

Jongen (4) met Blackfan-Diamond anemie behandeld met stamcellen uit navelstrengbloed zusje

In Spanje is een vierjarige jongen behandeld voor de ernstige bloedziekte Blackfan-Diamond anemie (hierna 'BDA') met een transplantatie van stamcellen uit het navelstrengbloed van zijn zusje. De stamcellen waren opgeslagen bij Cryo-Save, via het gratis donatieprogramma. De transplantatie was succesvol en het kind zal naar verwachting helemaal genezen.

De transplantatie werd op 25 april uitgevoerd in het Hospital del Niño Jesús in Madrid, één van de belangrijkste kindziekenhuizen van Spanje. Het is de eerste transplantatie die in dit land werd uitgevoerd voor de behandeling van BDA met een cryogepreserveerde staal die afkomstig was uit de familiestamcelbank Cryo-Save in Spanje (Crio-Cord).

Deze behandeling werd uitgevoerd dankzij het gratis donatieprogramma van Cryo-Save, waarbij stamcellen uit navelstrengbloed en -weefsel zonder extra kosten worden opgeslagen voor gezinnen met een gezinslid waarbij een ziekte gediagnosticeerd is die met stamcellen behandeld kan worden.

Verbetering van leven

Deze baanbrekende behandeling in Spanje kan een radicale verbetering van de kwaliteit van leven van dit kind inluiden, aangezien de jongen al sinds zijn geboorte regelmatig bloedtransfusies moest ondergaan. "Tot de transplantatie werd ons leven door die transfusies beheerst. Wij kunnen ons geluk niet op, omdat onze zoon nu een volledig normaal leven kan leiden," vertelt Elena, de moeder van de jongen.

De ouders ontdekten deze behandelingsmogelijkheid pas toen Elena in verwachting was van haar dochter, die de donor van het navelstrengbloed was. Ze hebben geen moment gearzeld. "Dit bood ons de kans om onze zoon weer beter te laten worden als de staal compatibel was, en dat was een kans die we niet mochten missen," vertelt ze. "Onze dochter zal heel blij zijn wanneer zij te horen krijgt dat haar broer dankzij haar beter geworden is."

Blackfan-Diamond anemie

"BDA is een aangeboren ziekte die verhindert dat het beenmerg de rode bloedcellen produceert die nodig zijn voor het zuurstoftransport door het lichaam," vertelt Dr. Luis Madero, hoofd van de onco-hematologische afdeling van het ziekenhuis *Niño Jesús* in Madrid. Hij is de arts die de transplantatie heeft uitgevoerd.

Tot voor kort bestond de belangrijkste behandeling van BDA uit periodieke transfusies van rode bloedcellen, die de kwaliteit van leven van de patiënt duidelijk beïnvloeden, en uit langdurige corticosteroïdentherapie, die niet in alle gevallen verdragen wordt. "De transplantatie van stamcellen uit het navelstrengbloed, vooral tussen broers en zusters, is nu voor sommige typen hematologische aandoeningen zoals BDA een aanbevolen behandeloptie. Het biedt duidelijke voordelen ten opzichte van andere behandelingen van deze aandoening," vertelt Dr. Madero. Dit wordt door verschillende studies bevestigd.

Gratis donatieprogramma

Zodra zij van Cryo-Save hadden gehoord dat er een behandelingsmogelijkheid was, kwam de familie van de jongen in aanmerking voor het gratis donatieprogramma van Cryo-Save. "Cryo-Save vertelde ons over het bestaan van dit programma toen wij opbelden voor informatie over het opslaan van het navelstrengbloed van ons dochtertje. Omdat wij aan de eisen voldeden, hebben wij de verschillende procedures in werking gesteld en zodra onze deelname aan het programma goedgekeurd was, kregen we het geweldige nieuws dat onze kinderen compatibel waren," vertelt Elena. "Bovendien was dankzij het programma een bevestiging mogelijk van de diagnose van de ziekte, die tot op dat moment niet duidelijk was." Alle tests die de patiënt en zijn zusje moesten ondergaan, zijn door Dr. Luis Madero gecoördineerd.

Het gratis donatieprogramma bestrijkt ook het hele proces dat voor de uitvoering van de transplantatie moet worden doorlopen: van de benodigde analyses van de staal om de compatibiliteit met de te behandelen patiënt te garanderen en de coördinatie van de behandeling tot en met het transport van de staal van de opslagfaciliteit van de Cryo-Save Group in België naar het ziekenhuis waar de behandeling plaatsvindt. Dit alles vindt binnen de Europese Unie zonder berekening van kosten plaats.

Voorwaarden

Om in aanmerking te komen voor het programma moet bij een familielid een ziekte gediagnosticeerd zijn die momenteel met stamcellen kan worden behandeld. Dit moet een eerstegraads-bloedverwant zijn van de pasgeborene bij wie de stamcellen afgenomen worden en de stamcelbehandeling moet door een oncoloog of hematoloog zijn aanbevolen. Als de deelname aan het programma wordt goedgekeurd, ontvangt de familie een afnameset. Bij de geboorte wordt de staal afgenomen en vervolgens verwerkt en opgeslagen totdat deze gebruikt moet worden, dit alles zonder berekening van kosten.

"Wij zijn heel trots en blij dat wij hebben kunnen helpen om het leed voor dit gezin te verzachten. Cryo-Save wil graag laten zien dat zij zich gecommitteerd heeft aan de ontwikkeling en het welzijn van de maatschappij, niet alleen via samenwerkingsprogramma's met onderzoekers en universiteiten, maar ook door de directe steun aan gezinnen in nood door middel van ons donatieprogramma," zegt Arnoud van Tulder, de Chief Executive Officer van Cryo-Save.

Meer over Blackfan-Diamond Anemie

De bloedziekte BDA doet zich in de algemene bevolking van Europa bij circa 1 op de 150.000 mensen voor. Deze zeldzame ziekte, die bij mannen en vrouwen evenveel voorkomt, wordt meestal gedurende de eerste twee levensjaren ontdekt. De belangrijkste symptomen zijn bleekheid en kortademigheid, vooral tijdens het (borst)voeden. De helft van alle patiënten met BDA is klein en heeft aangeboren afwijkingen, met als belangrijkste schedel- en gezichtsafwijkingen en genito-urinaire en duimafwijkingen. BDA-patiënten lopen het hoge risico om leukemie en kanker te krijgen. In sommige gevallen is BDA erfelijk en wordt het in een autosomaal dominant patroon met variabele penetrantie overerfd. Momenteel zijn de mutaties die de ziekte veroorzaken bij ca. 40%-45% van de patiënten geïdentificeerd.

Bevestiging van de diagnose is mogelijk door middel van de familiehistorie, aanverwante misvormingen en verhoogde niveaus van adenosine-deaminase (ADA) in de rode bloedlichaampjes. In familiegevallen is de kans op herhaling 50%. In alle gevallen wordt een goede controle door middel van echo's tijdens de zwangerschap geadviseerd, omdat een zwangerschap waarbij de baby BDA heeft voor zowel moeder als kind als hoog-risicozwangerschap beschouwd wordt. De ernst van de ziekte is afhankelijk van de kwaliteit van de door de patiënt ontvangen zorg en zijn of haar reactie op de behandeling.

Over Cryo-Save

Cryo-Save, de toonaangevende familiestamcelbank, heeft meer dan 225.000 stalen van bloed- en navelstrengweefsel opgeslagen. Sinds de eerste succesvolle transplantatie van navelstrengbloed in 1988 is navelstrengbloed met succes ingezet voor de behandeling van meer dan 70 levensbedreigende aandoeningen, waaronder leukemie, lymfoom, sikkelcelanemie, aplastische anemie en andere bloedziektes. Transplantaties met stamcellen uit de navelstreng worden erkend als alternatief voor beenmergtransplantatie. Tot op heden zijn er wereldwijd al meer dan 25.000 navelstrengstamceltransplantaties uitgevoerd voor niet-verwante ontvangers, familieleden en in sommige gevallen voor de patiënt zelf. Cryo-Save heeft cryogepreserveerde stalen uit meer dan 70 landen uit zes continenten in opslag en beschikt over ultramoderne verwerkings- en opslagfaciliteiten in België, Duitsland, Dubai, India en Zuid-Afrika.

www.medicalfacts.nl/2013/05/02/