

# ▶ DOENÇAS TRATADAS COM CÉLULAS ESTAMINAIS DO SANGUE CORDÃO UMBILICAL

Mais de 90 doenças já foram tratadas com células estaminais do sangue do cordão umbilical

## Doenças hemato-oncológicas

- Leucemia linfóide aguda (lla)\*<sup>1</sup>
- Leucemia mielóide aguda (lma)\*
- Leucemia mielóide crónica (lmc)
- Leucemia linfóide crónica (llc)
- Leucemia mielomonocítica
- Doença de Hodgkin
- Linfomas não-Hodgkin\*<sup>2</sup>
- Mieloma múltiplo<sup>3</sup>
- Macroglobulinemia de Waldenstrom<sup>4,5</sup>
- Anemia Refractária
- Mielofibrose primária e secundária<sup>6,7</sup>
- 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)
- Trombocitopénia amegacariocítica
- Síndrome de TAR (trombocitopénia sem rádio)
- Trombocitopénia neonatal severa
- Dermatomiocite juvenil
- Xantogranuloma juvenil
- Pancitopenia

## Doenças metabólicas

- Adrenoleucodistrofia
- Doença de Gunther
- Doença de Gaucher
- Doença de Batten<sup>8</sup>
- Síndrome de Hunter (MPS-II)
- Síndrome de Hurler (MPS-I)
- Síndrome de Maroteaux-Lamy (MPS-VI)
- Síndrome de Sly (MPS-VII)<sup>10</sup>
- 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)

## Hemoglobinopatias

- Anemia falciforme
- Alfa talassémia major (Hydrops fetalis)
- Alfa talassémia intermédia (Doença da hemoglobina H)
- Beta talassémia major
- Beta talassémia intermédia
- 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
- Deficiência de adesão leucocitária<sup>14</sup>
- Disgenesia reticular<sup>15</sup>
- Hipogamaglobulinemia
- Síndrome linfoproliferativa ligado ao cromossoma X
- Síndrome de Griselli
- Síndrome de Nezelof
- Síndrome de Chediak-Higashi<sup>12</sup>
- Síndrome WHIM<sup>13</sup>

## Tumores sólidos\*

- Neuroblastoma
- Retinoblastoma

## Outras doenças

- Osteopetrose
- Disqueratose congénita<sup>16</sup>
- Doença de Behçet<sup>17,18</sup>
- Hipoplasia da cartilagem-cabelo<sup>19</sup>
- Paralisia Cerebral (no âmbito do Programa "Famicrod Group Expanded Access")
- Síndrome do linfócito nu<sup>14</sup>

Lista elaborada a partir do artigo científico Moise KJ "Umbilical cord stem cells" Gynecol 2005, 106:1393-1407.

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.

\*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. Hayani A, et al. Pediatrics. 2007, 119(1):e296-300. 2. Passweg JR, et al. Bone Marrow Transplant. 2016, 51(6):786-92. 3. Paviglianiti A, et al. Haematologica. 2016, 101(9):1120-7. 4. Garnier A, et al. Haematologica. 2010, 95(6):950-955. 5. Kyriakou C, et al. Blood. 2016, 128(22): 4661. 6. Robin M, et al. Blood. 2013, 122(21): 2156. 7. Murata M, et al. Intern Med. 2020, 59(16):1947-1956. 8. Brondon JE, et al. Biol Blood Marrow Transplant. 2019, 25(3): S313-S314. 9. Yadav SP, et al. Biol Blood Marrow Transplant. 2020, 26(3, Suppl.):S219. 10. Sissini L, et al. Pediatr transplant. 2018, 22(7):e13278.

11. Em combinação com terapia génica. 12. Rihani R, et al. Pediatr transplant. 2012, 16(4): E99-E105. 13. Kriván, G, et al. Eur J Haematol. 2010, 84(3): 274. 14. Gluckman E. Hematol Cell Ther. 1996, 38: 393-397. 15. Reubsael LL, et al. Bone marrow transplant. 2007, 39(5): 307-308. 16. Gibson A, et al. Pediatr Transplant. 2022, 26(2):e14157. 17. Nonami A, et al. Intern Med. 2007, 46(20): 1753-1756. 18. Yamato K. Int J Hematol. 2003, 77(1): 82-85. 19. Alletwell HB, et al. Biol Blood Marrow Transplant. 2016, 22(3): S235.