

abbvie

IN UTERO STEM CELL TRANSPLANTATION FOR SICKLE CELL DISEASE Time for a Clinical Trial?

Alan W. Flake, MD

The Children's Hospital of Philadelphia



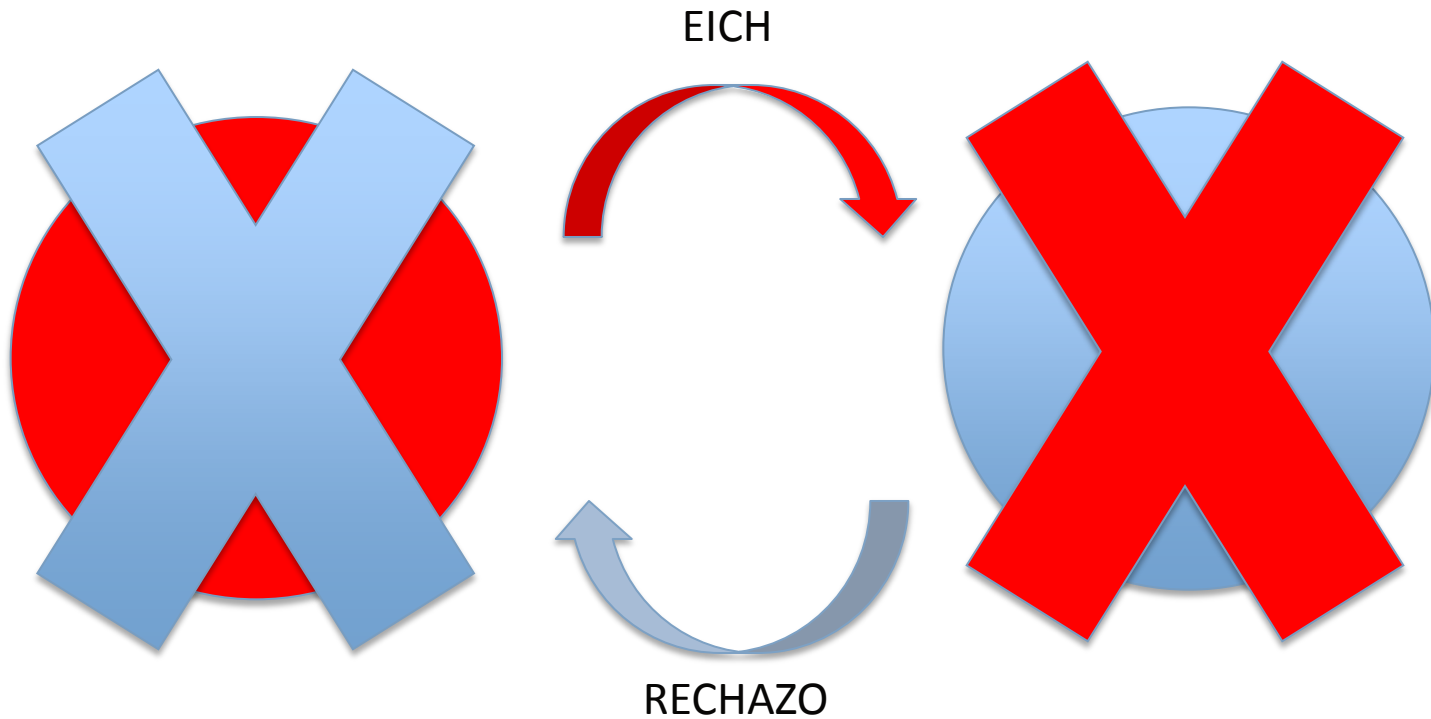
TRANSPLANTE DE CÉLULAS MADRE

- Menos 15% de los pacientes cumplen criterios
- Requiere el uso de quimioterapia para conseguir una inmunosupresión y proporcionar espacio en la médula ósea para las células donantes
- Se asocia a :
 - Alta mortalidad
 - Complicaciones derivadas del transplante de MO
 - Enfermedad de injerto contra huésped.

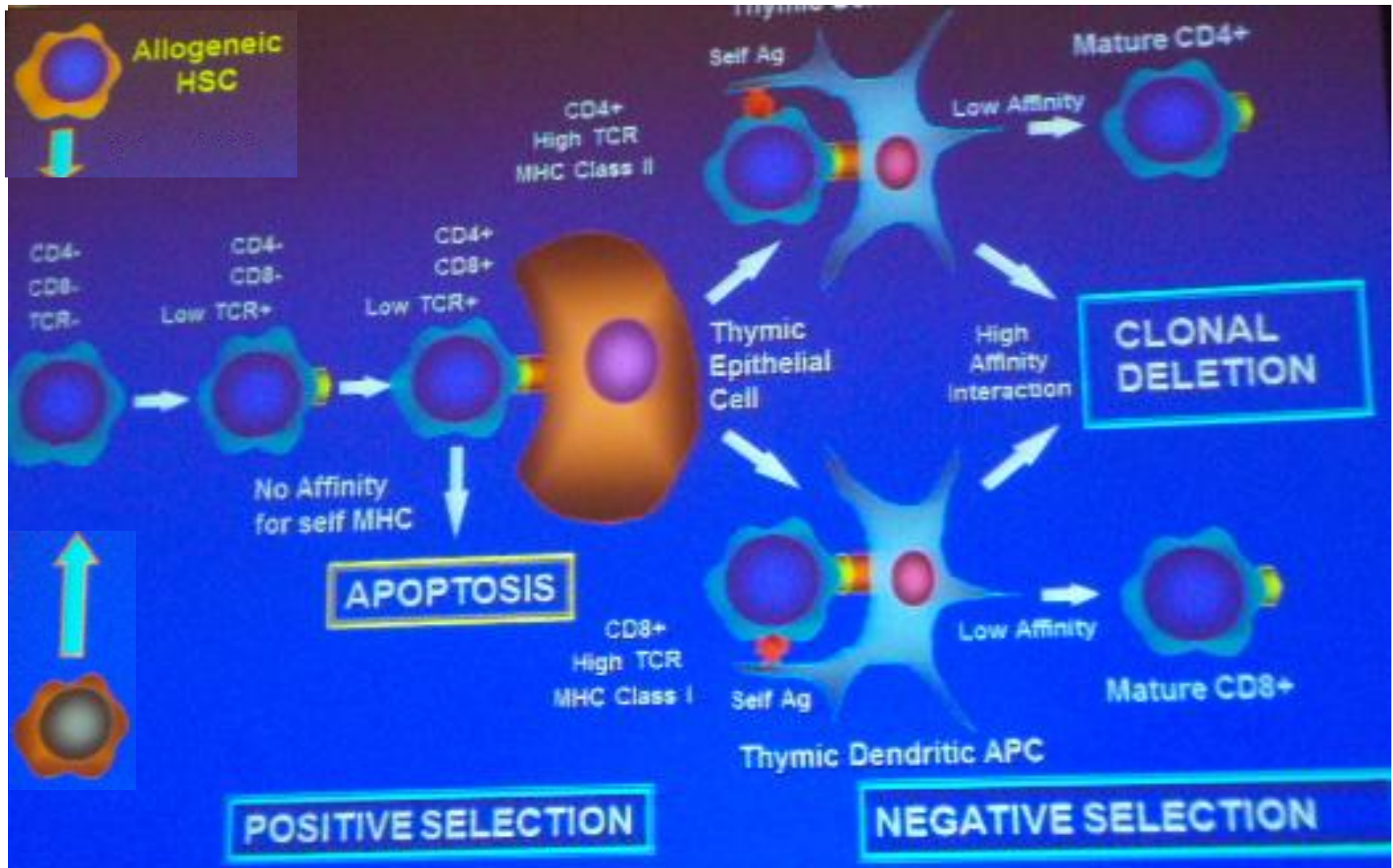
BÚSQUEDA DE NUEVAS OPCIONES

PRINCIPAL PROBLEMA: El sistema inmune

DIFERENCIA ANTIGÉNICA

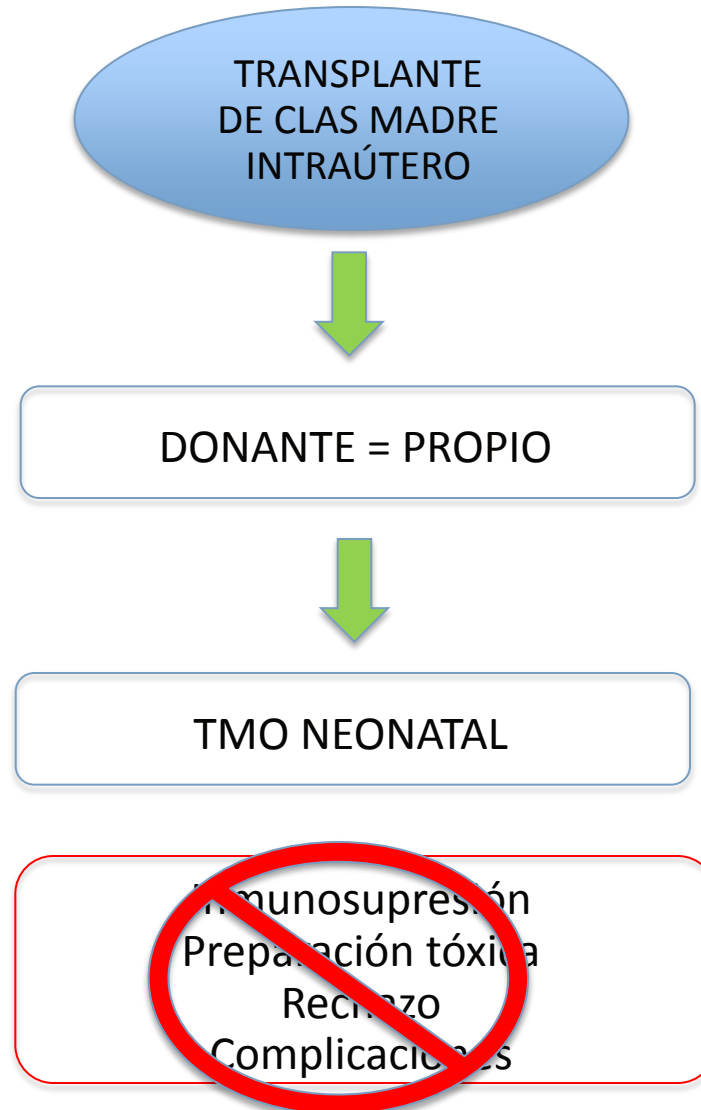


TOLERANCIA DEL SISTEMA INMUNOLÓGICO FETAL



AW Flake. Hot Topics 2012. Washington

TOLERANCIA DEL SISTEMA INMUNOLÓGICO FETAL



TOLERANCIA DEL SISTEMA INMUNOLÓGICO FETAL

1º PASO

DIAGNÓSTICO PRENATAL



TOLERANCIA DEL SISTEMA INMUNOLÓGICO FETAL

2º PASO

TRANSPLANTE CON
FETOSCOPIA GUIADA POR ECO



TOLERANCIA DEL SISTEMA INMUNOLÓGICO FETAL

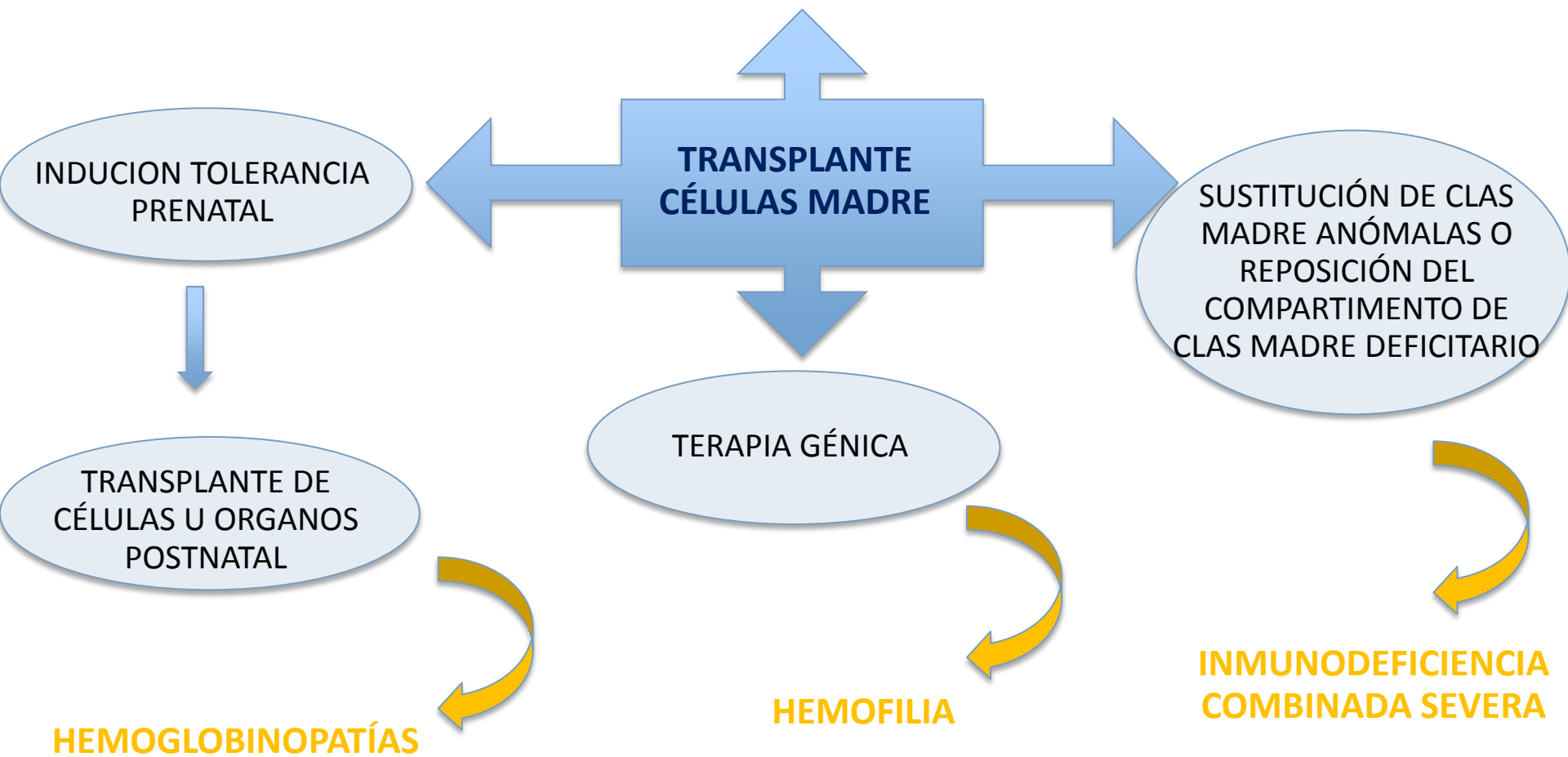
3º PASO

RN CON TOLERANCIA AL
DONANTE



TRANSPLANTE DE CLAS MADRE
DEL MISMO DONANTE,
NO TÓXICO TRAS NACIMIENTO

**OPCIONES
TERAPÉUTICAS**



TRANSPLANTE DE CELULAS MADRE

BARRERAS PARA EL INJERTO:

- ESPACIO
- COMPETICIÓN CON EL HUÉSPED
 - Competencia entre sistema hematopoyético huésped en zonas de proliferación:
 - MO
 - Bazo
 - Hígado
 - Timo
- INMUNOLÓGICA
 - Respuesta inmune materna: aloespecífica

TRANSPLANTE DE CELULAS MADRE

¿QUÉ FALTA TODAVÍA POR HACER?

- Estudios preclínicos de seguridad
- Desarrollo de fetoscopia
- Aprobación
- Formación e inclusión en la asistencia

ENSAYO CLÍNICO PILOTO

- Fetos diagnosticados podrían ser tratados prenatalmente con seguridad
- La técnica puede extenderse a otros centros y países
- Disminución de los gastos en comparación con tratamiento estándar y sus complicaciones

TRANSPLANTE DE CELULAS MADRE

- ...Tratamiento prenatal sin la toxicidad y potenciales complicaciones que supone el tratamiento postnatal
- ...Proporcionar una oportunidad a los padres – alternativa al aborto
- ... Necesidad de ensayos clínicos

