**Τα αποτελέσματα της μεταμόσχευση αρχέγονων αιμοποιητικών κυττάρων σε παιδιά με αναιμία Fanconi**

Γ.Σταυρουλάκη, Ε.-Δ. Ιωαννίδου, Α.Παϊσίου, Χ.Οικονομοπούλου, Μ.Λέτσιου, Σ.Χάντε, Θ.Γακόπουλος, Μ.Κασταμούλας, Σ.Γραφάκος, Β.Κίτρα, Ι.Περιστέρη, Γ.Βεσσαλάς, Κ.Καίσαρη, Α.Κομιτοπούλου, Ε.Γουσέτης

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

**Σκοπός:** Η αναιμία Fanconi είναι σπάνια αυτοσωμική υπολειπόμενη νόσος που χαρακτηρίζεται από συγγενείς διαμαρτίες, προδιάθεση σε νεοπλασίες και προοδευτική μυελική ανεπάρκεια. Η μεταμόσχευση αρχέγονων αιμοποιητικών κυττάρων (ΜΑΑΚ) παραμένει η μόνη ριζική θεραπευτική επιλογή. Στόχος της μελέτης είναι να παρουσιάσουμε την εμπειρία της Μονάδας μας.

**Μέθοδοι:** Από το Δεκέμβριο του 1998 έως και τον Σεπτέμβριο του 2026 πραγματοποιήθηκαν ΜΑΑΚ σε 24 ασθενείς με αναιμία Fanconi με διάμεση ηλικία 8.3 έτη (εύρος: 3.6-14.3). Ανάλογα τον δότη έλαβαν: από συγγενή 10 και από μη συγγενή 14 ασθενείς . Ανάλογα με το είδος μοσχεύματος δόθηκαν: περιφερικά κύτταρα σε 5 και μυελικά σε 19 ασθενείς. Ως σχήματα προετοιμασίας χρησιμοποιήθηκαν: χαμηλή δόση μπουσουλφάνης + κυκλοφωσφαμίδη με ή χωρίς φλουνταραμπίνη σε 12 ασθενείς ανάλογα με τον τύπο του δότη και 12 κυκλοφωσφαμίδη με φλουνταραμπίνη. Όλοι έλαβαν αντιθυμοκυτταρικό ορό, κυκλοσπορίνη και μεθοτρεξάτη ως προφύλαξη της οξείας νόσου μοσχεύματος κατά ξενιστή.

**Αποτελέσματα:** Εγκατάσταση επετεύχθη σε όλους τους ασθενείς. Τρεις (3) παρουσίασαν απόρριψη και προχώρησαν σε δεύτερη μεταμόσχευση (2/3 υπεβλήθησαν και σε τρίτη μεταμόσχευση). Ουδετερόφιλα >500/μL και αιμοπετάλια > 20000/μL παρατηρήθηκαν κατά μέσο όρο την ημέρα 18 (εύρος: ημέρα 10-25) και την ημέρα 14 (εύρος: ημέρα 7-39) αντίστοιχα. Οξεία GVHD σταδίου II-III παρουσίασαν 8 ασθενείς (2 από αυτούς εμφάνισαν GVHD γαστρεντερικού, σταδίου IV) και χρόνια 3. Μόνο μια ασθενής παρουσίασε δευτεροπαθή κακοήθεια μετά την ΜΑΑΚ (συνύπαρξη και χρόνιας GvHD). Με διάμεσο χρόνο παρακολούθησης τους 114,75 μήνες (εύρος 6,77 – 296,37), 21 ασθενείς είναι εν ζωή και καλά στην υγεία τους ενώ 2 απεβίωσαν λόγω GVHD γαστρεντερικού και 1 από καρκίνο του οισοφάγου.

**Συμπεράσματα:** Οι ασθενείς με αναιμία Fanconi είναι δυνατόν να μεταμοσχευθούν επιτυχώς είτε από συγγενή είτε από μη συγγενή δότη. Σχήματα χαμηλής έντασης μειώνουν την τοξικότητα της ΜΑΑΚ. Η μακροχρόνια παρακολούθηση απαιτείται για τον προσδιορισμό της επίπτωσης των μη αιματολογικών επιπλοκών μετά ΜΑΑΚ.