Μεταμόσχευση αρχέγονων αιμοποιητικών κυττάρων (ΜΑΑΚ) σε παιδιατρικούς ασθενείς με Σύνδρομο Wiscott – Aldrich (W-As) : Η 30ετής εμπειρία της Μονάδας ΜΜΟ

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

[1]Μονάδα Μεταμόσχευσης Μυελού των Οστών, Ανοσολογικό Τμήμα, Ογκολογική Μονάδα Παίδων «Μαριάννα Β. Βαρδινογιάννη - Ελπίδα», [2]Ανοσολογικό Τμήμα, Νοσοκομείο Παίδων «Η Αγία Σοφία»

Εισαγωγή: Το Σύνδρομο Wiscott – Aldrich (W-As) είναι γενετικό φυλοσύνδετο νόσημα με μεταλλάξεις του γονιδίου WAS, και χαρακτηρίζεται από έκζεμα, θρομβοπενία και ανοσολογική ανεπάρκεια. Η αλλογενής ΜΑΑΚ αποτελεί τη ριζική θεραπεία εκλογής.

Ασθενείς: Συνολικά από Μάρτιο του 1996 έως και τον Σεπτέμβριο 2026 μεταμοσχεύτηκαν 15 ασθενείς με Σύνδρομο W-As με διάμεση ηλικία 1,5 έτη (εύρος 0,3 – 4,6). Τρείς (3)ασθενείς έλαβαν μόσχευμα από συμβατό συγγενή δότη (ένας από την συμβατή μητέρα) και 12 από μη συγγενή συμβατό. Οκτώ (8) ασθενείς έλαβαν μυελικό, 5 περιφερικά αιμοποιητικά κύτταρα και 2 ομφαλοπλακουντιακό μόσχευμα. Το πρωτόκολλο προετοιμασίας ήταν μυελοαφανιστικό: 7 ασθενείς έλαβαν μπουσουλφάνη σε συνδυασμό με κυκλοφωσφαμίδη και με φλουνταραμπίνη σε 6, ενώ σε 2 δόθηκε συνδυασμός τρεοσουλφανης με φλουνταραμπίνη. Η προφύλαξη της νόσου μοσχεύματος κατά ξενιστή (GVHD) έγινε με ATG+CSA+MTX σε 11 και ATG+MMF+CYA σε 2 ασθενείς , ενώ οι 2 ασθενείς που έλαβαν το ομφαλοπλακουντιακό μόσχευμα πήραν μόνο CSA.

Αποτελέσματα: Εγκατάσταση του μοσχεύματος επιτεύχθηκε σε 14 από τους 15. (πρωτοπαθή ανεπάρκεια - λοίμωξη από HHV6). Ο διάμεσος χρόνος εγκατάστασης : πολυμορφοπυρήνων (>500/μl) και αιμοπεταλίων (>20.000/ μl) ήταν +20 ημέρα. Οξεία νόσο μοσχεύματος κατά ξενιστή (GVHD) παρουσίασαν 8 ασθενείς (2 gr.IV) και μόνο ένας χρόνια GVHD. Ένας ασθενής υποβλήθηκε σε 2^{η} ΜΑΑΚ μετά την οποία επιτεύχθηκε εγκατάσταση. Με διάμεσο χρόνο παρακολούθησης 78,1 μήνες (εύρος 2.10 – 187,57 μήνες) εν ζωή ευρίσκονται 14 ασθενείς. Κατέληξε 1 ασθενής, με δότρια τη συμβατή μητέρα του εξαιτίας ανθεκτικής χρόνιας GvHD.

Συμπέρασμα: Αν και ο αριθμός των παιδιών με W-As που αντιμετωπίστηκε στην Μονάδα μας είναι μικρός, φαίνεται ότι, σε συμφωνία και με τη διεθνή εμπειρία, η έκβαση της αλλογενούς μεταμόσχευσης μετά μυελοαφανιστικό σχήμα είναι πολύ ικανοποιητική, ανεξαρτήτως του είδους του δότη.