



## DOENÇAS TRATÁVEIS

Nestes casos, o tratamento com células estaminais e progenitoras hematopoiéticas é eficaz e está totalmente comprovado, padronizado e generalizado. Para algumas destas doenças, as células estaminais e progenitoras hematopoiéticas são o único tratamento disponível. Para outras doenças, são só empregues quando os outros tratamentos disponíveis falham ou quando a doença é muito agressiva e rápida.

Existem dois tipos de transplante:

- **Alogénico**

Utilização de células estaminais de um dador compatível relacionado ou não relacionado.

- **Autólogo**

Utilização das células estaminais do próprio.

### Leucemias

Cancro do sistema imunitário sanguíneo, cancro dos leucócitos ou cancro dos glóbulos brancos

Diagnóstico	Alogénico	Autólogo
Leucemia Aguda Linfoblástica (ALL)	●	
Leucemia Aguda Mielogénica (AML)	●	
Leucemia Aguda Bifenotípica	●	
Leucemia Aguda Indiferenciada	●	
Leucemia Crónica Linfocítica (CLL)	●	
Leucemia Crónica Mielogénica (CML)	●	
Leucemia Crónica Mielogénica Juvenil (JCML)	●	
Leucemia Mielomonocítica Juvenil (JMML)	●	

### Síndromes Mielodisplásicas

Pré-Leucemia

Diagnóstico	Alogénico	Autólogo
Anemia Refratária	●	
Anemia Refratária com Sideroblastos em anel	●	
Anemia Refratária com excesso de Blastos	●	
Anemia Refratária com excesso de Blastos em transformação	●	
Leucemia Crónica Mielomonocítica (CMML)	●	

## Linfomas

Cancro dos leucócitos que circulam no sangue e nos gânglios linfáticos

Diagnóstico	Alogénico	Autólogo
Linfoma de Hodgkin	●	
Linfoma Não-Hodgkin (Linfoma de Burkitt)	●	

## Outras doenças de Proliferação de Células Sanguíneas

Diagnóstico	Alogénico	Autólogo
<b>Anemias</b> Deficiências ou malformações dos eritrócitos		
Anemia Aplástica	●	●
Anemia de Fanconi	●	
Anemia Congénita Diseritropoiética	●	
Hemoglobinúria Paroxística Nocturna (PNH)	●	
<b>Anomalias Hereditárias dos Eritrócitos</b> Os glóbulos vermelhos contêm hemoglobina e transportam oxigénio no corpo humano		
Doença das Células Falciformes	●	
Talassemia Beta Major (Anemia de Cooley)	●	
Anemia Blackfan-Diamond	●	
Aplasia Pura dos Eritrócitos	●	
<b>Anomalias Hereditárias das Plaquetas</b> Plaquetas são fragmentos dos megacariócitos necessários para que ocorra a coagulação		
Amegacariocitose, Trombocitopenia Congénita	●	
Trombastenia de Glanzmann	●	
<b>Doenças Imunitárias do Sistema Imune:</b> Imunodeficiência Severa Combinada (SCID)		
SCID com Deficiência em Adenosina-Desaminase (ADA-SCID)	●	
SCID ligada ao Cromossoma X	●	
SCID com ausência de Células T e Células B	●	
SCID com ausência de Células T e com Células B normais	●	
Síndrome de Omenn	●	

Diagnóstico	Alogénico	Autólogo
<b>Doenças Imunitárias do Sistema Imune:</b> Neutropenias		
Síndrome de Kostmann	•	
Mielocatexia	•	
<b>Doenças Imunitárias do Sistema Imune:</b> Outras		
Ataxia-Telangiectasia	•	
Síndrome dos Linfócitos Lisos	•	
Imunodeficiência Variável Comum	•	
Síndrome de DiGeorge	•	
Linfohistiocitose Hemafagocítica	•	
Deficiência da Adesão dos Leucócitos	•	
Doenças Linfoproliferativas (LPD)	•	
Doença Linfoproliferativa ligada ao Cromossoma X	•	
Síndrome de Wiskott-Aldrich	•	
<b>Doenças Mieloproliferativas</b>		
Mielofibrose Aguda	•	
Mielofibrose	•	
<i>Polycythemia Vera</i>	•	
Trombocitogenia Essencial	•	
<b>Doença dos Fagócitos</b> Fagócitos são células do sistema imune especializadas na morte e digestão de microrganismos e células estranhas		
Síndrome de Chediak-Higashi	•	
Doença Crónica Granulomatosa	•	
Deficiência dos Neutrófilos em Actina	•	
Disgenesia Reticular	•	
<b>Neoplasias da Medula Óssea</b>		
Mieloma Múltiplo	•	•
Leucemia dos Plasmócitos	•	•
Macroglobulinemia de Waldenstrom	•	•

## Transplantes para Doenças Hereditárias do Sistema Imunitário e outros Orgãos

Diagnóstico	Alogénico	Autólogo
Hipoplasia da Cartilagem e do Cabelo	•	
Porfíria Eritropoiética	•	
Síndrome de Hermansky-Pudlak	•	
Síndrome de Pearson	•	
Síndrome de Shwachman-Diamond	•	
Mastocitose Sistémica	•	

## Transplantes para Doenças Metabólicas Hereditárias

Diagnóstico	Alogénico	Autólogo
<b>Doenças de acumulação de Mucopolisacaridoses (MPS)</b>		
Síndrome de Hurler (MPS-IH)	•	
Síndrome de Scheie (MPS-IS)	•	
Síndrome de Hunter (MPS-II)	•	
Síndrome de Sanfilippo (MPS-III)	•	
Síndrome de Morquio (MPS-IV)	•	
Síndrome Maroteaux-Lamy (MPS-VI)	•	
Síndrome de Sly (MPS-VII)	•	
Mucopolidoses tipo II	•	
<b>Leucodistrofias</b>		
Adrenoleucodistrofia (ALD)	•	
Doença de Krabbe	•	
Leucodistrofia Metacromática	•	
Doença de Pelizaeus-Merzbacher	•	
<b>Doenças de acumulação dos Lisossomas</b>		
Doença de Niemann-Pick	•	
Doença de Sandhoff	•	
Doença de Wolman	•	
<b>Outras doenças Metabólicas Hereditárias</b>		
Síndrome de Lesch-Nyhan	•	
Osteopetrose	•	

## Outros Cancros

Sem origem nas células sanguíneas ou no sistema imunitário

Diagnóstico	Alogénico	Autólogo
Neuroblastoma		●
Retinoblastoma		●
Meduloblastoma		●

## DOENÇAS COM TRATAMENTO EM FASE DE ENSAIO CLÍNICO

Um ensaio clínico é um estudo em humanos para uma terapia emergente que ainda não foi considerada uma terapia padronizada.

Poderá consultar os vários ensaios clínicos a decorrer em [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov).

### Lesão Neurológica

- Paralisia Cerebral
- Encefalopatia isquémica hipóxica (HIE)
- Lesão medular (Espinal Medula)
- Autismo
- Perda de audição (sensoneural adquirida)

### Cardiovascular

#### Defeitos Congénitos:

- Suporte para cirurgia cardíaca aberta
- Síndrome do Coração Hipoplástico Esquerdo (HLHS)
- Enxerto Vascular

#### Isquemia:

- Isquemia crítica distal dos membros
- Síndrome Compartimental (Trauma Battlefield)
- Enfarte Isquémico
- Doença Cardíaca Isquémica

#### Reparação Cardíaca:

- Enfarte do Miocárdio
- Cardiomiopatia

### Ortopédico

- Reparação de fenda palatina
- Reparação da cartilagem do joelho

### Doenças Auto-imunes

- Esclerose Amiotrófica Lateral
- Doença de Crohn
- Diabetes tipo I
- Doença do enxerto vs hospedeiro (GvHD)
- Transplante renal plus células estaminais
- Lupus
- Esclerose Múltipla
- Artrite Reumatóide
- Escleroderma

### Terapia Genética para doenças Hereditárias

- Adrenoleucodistrofia
- Doença Crónica Granummatulosa ligada ao Cromossoma X
- Anemia de Fanconi
- HIV (Vírus da Imunodeficiência Humana)
- Imunodeficiência Severa Combinada
- Leucodistrofia Metacromática
- Sickle Cell
- Talassémias
- Síndrome de Wiskott-Aldrich