

## Situações em que poderá ser efetuado o transplante de células estaminais

Embora um grande número de terapias seja alogénico<sup>1</sup>, a maioria destas não são aplicadas com frequência nos doentes. Em contraste, apesar do pequeno número de aplicações que exigem o tratamento autólogo<sup>2</sup>, existem muitas pessoas a necessitar deste tipo de tratamento.

### Anemias

- Anemia aplástica grave
- Anemia diseritropoética congénita
- Anemia de Fanconi
- Hemoglobinúria paroxística nocturna (PNH)
- Aplasia pura dos glóbulos vermelhos

### Anomalias plaquetárias hereditárias

- Amegacariocitose / Trombocitopenia congénita
- Trombastenia de Glanzmann

### Perturbações mieloproliferativas

- Mielofibrose aguda
- Metaplasia mielóide agnogénica (Mielofibrose)
- Polycythemia Vera
- Trombocitemia essencial

### Perturbações hereditárias do sistema imunitário

#### Imunodeficiência combinada grave (SCID)

- SCID com deficiência na desaminase de adenosina ADA-SCID)
- SCID ligada ao cromossoma X
- SCID com ausência de células T e B
- SCID com ausência de células T, e com células B normais
- Síndrome de Omenn

### Perturbações hereditárias do sistema imunitário

- Síndrome de Kostmann
- Mielocatexia
- Ataxia-telangiectasia
- Síndroma dos linfócitos nus
- Imunodeficiência comum variável
- Síndroma de DiGeorge
- Deficiência na adesão dos leucócitos
- Perturbações linfoproliferativas (LPD)
- Perturbação linfoproliferativa ligada ao cromossoma X
- Síndroma de Wiskott-Aldrich

### Perturbações fagocitárias

- Síndroma de Chediak-Higashi
- Doença granulomatosa crónica
- Deficiência em actina dos neutrófilos
- Disgénese reticular

### Cancros na medula óssea (perturbações das células de plasma)

- Mieloma múltiplo
- Leucemia das células plasmáticas
- Macroglobulinemia de Waldenström

### Outros cancros

- Neuroblastoma
- Retinoblastoma

### Leucemias aguda

- Leucemia linfoblástica aguda (ALL)
- Leucemia mielóide aguda (AML)
- Leucemia bifenóptica aguda
- Leucemia indiferenciada aguda

### Leucemias crónicas

- Leucemia mielóide crónica (CML)
- Leucemia linfocítica crónica (CLL)
- Leucemia mielóide crónica juvenil (JCML)
- Leucemia mielomonocítica juvenil (JMML)

### Síndromas mielodisplásicos

- Anemia refratária (RA)
- Anemia refratária com sideroblastos em anel (RARS)
- Anemia refratária com excesso de blastos (RAEB)
- Anemia refratária com excesso de blastos em transformação (RAEB-T)
- Leucemia mieloomocítica crónica (CMML)

### Linfomas

- Doença de Hodgkin
- Linfoma Não-Hodgkin (Linfoinforme de Burkitt)

### Anomalias hereditárias dos glóbulos vermelhos

- Beta-talassemia maior
- Anemia de Blackfan-Diamond
- Aplasia pura de glóbulos vermelhos

<sup>1</sup>Alogénico – o doente recebe células estaminais de um dador compatível, familiar ou não.

<sup>2</sup>Autólogo – o doente recebe as suas próprias células estaminais embora um grande número de terapias seja alogénicas, a maioria destas não são aplicadas com frequência nos doentes. Em contraste, apesar do pequeno número de aplicações que exigem o tratamento autólogo, existem muitas pessoas a necessitar deste tipo de tratamento.

O CIBMTR (Center for all International Blood & Marrow Transplant Research) recolhe dados de todos os tipos de transplantes de células estaminais realizados. Os dados demonstram que a maioria dos transplantes são, na verdade, autólogos. Por exemplo, nos Estados Unidos de 16790 transplantes efetuados no ano 2009, 9778 (58,2 %) foram autólogos

### Terapias comuns (continuação)

#### Transplantes para doenças hereditárias

- Hipoplasia da cartilagem e cabelo
- Doença de Gunther (Porfiria eritropoietica)
- Síndrome de Hermansky-Pudlak
- Síndrome de Pearson
- Síndrome de Shwachman-Diamond
- Mastocistose sistémica

#### Transplantes para perturbações metabólicas hereditárias

- Mucopolissacaridoses (MPS)
- Síndroma de Hurler (MPS-IH)
- Síndroma de Scheie (MPS-IS)
- Síndroma de Hunter (MPS-II)
- Síndroma de Sanfilippo (MPS-III)
- Síndroma de Morquio (MPS-IV)
- Síndroma de Maroteaux-Lamy (MPS-VI)
- Síndroma de Sly Syndrome, deficiência de Betaglucuronidase (MPS-VII)
- Mucolipidose II (doença da célula I)

#### Doenças por armazenamento Lisossomal

- Doença de Gaucher
- Doença de Niemann-Pick
- Doença de Sandhoff
- Doença de Tay-Sachs
- Doença de Wolman

#### Leucodistrofias

- Adrenoleucodistrofia (ALD)/Adrenomieloneuropatia (AMN)
- Doença de Krabbe (Leucodistrofia celular globóide)
- Leucodistrofia metacromática
- Doença de Pelizaeus-Merzbacher

#### Outras doenças

- Síndroma Lesch-Nyhan
- Osteoperose

### Terapias em fase de ensaios clínicos

#### Transplantes para tumores cancerígenos

- Cancro da mama
- Sarcoma de Ewing
- Carcinoma das células renais

#### Transplantes para perturbações de proliferação celular ou metabolismo

- Fibrose cística
- Doenças histiocíticas:
  - Linfohistiocitose eritrofagocítica familiar
  - Hemofagocitose
  - Histiocitose das células de Langerhans (LCH ou Histiocitose - X)
  - Epidermólise Bolhosa

#### Terapia génica

- Trombastenia de Glanzmann
- Imunodeficiência combinada grave (SCID)
- SCID com deficiência em adenosina-desaminase (ADA-SCID)
- SCID ligada ao cromossoma X
- Beta-talassemia
- Síndroma de Wiskott-Aldrich

#### Terapia cardíaca

- Enfarte do miocárdio
- Angina
- Cardiomiotipatia

#### Doenças auto-imunes

- Diabetes Tipo 1
- Lúpus
- Doença de Crohn

#### Reparação do sistema nervoso

- Lesões cerebrais pediátricas:
  - Encefalopatia
  - Hipoxia
  - Paralisia cerebral
  - Esclerose múltipla (MS)
  - Lesão da medula espinhal

#### Reparação de órgãos

- Restauração da visão por crescimento de uma nova córnea
- Restauração da visão por tratamento da degenerescência macular

Fonte: [www.parentsguidecordblood.com](http://www.parentsguidecordblood.com)

**Em Portugal, por favor contacte: Av. António Serpa, 32, 10ºD, 1050-027 Lisboa**

Tel: 213 161 318 | Linha Gradata 800 103 480 | [info@futurehealth.pt](mailto:info@futurehealth.pt) | [www.futurehealthbiobank.pt](http://www.futurehealthbiobank.pt)