Μεταμόσχευση αρχέγονων αιμοποιητικών κυττάρων (ΜΑΑΚ) σε παιδιατρικούς ασθενείς με χρόνια κοκκιωματώδη νόσο (ΧΚΝ)

[1]Μ.Λέτσιου, [1]Ά.Παϊσίου, [1]Ε-Δ Ιωαννίδου, [1]Μ.Κασταμούλας, [1]Γ.Σταυρουλάκη, [1]Χ. Οικονομοπούλου, [1]Α.Κομιτοπούλου, [1]Κ.Καίσαρη, [1]Σ.Χάντε, [2]Κ.Σπανού, [1]Σ.Γραφάκος, [1]Γ. Βεσσαλάς, [1]Ι.Περιστέρη, [1]Β.Κίτρα, [2]Μ.Τζανουδάκη, [1]Ε.Γουσέτης

Μονάδα Μεταμόσχευσης Μυελού των Οστών, Ανοσολογικό Τμήμα, Ογκολογική Μονάδα Παίδων «Μαριάννα Β. Βαρδινογιάννη - Ελπίδα», Ανοσολογικό Τμήμα, Νοσοκομείο Παίδων «Η Αγία Σοφία»

Εισαγωγή: Η ΧΚΝ είναι συγγενής διαταραχή της οξειδωτικής ικανότητας των κοκκιοκυττάρων, που χαρακτηρίζεται από υποτροπιάζουσες και απειλητικές για την ζωή λοιμώξεις. Η ΜΑΑΚ παραμένει η μόνη ριζική θεραπευτική επιλογή.

Σκοπός : η παρουσίαση της 20ετούς εμπειρίας της Μονάδας μας

Μέθοδοι: Από τον Οκτώβριο του 2007 έως και τον Σεπτέμβριο του 2026 μεταμοσχεύθηκαν 12 ασθενείς με ΧΚΝ με διάμεση ηλικία 4,6 έτη (εύρος : 1,1-15,4 έτη), χωρίς ενεργό λοίμωξη ή αυτοάνοσες εκδηλώσεις κατά την μεταμόσχευση. Είδος δότη: 8 ασθενείς έλαβαν από συμβατό αδερφό και 7 από μη συγγενή συμβατό. Είδος μοσχεύματος: μυελικό ήταν σε 10 ασθενείς (3 συνδυασμό μυελικού+ομφαλοπλακουντιακού), 2 αιματικό μόσχευμα και 1 ομφαλοπλακουντικό από μη συγγενή δότη. Τα πρωτόκολλα προετοιμασίας περιελάμβαναν: μπουσουλφάνη σε συνδυασμό με κυκλοφωσφαμίδη ή με φλουνταραμπίνη σε 5 και σε 3 ασθενείς αντίστοιχα, ενώ τρεοσουλφάνη με φλουνταραμπίνη έλαβαν 5. Όλοι οι ασθενείς, εκτός ενός, έλαβαν αντιθυμοκυτταρικό ορό και συνδυασμό κυκλοσπορίνης/μεθοτρεξάτης ως GVHD προφύλαξη.

Αποτελέσματα: Εγκατάσταση επετεύχθη σε όλους τους ασθενείς. Ένας ασθενής παρουσίασε απόρριψη μετά από λοίμωξη HHV6 και υποβλήθηκε σε 2^{η} επιτυχη αλλογενή ΜΑΑΚ με τον ίδιο δότη, ενώ ένας ακόμη παρουσίασε όψιμη απόρριψη (5 έτη). Με διάμεσο χρόνο εγκατάστασης : ουδετεροφίλα (>500/μL) και αιμοπετάλια (> 20000/μL) ήταν η 22^{η} και η 16^{η} ημέρα, αντίστοιχα. Οξεία GVHD παρουσίασαν 4 ασθενείς (μόνο ένας παρουσίασε gr.IV) ενώ κανένας δεν παρουσίασε χρόνια GVHD. Φυσιολογικά επίπεδα οξειδωτικής ικανότητας ουδετεροφίλων, έχουν επιτευχθεί σε 9 από τους 12 ασθενείς . Με διάμεσο χρόνο παρακολούθησης 81,1 μήνες (εύρος: 1,63 – 228,7) παραμένουν εν ζωή 11 ασθενείς. Ένας ασθενής κατέληξε από βαριά τοξική επιδερμόλυση.

Συμπεράσματα: Η αλλογενής μεταμόσχευση σε παιδιά με ΧΚΝ χρησιμοποιώντας μυελοαφανιστικά πρωτόκολλα οδηγεί σε εγκατάσταση μοσχεύματος χωρίς αυξημένη τοξικότητα σχετιζόμενη με το σχήμα προετοιμασίας καθώς και υψηλά ποσοστά πλήρους χίμαιρας και ανοσολογικής αποκατάστασης, όταν η διάγνωση γίνεται πρώιμα ώστε να μειώνονται η συνυπάρχουσα τοξικότητα.