

# ▷ DOENÇAS TRATADAS COM CÉLULAS ESTAMINAIS DO SANGUE CORDÃO UMBILICAL

Mais de 80 doenças já foram tratadas com células estaminais do sangue do cordão umbilical:

## Doenças oncológicas

- Leucemia linfoblástica aguda (lla)\*<sup>1)</sup>
- Leucemia mieloblástica aguda (lma)\*
- Leucemia mielóide crónica (lmc)
- Leucemia linfóide crónica (llc)
- Leucemia mielomonocítica
- Tumores sólidos (ex. neuroblastoma ou retinoblastoma)\*
- Doença de Hodgkin
- Linfomas não-Hodgkin
- Anemia refractária
- Mielofibrose
- Mastocitose sistémica
- Síndrome linfoproliferativa autoimune
- Histiocitose familiar
- Histiocitose das células de langerhans
- Linfocitose hemofagocítica
- Granulomatose linfomatosa
- Síndrome infantil da monossomia do cromossoma 7

## Deficiências Medulares

- Anemia aplástica
- Anemia aplástica adquirida\*
- Anemia de fanconi
- Anemia diseritropoiética congénita
- Anemia de blackfan-Diamond
- Anemia sideroblástica congénita
- Anemia hipolinfoproliferativa
- Aplasia eritróide pura
- Neutropenia cíclica
- Neutropenia autoimune (severa)
- Síndrome de evans
- Hemoglobinúria paroxística nocturna
- Doença de glanzmann (desordem plaquetária)
- Trombocitopenia amegacariocítica

## Doenças metabólicas

- Adrenoleucodistrofia
- Doença de Gunther
- Doença de Gaucher
- Síndrome de Hunter (MPS-II)
- Síndrome de Hurler (MPS-I)
- Síndrome de Hurler-Scheie
- Síndrome de Maroteaux-Lamy (MPS-VI)
- Síndrome de Sanfilippo (MPS-III)
- Síndrome de Hermansky-Pudlak
- Mucopolidose tipo II, III
- Alfa manosidose
- Síndrome de Neimann pick
- Síndrome de Sandhoff
- Doença de Tay Sachs
- Doença de Krabbe
- Leucodistrofia metacromática
- Fucosidose (Doença da deficiência de fucosidose)
- Gm1 gangliosidase
- Doença de Wolman
- Aspartilglucosaminúria
- Síndrome de Morquio (MPS-IV)
- Síndrome de Lesch-Nyhan
- Doença de Austin (Deficiência múltipla de sulfatases)

- Síndrome de tar (trombocitopenia sem rádio)
- Trombocitopenia neonatal severa
- Dermatomiosite juvenil
- Xantogranuloma juvenil
- Pancitopenia
- Síndrome de Kostmanns
- Síndrome de Shwachman-Diamond\*
- Síndrome de Pearson

## Imunodeficiências

- Imunodeficiência combinada severa (SCID), entre as quais
- síndrome de omenn
- sciD com deficiência de adenosina
- Deaminase (ADA-SCID)\*<sup>2)</sup>
- sciD ligada ao cromossoma X
- Síndrome de ataxia-telangiectasia
- Síndrome de DiGeorge
- Síndrome de Wiskott Aldrich
- Agamaglobulinemia ligada ao cromossoma X
- Doença granulomatosa crónica
- Deficiência IKK gama
- Hipogamaglobulinemia
- Síndrome linfoproliferativa ligado ao cromossoma X
- Síndrome de Griscelli
- Síndrome de Nezelof

## Hemoglobinopatias

- Beta talassémia major
- Beta talassémia intermédia
- Alfa talassémia intermédia (Doença da hemoglobina H)
- Alfa talassémia major (Hydrops fetalis)
- Anemia falciforme

## Outras doenças

- Osteopetrose

\*Nestas doenças a utilização do sangue do cordão umbilical foi feita em contexto autólogo (dador e recetor são a mesma pessoa). Nos restantes casos, a utilização foi feita em contexto alogénico (dador e recetor são pessoas diferentes), por exemplo, entre irmãos.

1) First report of autologous cord blood transplantation in the treatment of a child with leukemia. Hayani A, Lampeter E, Viswanatha D, Morgan D, Salvi SN. Pediatrics. 2007 Jan;119(1):e296-300.

2) Em combinação com terapia génica

Lista elaborada a partir do artigo científico Moise KJ "Umbilical Cord Stem Cells" Obstet Gynecol 2005;106:1393-1407 e do site: [www.parentsguidecordblood.com](http://www.parentsguidecordblood.com).

A lista de doenças apresentada não é exaustiva, nomeadamente no que diz respeito à utilização de células estaminais do sangue do cordão umbilical em contexto autólogo.