

# Őssejtekkel kezelhető betegségek

Csontvelői őssejteket az 1970-es évektől használják világszerte sikeresen a betegek gyógykezelésében, ugyanakkor sok betegségnél ma már a csontvelő alternatívájának tekintik a köldökzsinórvérből, illetve a köldökzsinór szövetéből nyerhető őssejteket. Az alábbiakban felsoroljuk azokat a betegségeket, amelyeknél az őssejt terápiát már alkalmazták, illetve ennek alkalmazása szóba jöhet.

## STANDARD THERÁPIÁK

### Leukaemiák

#### Akut leukaemia

- Akut lymphoblasztos leukaemia
- Akut myeloid leukaemia
- Akut bifenotípusos leukaemia
- Akut nem differenciált leukaemia

#### Krónikus leukaemia

- Krónikus myeloid leukaemia
- Krónikus lymphocytás leukaemia
- Juvenilis krónikus myeloid leukaemia
- Juvenilis myelomonocytás leukaemia

### Myelodiszplaziás szindrómák

- Refrakter anaemia
- Refrakter anaemia, gyűrűs sideroblastokkal
- Refrakter anaemia, blastszaporulattal
- Refrakter anaemia transzformáló blastszaporulattal
- Krónikus myelomonocytás leukaemia

### Lymphomák

- Hodgkin-kór
- Non-Hodgkin lymphoma
- Burkitt-lymphoma

### Öröklött vörösvértest rendellenességek

- Thalassemia
- Blackfan-Diamond anaemia
- Tiszta vörösvérsejt aplasia
- Sarlósejtes anaemia

### Egyéb proliferatív betegségek

#### Anaemiák

- Súlyos aplasztikus anaemia
- Congenitális dyserythropoetikus anaemia
- Fanconi anaemia
- Paroxysmális nocturnális hemoglobinuria
- Tiszta vörösvérsejt aplasia

#### Öröklött thrombocytopeniák

- Amegarakariocytás / veleszületett thrombocytopenia
- Glanzmann thrombasthenia

#### Myeloproliferatív betegségek

- Akut myelofibrosis
- Myelofibrosis myeloid metaplasziával (Myelofibrosis)
- Polycythemia vera
- Esszenciális thrombocytopenia

#### Öröklött immunrendszeri betegségek – súlyos kombinált immunhiány (SCID)

- SCID adenzin deamináz-hiány miatt
- SCID, X-kromoszómához kötött
- SCID, alacsony T és B-sejt számmal
- SCID, alacsony T, de normál B-sejt számmal
- Omenn-szindróma

#### Öröklött immunrendszeri betegségek – neutropenia

- Kostmann-szindróma
- Myelokathexis

#### Öröklött immunrendszeri betegségek – egyéb

- Ataxia telangiectasia
- Bare lymphocytá-szindróma
- Közöséges variábilis immundeficiencia
- DiGeorge-szindróma
- Leukocytá adhéziós rendellenesség
- Immundeficienciával kapcsolatos lymphoproliferatív betegségek
- X-kromoszómához kötött lymphoproliferatív szindróma
- Wiscott-Aldrich-szindróma

#### Fagocytá betegségek

- Chediak-Higashi-szindróma
- Krónikus granulomatózus betegség
- Neutrofil aktin hiány
- Reticularis dysgenesis

#### Plazmasejtes betegségek

- Myeloma multiplex
- Plazmasejtes leukaemia
- Waldenström makroglobulinaemia

#### Szolid tumorok

- Neuroblastoma
- Retinoblastoma

### Immunológiai betegségek és egyéb rendellenességek

- Porc-haj hypoplasia
- Günther-kór
- Hermansky-Pudlak-szindróma
- Pearson-szindróma
- Shwachman-Diamond szindróma
- Szisztémás mastocytosis

### Öröklött metabolikus rendellenességek

#### Mukopolyszacharidózisok

- Mukopolyszacharidózis
- Hurler-szindróma
- Scheie-szindróma

- Hunter-szindróma
- Sanfilippo-szindróma
- Morquio-szindróma
- Maroteaux-Lamy-kór
- Béta-glukuronidáz deficiencia
- Mucopolipidosis II

#### Leukodystrophiák

- Adrenoleukodystrophia / Adrenomyeloneuropathia
- Krabbe-betegség / Globoid-sejtes leukodystrophia
- Metachromatikus leukodystrophia
- Pelizaeus-Merzbacher betegség

#### Lysosomális raktározási betegség

- Gaucher-kór
- Neimann Pick-betegség
- Sandhoff-szindróma
- Tay-Sachs-szindróma
- Wolman-betegség

#### Öröklött betegségek – egyéb

- Lesh-Nyhan-szindróma
- Osteopetrosis

## KLINIKAI VIZSGÁLATOK

### Autoimmun betegségek

- Crohn betegség
- Diabetes mellitus, 1-es típus
- Lupus

### Központi idegrendszeri betegségek

- Újszülöttkori agysérülés
- Hypoxia, encephalopathia
- Szklerózis multiplex
- Traumás agysérülés
- Gerincsérülés

### Proliferatív betegségek, metabolikus rendellenességek

- Cysticus fibrosis

### Histiocytás betegségek

- Familiaris erythrophagocitás lymphohistiocytosis
- Hemophagocytosis
- Langerhans-sejtes histiocytosis

- Epidermolysis bullosa

### Gén terapia

- Glanzmann thrombasthenia
- Súlyos kombinált immunhiány (SCID)
- SCID adenzin deamináz-hiány miatt
- SCID, X-kromoszómához kötött
- Thalassemia
- Wiscott-Aldrich-szindróma

### Kardiális betegségek

- Myokardiális infarktus
- Angina
- Cardiomyopathia

### Daganatos betegségek

- Emlődaganat
- Ewing-szarkóma
- Vesesejt-carcinoma

### Egyéb szerv- és szövetregeneráció

- Látáskárosodás

#### Megjegyzések:

1. A lista nem teljes. A felsorolt kezelések közül némelyik jelenleg „klinikai vizsgálatnak” tekinthető. Nem mindegyik betegség gyógykezelése hozzáférhető minden országban.
2. Bizonyos országokban a felsorolt betegségeknek többféle változata és/vagy elnevezése is létezik.
3. Az őssejt-terápia nem mindig gyógyító jellegű, hanem némely esetben támogató jellegű kezelés.

#### Jogi nyilatkozat:

Attól függetlenül, hogy egy adott betegség a fenti listába belekerült, minden megbetegedés illetve annak kezelése egyedi klinikai eset. Minden esetben a kezelőorvos vagy éppen az őssejt-terápiában jártas szakértő véleménye az irányadó az adott eset kezelésének módjára.