De estos, alrededor de 350 casos son niños. La leucemia es el cáncer más frecuente en la edad pediátrica ya que el 30% de las neoplasias diagnosticadas a niños y niñas son leucemias.

La leucemia no es el único cáncer de la sangre. De hecho, tampoco es el más frecuente. En España cada año son diagnosticados más de 10.000 linfomas distintos, más de 3.000 casos de mieloma múltiple y también alrededor de 3.000 síndromes mielodisplásicos.

### Materiales recomendados:

[¿Qué es la leucemia?](#) Ted Lessons.  
Danilo Alegre y Dania Puggioni

[Médula: la fábrica de la vida.](#) Dra.  
Helena Alves. Portugal.



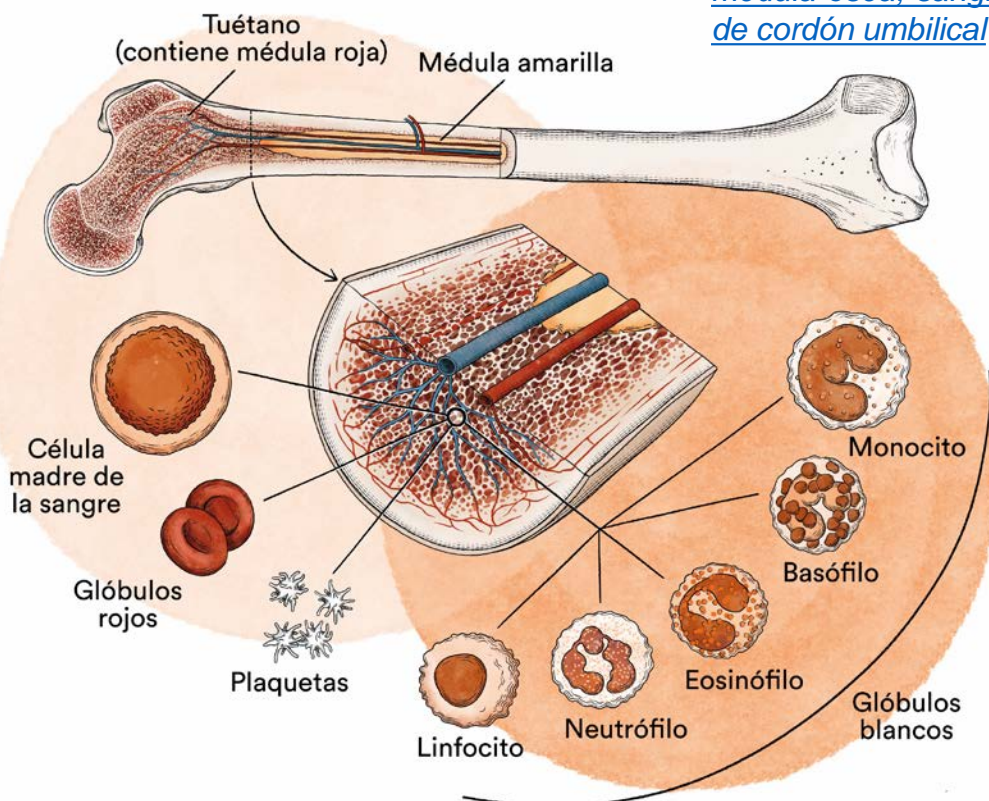
## ¿Para qué sirve la médula ósea?

**La médula ósea es la 'fábrica de la sangre' del cuerpo.**

La médula ósea es un tejido esponjoso que se encuentra en el interior de algunos de los huesos del cuerpo como las crestas ilíacas (hueso de la cadera), el esternón o los huesos del cráneo. En el lenguaje coloquial se le llama tuétano. No debe confundirse con la médula espinal ya que no tienen nada que ver. Sus funciones son totalmente distintas. La médula espinal se encuentra en la columna vertebral y transmite los impulsos nerviosos desde el cerebro hacia todo el cuerpo y viceversa.

La médula ósea contiene las células inmaduras llamadas **células madre sanguíneas** (células madre hematopoyéticas) que se dividen para crear más células que darán lugar a todas las células de la sangre, siendo las tres más importantes: **los glóbulos blancos** que nos defienden de las infecciones; **los glóbulos rojos** que transportan el oxígeno en el cuerpo; y **las plaquetas** que ayudan a que coagule la sangre.

Las células madre de la sangre de una persona sana pueden trasplantarse en algunos casos para tratar leucemias agudas, linfomas agresivos o en pacientes que no responden bien a los tratamientos. [Ver El trasplante de médula ósea, sangre periférica o sangre de cordón umbilical](#)





## ¿Cuáles son las células de la sangre?

La sangre está constituida por un líquido denominado **plasma** y **tres grandes clases de células**, cada una de las cuales desempeña una función específica.

Los **glóbulos rojos**, también llamados hematíes o eritrocitos, son las células que ocupan de transportar el oxígeno desde los pulmones a los tejidos, y de llevar de vuelta el dióxido de carbono de los tejidos hacia los pulmones para su expulsión.

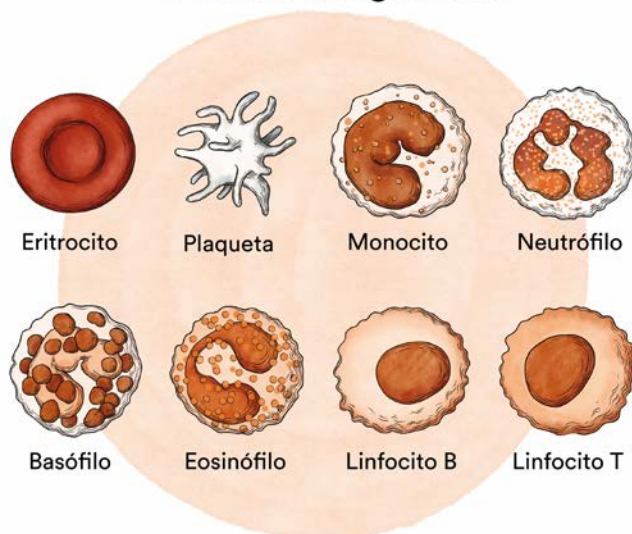
Como las demás células sanguíneas, se producen en la médula ósea. Los hematíes dan a la sangre su color rojo característico. En las analíticas se puede valorar el recuento de glóbulos rojos. La **anemia** se produce cuando los niveles de glóbulos rojos del cuerpo están por debajo de lo normal. Cuando no hay suficientes glóbulos rojos, las partes del cuerpo no reciben suficiente oxígeno y, a causa de esto, no pueden funcionar de la forma que deberían y causan problemas. ¡En un organismo sano, se producen cientos de miles de millones de glóbulos rojos cada día!

Los **glóbulos blancos** o leucocitos son la defensa del cuerpo contra las infecciones y las sustancias extrañas que pudieran entrar en él. Para defender el cuerpo adecuadamente, es necesario que exista una cantidad suficiente de glóbulos blancos capaces de dar una respuesta adecuada, llegar a un sitio en el que se necesitan y luego destruir y digerir los microorganismos y sustancias perjudiciales.

Al igual que todas las células sanguíneas, los glóbulos blancos son producidos en la médula ósea. Se forman a partir de células precursoras (células madre) que maduran hasta convertirse en uno de los cinco tipos principales de glóbulos blancos: los neutrófilos, los linfocitos, los monocitos, los eosinófilos y los basófilos. Una persona produce aproximadamente 100.000 millones de glóbulos blancos al día. Si la producción de leucocitos disminuye, el paciente es más proclive a las infecciones.

Las **plaquetas** o trombocitos colaboran en la coagulación de la sangre cuando se produce la rotura de un vaso sanguíneo. Ayudan a producir coágulos sanguíneos para hacer más lento el sangrado o frenarlo y para facilitar la cicatrización de las heridas.

### Células sanguíneas

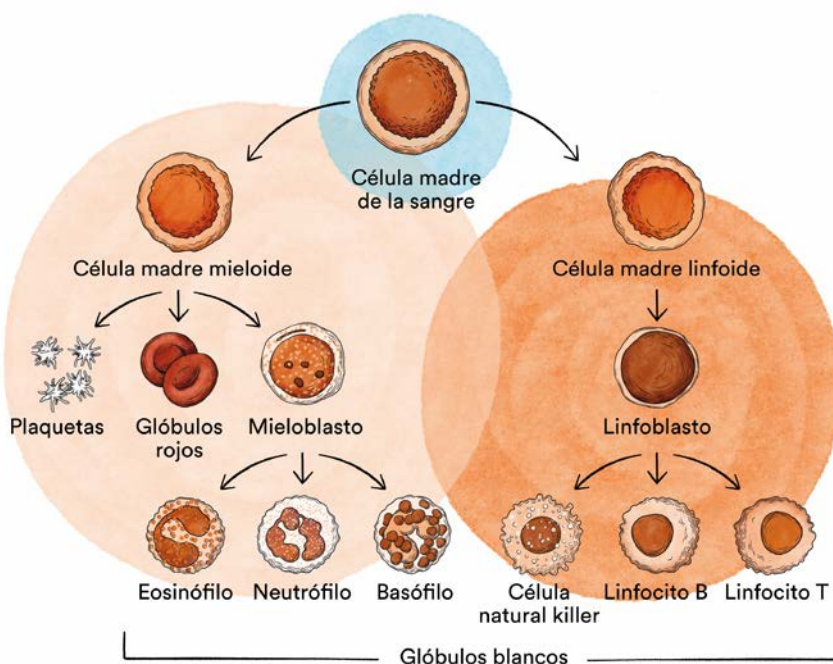


Cuando la cantidad de plaquetas es insuficiente, la sangre no puede coagular como debería lo que hace que exista un mayor riesgo de sangrado. Esta situación se denomina trombocitopenia. En esta situación, se pueden también formar morados o petequias. La trombocitopenia significa que tienes menos de 150.000 plaquetas por microlitro de sangre en circulación. Debido a que cada plaqueta vive solo unos 10 días, tu cuerpo normalmente renueva su suministro de plaquetas continuamente produciendo nuevas plaquetas en la médula ósea.

Todas las células de la sangre en la médula ósea son el resultado de la diferenciación y maduración de las células madre, y suelen llamarse en su conjunto **progenitores hematopoyéticos**.

En condiciones normales, la **producción de células sanguíneas tiene lugar de forma controlada, a medida que el cuerpo precisa de ellas**. La alteración de este equilibrio origina diversas enfermedades; unas se deben a una insuficiente producción de todas las células sanguíneas (aplasia medular) o de algún tipo específico de las mismas (eritroblastopenias, amegacariocitosis, agranulocitosis); otras son causadas por la producción de células incapaces de realizar las funciones que le son propias y en cantidades insuficientes (síndromes mielodisplásicos) y, finalmente, otras son debidas a la producción de células cancerosas en grandes cantidades (leucemias, trombocitemias o policitemias).

## Hematopoyesis



## ¿Cuáles son las causas de la leucemia?

A pesar de todos los avances y la incesante investigación, **todavía se ignoran las causas que provocan la leucemia**. Se sabe que la incidencia es mayor en el sexo masculino que en el femenino, y en sujetos de raza blanca que en aquellos de raza negra. Sin embargo, no se puede explicar aún de forma satisfactoria por qué ciertas personas contraen la enfermedad y otras no.

A través del estudio de un elevado número de casos, se han llegado a establecer ciertos **factores de riesgo** que pueden favorecer la aparición de este trastorno. Por ejemplo, la exposición a grandes dosis de radiación de elevada energía como la que se produjo tras la explosión de bombas atómicas en Japón durante la II Guerra Mundial, o de accidentes en centrales nucleares aumenta el riesgo de padecer leucemia. Por ello, en las centrales nucleares, existen estrictas normas de seguridad para proteger a los trabajadores y al público frente a la exposición de radiaciones nocivas. Por contra, **nunca se ha podido evidenciar correlación entre las radiaciones electromagnéticas (teléfonos móviles, antenas de telefonía, radio o similares) y el desarrollo de las leucemias**.

Algunas características genéticas pueden aumentar el riesgo de padecer leucemia. Una de estas características son el **Síndrome de Down, el Síndrome de Li-Fraumeni o la Anemia de Fanconi**.

Los niños nacidos con estos síndromes son más susceptibles a padecer la enfermedad.

Asimismo, **la exposición a ciertos agentes químicos**, como por ejemplo el benceno, durante largos períodos de tiempo puede constituir un factor de riesgo. También los tratamientos utilizados para combatir otros tipos de cáncer pueden incrementar el riesgo del enfermo a sufrir leucemia. No obstante, este último factor representa un riesgo mínimo frente a los beneficios de la quimioterapia.

**La incesante investigación científica sobre la leucemia hace que se vayan descubriendo nuevas y mejores formas de tratamiento y que las oportunidades de curación sigan aumentando. A pesar de ello, es normal que tanto los pacientes como sus familiares muestren preocupación por el futuro.**

Con el objetivo de conseguir que la leucemia sea algún día una enfermedad 100% curable y de mejorar la calidad de vida de los pacientes, en 2010 la Fundación Josep Carreras puso en marcha el [Instituto Josep Carreras de Investigación contra la Leucemia](#), el primero de España en investigar exclusivamente sobre las enfermedades



hematológicas malignas y uno de los centros más grandes de Europa.

En ocasiones se utilizan promedios de supervivencia y otro tipo de estadísticas para intentar elucidar si un determinado paciente podrá superar la enfermedad. **No obstante, es importante recordar que las estadísticas y los promedios están calculados sobre un gran número de casos y no pueden utilizarse para predecir la evolución de un paciente específico, ya que no existen dos enfermos iguales, y las respuestas a los tratamientos pueden variar enormemente de un paciente a otro.** Así los porcentajes pueden oscilar desde el 90% de curaciones en determinados tipos de leucemia mieloblástica aguda (leucemia promielocítica) o en la leucemia linfoblástica aguda del niño, hasta menos del 20% en las leucemias que aparecen tras un síndrome mielodisplásico o las fases de agudización de la leucemia mieloide crónica. Es el hematólogo a cargo del enfermo quien se halla en la mejor posición para opinar sobre el pronóstico, pero siempre teniendo en cuenta que incluso él mismo puede ignorar cuál será el desenlace.

Los resultados del cáncer generalmente se describen en términos de cuántas personas sobrevivieron 5 años después del diagnóstico y tratamiento. Por ello es frecuente leer **“supervivencia a 5 años”**. Este concepto no significa que el paciente va a vivir 5 años sino el porcentaje de pacientes según estudios

que vivieron 5 años o más. Por supuesto muchas personas viven mucho más de 5 años tras la remisión, aunque la mayoría de los cánceres lo hacen dentro de los 5 años después que ha terminado el tratamiento. Si el paciente ha estado en remisión durante 5 años o más, es poco probable que el cáncer vuelva.

Es frecuente que los médicos hablen de **supervivencia**, o de **remisión** en lugar de curación, ya que, en algunos pacientes leucémicos curados la enfermedad puede reaparecer. **Una remisión completa se produce cuando la leucemia no se puede detectar en el cuerpo y no hay síntomas.** Esto también puede denominarse “sin evidencia de enfermedad” (*no evidence of disease, NED*). En el caso de la remisión parcial, algunos signos y síntomas de cáncer han desaparecido, pero no todos ellos.



## ¿Cómo se desarrolla una leucemia?

El **ADN** (*ácido desoxirribonucleico*) es una proteína compleja que se encuentra en el núcleo de todas las células de nuestro cuerpo. Se trata de una información hereditaria en los seres vivos. **Casi todas las células del organismo tienen el mismo código de ADN.** El orden y secuencia de este código determina toda la información del organismo para formar y mantenerlo sano. Como el alfabeto, su orden y composición podrá formar letras, palabras y frases.

Una propiedad importante del ADN es que puede replicarse o hacer copias de sí mismo. Cada hebra de ADN en la doble hélice puede servir como patrón para duplicar la secuencia de bases. Esto es fundamental cuando las células se dividen, porque cada nueva célula necesita tener una copia exacta del ADN presente en la célula antigua. El ADN dentro de cada célula está en las hebras largas llamadas **cromosomas**. Cada vez que una célula se divide en dos células nuevas, tiene que hacer una copia nueva de sus cromosomas. Este proceso no es perfecto y pueden ocurrir errores que afectan los genes contenidos en los cromosomas.

El **gen** es la unidad de información un locus (posición fija en un cromosoma) del ADN. Los genes son trozos pequeños de ADN. Los genes influyen en el riesgo de que una persona padezca algunas enfermedades y afecciones. Cada uno de nosotros tiene alrededor de 24.000 tipos diferentes de genes.

Los genes que ayudan a las células a crecer, dividirse o a mantenerse vivas se les denominan **oncogenes**. Los genes que ayudan a mantener el control de la división celular o que provocan que las células mueran en el momento oportuno se llaman **genes supresores de tumores**.

Existen varios tipos de cambios en los cromosomas que se pueden encontrar en las células de algunos tipos de leucemias:

- Las **translocaciones**, son los tipos de cambios cromosómicos más habituales. Significa que una parte de un cromosoma se desprende y se une a otro cromosoma diferente. En el punto de este desprendimiento, se pueden activar o desactivar genes. *Como si una parte de un libro en una biblioteca se uniera a otro libro.*
- Las **deleciones**, ocurren cuando una parte del cromosoma se ha perdido. En esta pérdida, puede ocurrir que ya no se encuentre presente un gen que ayudaba a mantener controlado el crecimiento celular. *Como si una parte de un libro se perdiera.*
- Las **inversiones**, ocurren cuando una parte del cromosoma se presenta en un orden invertido. También puede causar la pérdida de un gen porque la célula ya no puede leer sus instrucciones. *Como si un libro estuviese al revés en una biblioteca.*

- Una **duplicación o adición**, ocurre cuando existe una copia de parte o de todo un cromosoma. Esto puede llevar a generar demasiadas copias de un gen dentro de una célula. *Como si en un libro hubiese varios capítulos repetidos.*

**Una leucemia puede desarrollarse cuando hay una mutación en el ADN de una célula sanguínea.** Una mutación es un cambio en uno o más genes. La mutación puede deberse a uno o más cambios del ADN, a un cambio en muchos genes, a la pérdida de uno o más genes o al reordenamiento de genes o cromosomas completos. El cuerpo puede reparar muchas mutaciones que ocurren cada día de nuestra vida. Sin embargo, en una leucemia, esta mutación inhabilita la capacidad del cuerpo para controlar el crecimiento y la división celular. Por ello, las células mutadas e inmaduras crecen sin control, invaden la médula ósea y desplazan a las células sanas del torrente sanguíneo.

Aunque la leucemia no es una enfermedad hereditaria, algunos niños pueden heredar mutaciones del ADN de uno de sus padres. Y ello aumenta el riesgo de padecer cáncer. Sin embargo, estas mutaciones hereditarias no son la causa de la mayoría de las leucemias en niños. **En estos casos se trata de un factor genético, con predisposición hereditaria de la enfermedad.**

La mayoría de las mutaciones del ADN relacionadas con la leucemia se suelen desarrollar después de la concepción. Algunas pueden ocurrir incluso en la gestación, antes del nacimiento. Son, pues, mutaciones genéticas adquiridas y son excepcionales.

En adultos, la mayoría de los cambios del ADN ocurren durante la vida de la persona y no son heredados desde el nacimiento. Muchos de estos cambios genéticos probablemente sean solo eventos al azar que algunas veces ocurren en el interior de una célula, sin que haya una causa aparente. Parecen ocurrir con mayor frecuencia a medida que envejecemos. Por ello, podríamos decir que el cáncer en niños es una enfermedad del crecimiento y, en cambio, **el cáncer en adultos es una enfermedad del envejecimiento de las células.**

# ¿Qué es la leucemia mielomonocítica juvenil?

La leucemia mielomonocítica juvenil (LMMJ) ocurre cuando las células madre o células progenitoras de la médula ósea, responsables de la generación de todas las células sanguíneas, se comportan de una manera anormal, proliferando de forma descontrolada y produciendo grandes números de monocitos en la sangre que se infiltran en distintos órganos del paciente.

**La leucemia mielomonocítica juvenil es un tipo de leucemia muy raro, que presenta una incidencia de tan solo 1,2 casos por cada millón de niños menores de 14 años, siendo más frecuente en varones (2 de cada 3 pacientes).**

**Cada año se diagnostican en España entre 5 y 10 casos de LMMJ, en su gran mayoría en niños y niñas menores de 2 años,** aunque también puede presentarse en edades más avanzadas, especialmente en pacientes que padecen neurofibromatosis tipo 1. Aproximadamente el 10 % de los casos de LMMJ ocurren en bebés menores de 3 meses.





# ¿Cuáles son las causas de la leucemia mielomonocítica juvenil?

**Las causas específicas que originan la leucemia mielomonocítica juvenil no se conocen.**

Sin embargo, se han identificado cinco genes que presentan mutaciones en las células de la médula ósea del 90% de los pacientes de LMMJ. Estas mutaciones se consideran los desencadenantes de la enfermedad. En el 10% restante de los pacientes la mutación genética que actúa como promotora de la leucemia aún se desconoce.

Algunas enfermedades del desarrollo, como la **neurofibromatosis tipo 1** y el **síndrome CBL**, pueden hacer que un niño sea más proclive a desarrollar una leucemia mielomonocítica juvenil.

**La leucemia, como otros tipos de cáncer, no es contagiosa.**

# ¿Cómo se clasifica la leucemia mielomonocítica juvenil?

**La leucemia mielomonocítica juvenil es muy heterogénea** y ha sido siempre difícil de clasificar. A lo largo del tiempo se la ha denominado leucemia mieloide crónica juvenil, leucemia mielomonocítica crónica infantil o síndrome de monosomía 7 infantil.

**Ver clasificación y más información en:**

[Leucemia mielomonocítica crónica y leucemia mielomonocítica juvenil.](#)  
*Leukaemia & Lymphoma Society*



# ¿Cuáles son los síntomas de la leucemia mielomonocítica juvenil?

La presentación clínica de la leucemia mielomonocítica juvenil es variable y, en general, los síntomas en el diagnóstico se deben a la infiltración de las células leucémicas en la médula ósea y otros órganos, dificultando su correcto funcionamiento.

Esto puede ocasionar:

- **Cansancio, debilidad, mareos y palidez**, como consecuencia del bajo número de glóbulos rojos en la sangre (anemia)
- Aparición de morados y pequeñas manchas rosadas en la piel (**petequias**) u otros sangrados por un recuento de plaquetas bajo
- **Fiebre e infecciones** que no evolucionan bien: bronquitis, amigdalitis... (debido al mal funcionamiento de los leucocitos)
- En algunas ocasiones ocurre la **inflamación dolorosa de los ganglios linfáticos, el hígado o el bazo**, debido a la acumulación de células leucémicas.
- Dolor o sensación de llenura en las costillas
- Tos seca
- Pérdida de apetito e insuficiencias del crecimiento

Al inicio de la enfermedad, todos estos síntomas pueden confundirse con los de una infección vírica, por lo que conseguir el diagnóstico final del paciente puede prolongarse durante varias semanas. Sin embargo, en general esto no afecta las opciones de curación del niño o niña.



## Síntomas de la leucemia



Ganglios linfáticos inflamados



Fácil sangrado



Hemorragias nasales



Petequias



Infecciones recurrentes o severas



Fiebre



Fatiga y pérdida de apetito



Pérdida de peso



Bazo o hígado agrandados



Sudoración nocturna



Escalofríos



Dolor óseo



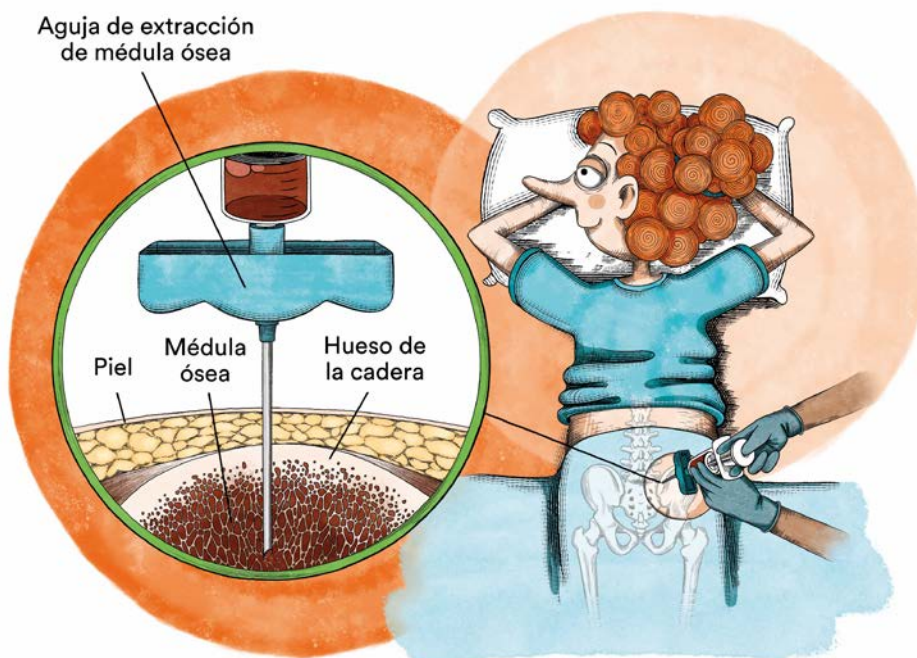
# ¿Cómo se diagnostica la leucemia mielomonocítica juvenil?

Además de los estudios básicos en sangre y medula ósea comunes para todo tipo de leucemia (morfología y recuento celular, inmunofenotipo), los análisis citogenéticos (para detectar anomalías cromosómicas) y moleculares (para detectar mutaciones) son fundamentales para tipificar y clasificar la enfermedad. Determinadas alteraciones genéticas pueden predecir la agresividad de la enfermedad y el riesgo de recaída del paciente.

Todos los pacientes con sospecha de leucemia mielomonocítica juvenil se someten a un análisis genético en el que se comparan sus células tumorales con sus células normales.

**En más del 90% de los pacientes con leucemia mielomonocítica juvenil se detectan mutaciones en uno de estos cinco: PTPN11, KRAS, NRAS, NF1 o CBL.** Todos estos genes pertenecen a la llamada vía de señalización RAS, que controla el crecimiento y la división celular. Las mutaciones que se encuentran en la leucemia mielomonocítica juvenil producen la hiperactivación de esta vía, lo que hace que las células tumorales crezcan de manera descontrolada.

## Aspirado de médula



# ¿Cuál es el tratamiento de la leucemia mielomonocítica juvenil?

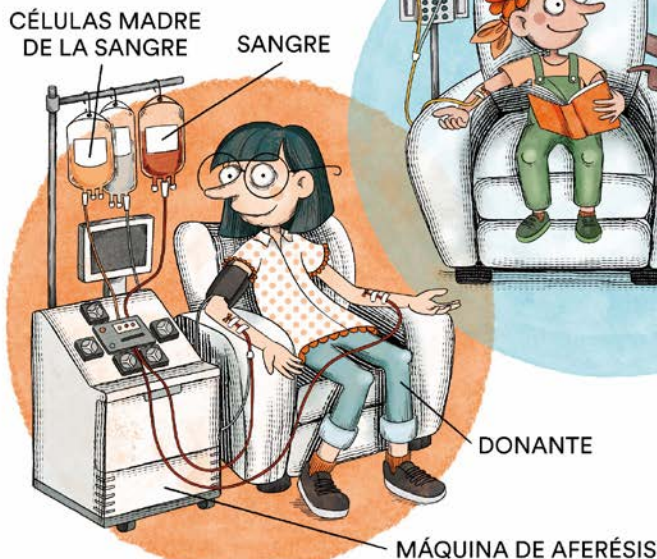
Actualmente no existe un tratamiento específico para tratar la leucemia mielomonocítica juvenil. El único tratamiento que ha demostrado poder curativo es el trasplante de progenitores hematopoyéticos (trasplante de médula ósea) de un donante HLA compatible.

A pesar de ello, es una terapia no exenta de riesgos y complicaciones y, aproximadamente **un 30% de los niños recaen después del trasplante.**

## Trasplante de médula ósea alogénico

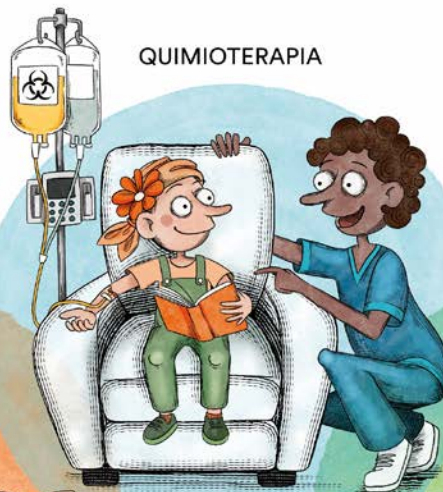
1.

Células madre sanguíneas extraídas de un donante



2.

Paciente recibe tratamiento que destruye sus progenitores de la médula



3.

Paciente recibe las células madre del donante



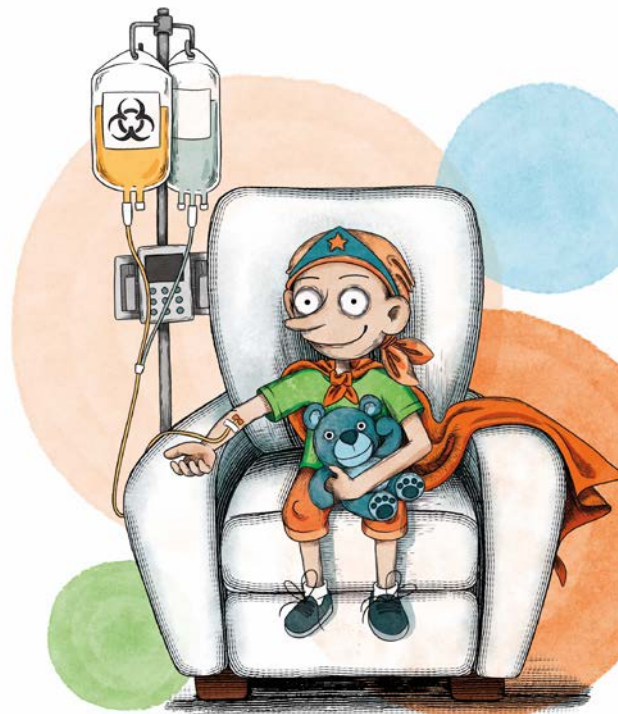
Sin tratamiento, la leucemia mielomonocítica juvenil progresa rápidamente. La [quimioterapia](#) (el uso de fármacos especiales para matar células cancerosas) se puede utilizar para controlar de forma temporal la leucemia mielomonocítica juvenil y preparar al paciente para el trasplante, pero no como terapia curativa.

Uno de los tratamientos tradicionalmente usado antes de realizar el trasplante de médula es la combinación de los medicamentos quimioterapéuticos **busulfán, ciclofosfamida y mefalán.**

Sin embargo, recientemente se ha aprobado con el mismo fin el uso de **azacitidina**, que puede ser administrada en pacientes pediátricos a partir de un mes de edad. Los pacientes que consiguen una remisión temporal de la leucemia en estos ciclos de quimioterapia tendrán un mejor pronóstico a largo plazo. Según la Leukemia and Lymphoma Society, el trasplante se recomienda para todos los niños con mutaciones en los genes NF1 y PTPN11. Sin embargo, el enfoque de “espera vigilante” se adopta en los pacientes con mutaciones en el gen CBL y algunos pacientes con mutaciones en NRAS, en los que la severidad de la enfermedad menos acusada y en ocasiones puede llegar a resolverse sin intervención. [Ver clasificación de la Leukaemia & Lymphoma Foundation.](#)

Debido a las pocas alternativas de tratamiento existentes para la leucemia mielomonocítica juvenil, existe la posibilidad de que el equipo clínico responsable a cargo del niño o niña pueda proponer la inclusión del mismo en **ensayos clínicos** con nuevos medicamentos en fase de investigación.

**Es muy recomendable que el niño o niña sea tratado en un centro de referencia con hematólogos con experiencia en el tratamiento de esta enfermedad.**

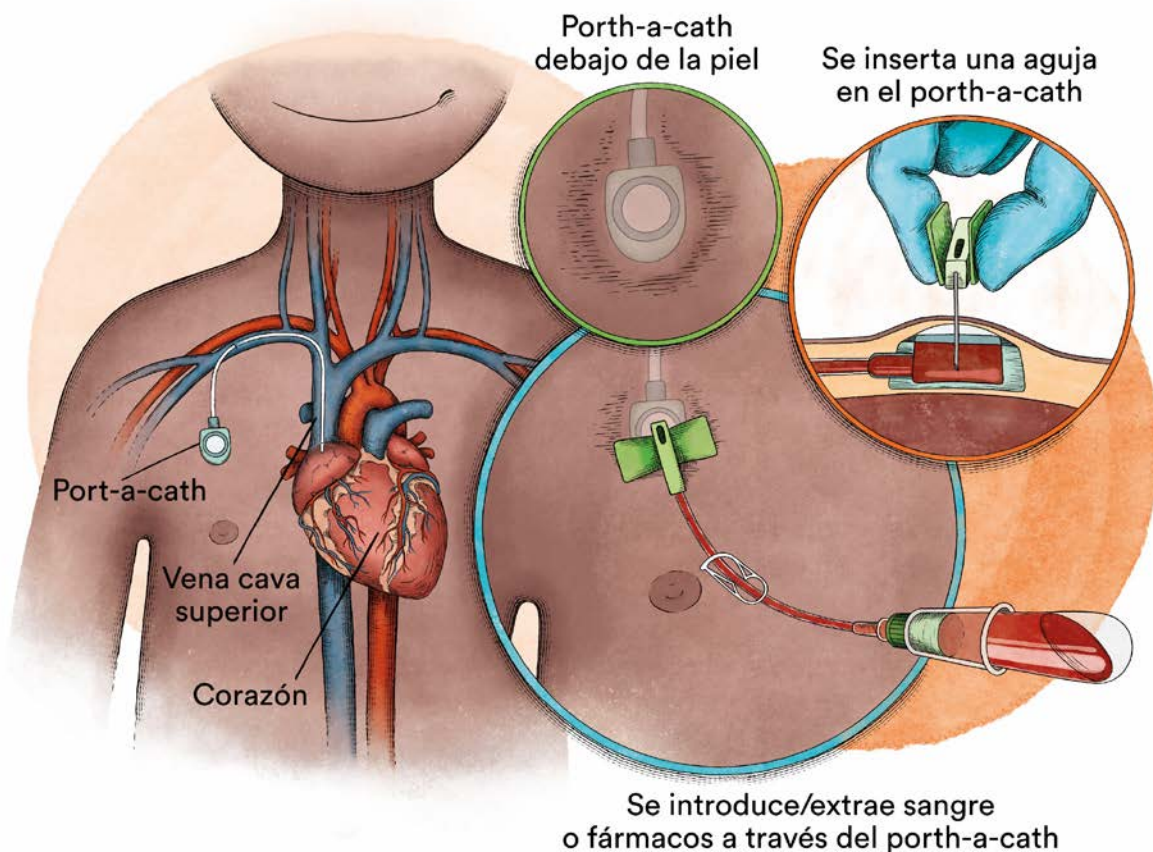




Cuando la quimioterapia se administra por vía intravenosa, para evitar pinchar repetidamente una vena, se utiliza un dispositivo especial llamado **catéter**. El catéter se introduce en una vena grande y permite tanto la administración de medicamentos, como la extracción de sangre para análisis, evitando de este modo realizar repetidas punciones al pequeño.

Existe un tipo de catéter, llamado port-a-cath, que se une a un reservorio redondo de plástico o metal que queda bajo la piel del tórax. El **port-a-cath** es muy práctico en niños porque al quedar bajo la piel no permite que el niño se lo arranque, es más difícil que se infecte que otros tipos de catéter y permite que el niño se bañe.

## Catéter venoso central (Porth-a-cath®)

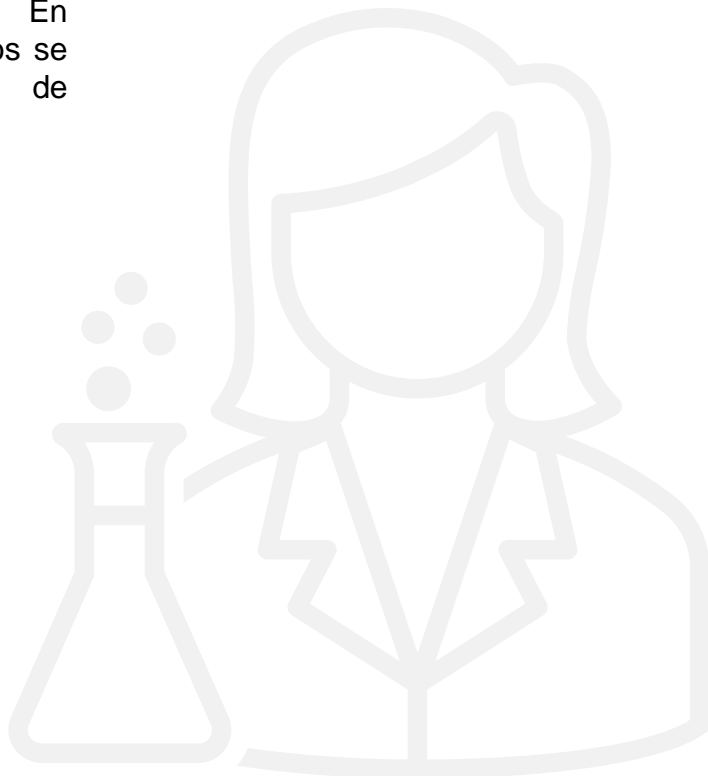




# ¿Qué probabilidades de curación tienen los niños con leucemia mielomonocítica juvenil?

Las probabilidades de curación vienen determinadas por las características del paciente, de la enfermedad (alteraciones genéticas/moleculares), el tratamiento que se administre y por la respuesta que se presente a éste.

**Alrededor del 50% de los pacientes logra la remisión completa a largo plazo tras el trasplante de médula ósea.** Cabe decir que esta terapia no está exenta de complicaciones. Entre el 30 y el 40% de los niños con leucemia mielomonocítica juvenil sometidos a tratamiento y trasplante alogénico recaerá dentro del primer año. En algunas ocasiones, para estos niños se plantea un segundo trasplante de médula ósea.



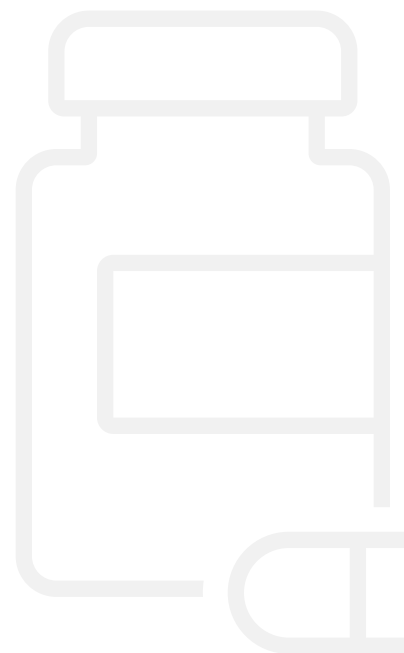
# Nuevos tratamientos para la leucemia mielomonocítica juvenil

La LMMJ ha representado históricamente un desafío clínico debido principalmente al número limitado de opciones terapéuticas para su tratamiento y al alto riesgo de mortalidad de los niños con las formas más agresivas de la enfermedad.

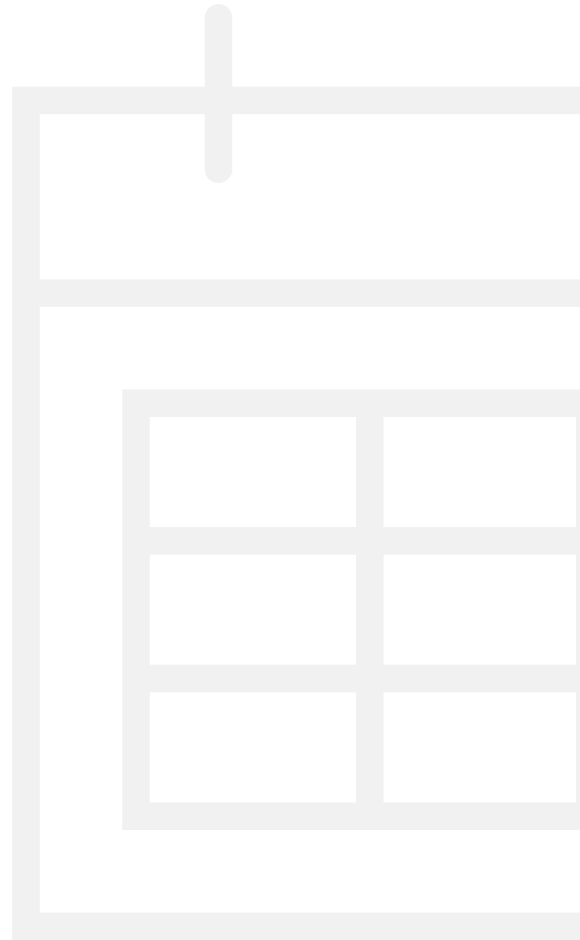
Aunque el [trasplante de médula ósea](#) es en la actualidad el único tratamiento curativo, los avances en la investigación de esta enfermedad han permitido identificar nuevas estrategias terapéuticas que se están ya usando en los pacientes o explorando en diferentes ensayos clínicos:

- **Agentes hipometilantes:** Algunos pacientes de LMMJ presentan altos niveles de metilación en su ADN están asociados con las formas más agresivas de la enfermedad. La metilación es una modificación química que ocurre en el ADN y controla la actividad de los genes. Para contrarrestar esa hipermetilación, recientemente se ha aprobado el uso de **azacitidina** (Vidaza®) para el tratamiento de los pacientes de LMMJ. Este medicamento entra dentro del grupo de los llamados agentes hipometilantes, capaces de reducir la metilación del ADN. En la actualidad se están estudiando las posibles combinaciones de la Azacitidina con otros fármacos para mejorar los resultados.

- **Inhibidores de MEK:** La mayoría de los pacientes con leucemia mielomonocítica juvenil presentan mutaciones en genes que producen la hiperactivación de la vía de señalización RAS, que controla la proliferación celular, produciendo un crecimiento descontrolado de las células tumorales. Por este motivo, el bloqueo de la vía RAS con los llamados inhibidores MEK es una de las estrategias terapéuticas que más se está investigando actualmente en para casos de LMMJ en recaída y/o refractarios. Entre estos inhibidores se encuentran los fármacos como el trametinib (Mekinist®).



Después de completar el tratamiento, el niño seguirá controles periódicos por su médico hematólogo y por otros especialistas en caso necesario. Los controles se realizan para evaluar una posible recaída y para hacer un seguimiento y un tratamiento de las posibles complicaciones a largo plazo. Estos controles se van espaciando progresivamente hasta hacerse una vez al año. Es recomendable realizar un seguimiento como mínimo anual a largo plazo para poder detectar pronto y poder tratar, si aparecieran, las secuelas del tratamiento o de la leucemia.



# Recomendaciones y otros aspectos prácticos

A continuación, hacemos unas recomendaciones de carácter general y que responden a algunas de las preguntas más frecuentes que realizan los padres de los niños con leucemia:

- ¿Se le caerá el pelo? ¿Cuándo?  
¿Lo debemos cortar?

Con la quimioterapia que recibirá para tratar la leucemia, el cabello se le caerá. Generalmente, esto sucede a las 2-3 semanas del inicio de la quimioterapia. Si el niño o la niña tiene el pelo largo, es más adecuado cortarlo corto antes de que empiece a caer. No es necesario, ni conveniente desde el punto de vista psicológico, cortarlo durante los primeros días del ingreso. Tampoco hay que explicarle este hecho en un primer momento. Sí conviene, sin embargo, abordar este tema con el niño antes de que empiece a caer. El cabello vuelve a salir al cabo de 2-4 semanas de haber iniciado la fase de tratamiento de mantenimiento, en la que la quimioterapia es de menor intensidad.

- **Higiene**

Debido a que el niño tiene disminuidas sus defensas ante las infecciones (por la propia enfermedad y también por el tratamiento administrado), es conveniente mantener una higiene corporal adecuada del niño, de la

habitación del hospital y del domicilio familiar, así como de sus juguetes.

Es recomendable evitar aquellos juguetes que almacenen mucho polvo y las cajas de cartón. Tampoco se ha de almacenar comida fuera del frigorífico. Las plantas están prohibidas en la habitación, ya que en la tierra hay esporas de hongos.

El orden facilita la limpieza por parte del personal de la limpieza del hospital.

- **Visitas**

Es conveniente reducir el número de visitas en la habitación del niño, ya que pueden ser portadoras de infecciones.

Es recomendable que no haya más de 2 acompañantes en la habitación y que se laven las manos antes de entrar. Si alguno de los visitantes tiene algún proceso infeccioso (resfriado, conjuntivitis ...) es preferible que no venga.

En el caso de que éste sea el padre, la madre u otra persona que cuide del niño y que no se pueda prescindir de su atención, convendría que se pusieran una mascarilla y se lavaran las manos antes de entrar en contacto con el niño.



- **Alimentación**

El niño que recibe tratamiento con quimioterapia intensiva debe recibir una alimentación variada. Es conveniente, cuando la cifra de leucocitos es baja, **evitar los alimentos crudos que no se puedan pelar** (por ejemplo: lechuga, fresas, tomate crudo).

En ocasiones la quimioterapia puede quitar el hambre, o incluso provocar náuseas. Durante los días que esté recibiendo la quimioterapia, no conviene forzar al niño para que coma, porque puede ser contraproducente.

Por otro lado, los **corticoides** (prednisona y dexametasona) que recibirá en algunas fases del tratamiento pueden aumentar mucho el apetito, incluso con ansiedad. Si bien se les puede permitir comer algo más que las comidas que se sirven en el hospital, no se les debe dejar comer sin límite, ya que con frecuencia no lo toleran bien y puede ocasionar dolor de estómago.



## Enlaces de interés sobre temas médicos relacionados con la leucemia mielomonocítica juvenil:

[La leucemia mielomonocítica juvenil.](#)  
St Jude International

[Leucemia mielomonocítica crónica y leucemia mielomonocítica juvenil.](#)  
Leukaemia & Lymphoma Society

[Tratamiento para niños con leucemia mielomonocítica juvenil.](#) American Cancer Society



## Enlaces de interés sobre otros temas relacionados con la leucemia aguda en niños

### **MATERIALES LEUCEMIA INFANTIL**

[Leucemia infantil.](#) Fundación Josep Carreras

[Leucemia infantil. Los pequeños imparables.](#) Fundación Josep Carreras

[Documental “Los bebés también tienen leucemia”.](#) Fundación Josep Carreras

[Documental “La leucemia y los adolescentes”.](#) Fundación Josep Carreras

## [Juego recortable Medulín.](#) Fundación Josep Carreras

La Fundación Josep Carreras dispone de un cuento “El bebé forzado” dirigido a niños o hermanos que padecen leucemia. Está especialmente dirigido a niños hasta los 6 años. Si quieres solicitarlo, puedes enviarnos un correo a [imparables@fcarreras.es](mailto:imparables@fcarreras.es).

## **MATERIALES TRASPLANTE DE MÉDULA ÓSEA**

[Guía del trasplante de médula ósea.](#) Fundación Josep Carreras

[¿Qué es el HLA y cómo funciona?](#) Fundación Josep Carreras

[La Enfermedad Injerto contra Receptor.](#) Fundación Josep Carreras

[La historia del trasplante de médula ósea.](#) Fundación Josep Carreras

[¿Cómo se realiza una búsqueda de donante anónimo?](#) Fundación Josep Carreras

[Guía de cuidados para niños trasplantados.](#) TransplantChild

[El trasplante de células madre: un libro para colorear.](#) Leukaemia and Lymphoma Society

## **MANUALES DE APOYO**

[¿Cómo enfrentarse a la leucemia y el linfoma en niños?. Leukaemia and Lymphoma Society](#)

[Vivir aprendiendo. Protocolo de actuación para alumnos con cáncer.](#) AFANION

[Guía de apoyo para padres de niños oncológicos.](#) ASION

[Guía para jóvenes y adolescentes con cáncer.](#) ASION

[Alumnado con cáncer: guía para docentes.](#) ASION

[La importancia del comportamiento de los padres cuando un niño tiene cáncer.](#) ASION

[¡Mi hijo tiene cáncer! ¿Qué hago?.](#) FARO

## **ALIMENTACIÓN**

[¿Cómo mantener una alimentación saludable durante el tratamiento?.](#) Fundación Josep Carreras

[Buen provecho. Consejos dietéticos durante el tratamiento.](#) AFANION

Libro: *Las recetas mágicas de Jabel.* Isabel Rojas Murcia, Carolina Mangas Gallardo

## **OTROS**

[Información sobre los efectos a largo plazo y tardíos del tratamiento para la leucemia o el linfoma en niños.](#) Leukaemia & Lymphoma Society

[Mi hermano tiene cáncer.](#) Fundación Josep Carreras

[La escuela en un hospital.](#) Fundación Josep Carreras

[Educando ilusiones. Guía para la intervención psicoeducativa en niños y adolescentes con cáncer.](#) FARO

[El cáncer en la adolescencia.](#) Fundación Josep Carreras

[7 formas de ponerse un pañuelo.](#) Fundación Josep Carreras

Cuento [“La princesa Luzie y los caballeros de la quimio”.](#) ASPANAFOA

Cuento [“Vamos a quimioterapia”.](#)

Cuento [“Vamos a radioterapia”](#)

Cuento [“Gasparín Super Quimio”.](#) Federación Española de Padres de Niños con Cáncer.

Vídeo [“Charlie Brown y la leucemia”](#)

Cuento [“Toby y la máquina voladora”](#)

Cuento [“El hada de las estrellas”.](#) AECC

Cuento [“Lina la pequeña golondrina”.](#) Osakidetza

## **Enlaces de interés: entidades locales que pueden proveer de recursos y servicios especializados en niños y adolescentes oncológicos:**

*Todas estas organizaciones son externas a la Fundación Josep Carreras.*

### **ANDALUCÍA**

[ANDEX \(Sevilla\)](#)

[ALES \(Jaén\)](#)

[ASPANOMA \(Málaga\)](#)

[AUPA \(Granada\)](#)

[ARGAR \(Almería\)](#)

### **ARAGÓN**

[ASPANOA](#)

### **ASTURIAS**

[GALBÁN](#)

### **CASTILLA LA MANCHA**

[AFANION](#)

### **CASTILLA LEÓN**

[PYFANO](#)

### **CATALUÑA**

[FUNDACIÓ D'ONCOLOGIA](#)

[INFANTIL ENRIQUETA](#)

[VILLAVECCHIA](#)

[AFANOC](#)

### **COMUNIDAD VALENCIANA**

[ASPANION](#)

### **COMUNIDAD VALENCIANA**

[ASPANION](#)

### **EXTREMADURA**

[AOEX](#)

[DANDO COLOR Y CALOR](#)

(Badajoz)

### **GALICIA**

[ASANOG](#)

[BICOS DE PAPEL \(Vigo\)](#)

### **ISLAS BALEARES**

[ASPANOB](#)

### **ISLAS CANARIAS**

[PEQUEÑO VALIENTE](#)

[FUNDACIÓN ALEJANDRO DA](#)

[SILVA](#)

### **LA RIOJA**

[FARO](#)

### **MADRID**

[AAA \(asociación de adolescentes y Adultos Jóvenes con Cáncer\)](#)

[ASION](#)

[FUNDACIÓN CAICO](#)

[FUNDACIÓN ALADINA](#)

[FUNDACIÓN](#)

[UNOENTRECIENMIL](#)

### **MURCIA**

[AFACMUR](#)

### **NAVARRA**

[ADANO](#)

### **PAÍS VASCO**

[ASPANAFOA \(Álava\)](#)

[ASPANOVAS \(Vizcaya\)](#)

[ASPANOGLI \(Guipúzcoa\)](#)

Te invitamos también a seguirnos a través de nuestras redes sociales principales (Facebook, Twitter e Instagram) en las que, a menudo, compartimos testimonios de superación e informaciones de interés.

Si resides en España, también puedes ponerte en contacto con nosotros enviándonos un correo electrónico a [imparables@fcarreras.es](mailto:imparables@fcarreras.es) para que te ayudemos a ponerte en contacto con otras familias que han superado esta enfermedad, te orientemos a recursos y servicios disponibles o resolvamos dudas no médicas.

*\* De acuerdo con la Ley 34/2002 de Servicios de la Sociedad de la Información y el Comercio Electrónico (LSSICE), la Fundación Josep Carreras contra la Leucemia informa que toda la información médica disponible en [www.fcarreras.org](http://www.fcarreras.org) ha sido revisada y acreditada por el Dr. Enric Carreras Pons, Colegiado nº 9438, Barcelona, Doctor en Medicina y Cirugía, Especialista en Medicina Interna, Especialista en Hematología y Hemoterapia y Consultor senior de la Fundación; y por la Dra. Rocío Parody Porras, Colegiada nº 35205, Barcelona, Doctora en Medicina y Cirugía, Especialista en Hematología y Hemoterapia y adscrita a la Dirección médica del Registro de Donantes de Médula Ósea (REDMO) de la Fundación).*

## Consultas médicas

En la Fundación Josep Carreras contamos con **personal médico especializado en hematología pero, en ningún caso, es un centro médico** en el que tratamos a pacientes o concertamos visitas, sino que colaboramos con todos los hospitales públicos de la red española que realizan trasplantes de médula ósea y a nivel internacional en el ámbito del Registro de Donantes de Médula Ósea (REDMO).

Por lo tanto, no podemos ofrecerte tratamiento y/o una **segunda opinión médica. Sin embargo, contamos con un servicio de consultas al doctor, a través del cual puedes dejarnos por escrito tus dudas o preguntas que serán contestadas por un Doctor/Doctora inscrito en la Dirección Médica de la Fundación, que te contestará en la mayor brevedad posible. Habitualmente, en 24 o 48 horas como máximo recibirás respuesta a tu consulta.**

Para ello, debes dirigirte a nuestro apartado de “Consultas al Doctor” en el siguiente link:

<https://www.fcarreras.org/consultasaldoctor>

A series of horizontal dashed orange lines spanning the width of the page, intended for writing notes.



# notas

A series of horizontal dashed lines for writing notes.

# notas

A series of horizontal dashed lines for writing notes.



Fundación Josep Carreras contra la Leucemia  
C/Muntaner, 383 2º  
08021 Barcelona  
93 414 55 66 – [imparables@fcarreras.es](mailto:imparables@fcarreras.es)  
[www.fcarreras.org](http://www.fcarreras.org)