

Doenças tratadas com células estaminais do sangue do cordão umbilical

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

Hemato-oncológicas

- Leucemia linfóide aguda (IIa)*¹
- Leucemia mielóide aguda (IIm)*
- Leucemia mielóide crônica (Imc)
- Leucemia linfóide crônica (Ilc)
- Leucemia mielomonocítica
- Doença de Hodgkin
- Linfomas não-Hodgkin*²
- Mieloma múltiplo³
- Macroglobulinemia de Waldenstrom^{4,5}
- Anemia Refractária
- Mielofibrose primária e secundária^{6,7}
- Mastocitose sistêmica
- 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 congênita
- Anemia de Blackfan-Diamond
- Anemia sideroblástica congênita
- Anemia hipolinfoproliferativa
- Aplasia eritróide pura
- Neutropenia cíclica
- Neutropenia autoimune (severa)
- Síndrome de Evans
- Hemogloblinúria paroxística noturna
- Doença de Glanzmann (desordem plaquetária)
- Trombocitopénia amegacariocítica
- Síndrome de TAR (trombocitopénia sem rádio)
- Trombocitopénia neonatal severa
- Dermatiosite juvenil
- Xantogranuloma juvenil
- Pancitopenia

Metabólicas

- Adrenoleucodistrofia
- Doença de Gunther
- Doença de Gaucher
- Doença de Batten⁸
- Síndrome de Hunter (MPS-II)
- Síndrome de Hurler (MPS-I)
- Síndrome de Maroteaux-Scheie
- Síndrome de Murotaux-Lamy (MPS-VI)
- Síndrome de Sly (MPS-VII)¹⁰
- Síndrome de Sanfilippo (MPS-III)
- Síndrome de Hermansky-Pudlak
- Mucopolidose tipo II, III
- Alfa mannosidose
- 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)
- Doença de Pelizaeus-Merzbacher⁹

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)*¹¹
 - sciD ligada ao cromossoma X
- Síndrome de Ataxia-telangiectasia
- Síndrome de DiGeorge
- Síndrome de Wiskott Aldrich
- Agamaglobulinemia ligada ao cromossoma X
- Doença granulomatosa crônica
- Deficiência IKK gama
- Deficiência de adesão leucocitária¹⁴
- Disgenesia reticular¹⁵
- Hipogamaglobulinemia
- Síndrome linfoproliferativa ligado ao cromossoma X
- Síndrome de Griscelli
- Síndrome de Nezelof
- Síndrome de Chediak-Higashi¹²
- Síndrome WHIM¹³

Tumores sólidos*

- Neuroblastoma
- Retinoblastoma

Outras doenças

- Osteopetrose
- Disqueratose congênita¹⁶
- Doença de Behçet^{17,18}
- Hipoplasia da cartilagem-cabelo¹⁹
- Paralisia Cerebral (no âmbito do Programa "Famicrod Group Expanded Access")
- Síndrome do linfócito nu¹⁴

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. Allewelt HB, et al. Biol Blood Marrow Transplant. 2016; 22(3): s235.