


# MEDICINA

BOLETÍN 2008 - 006

## Regenerativa

- 
- Exitoso tratamiento de la enfermedad celiaca con células madre.
  - La FDA se pronuncia sobre la cryo-preservación de células madre del cordón umbilical.



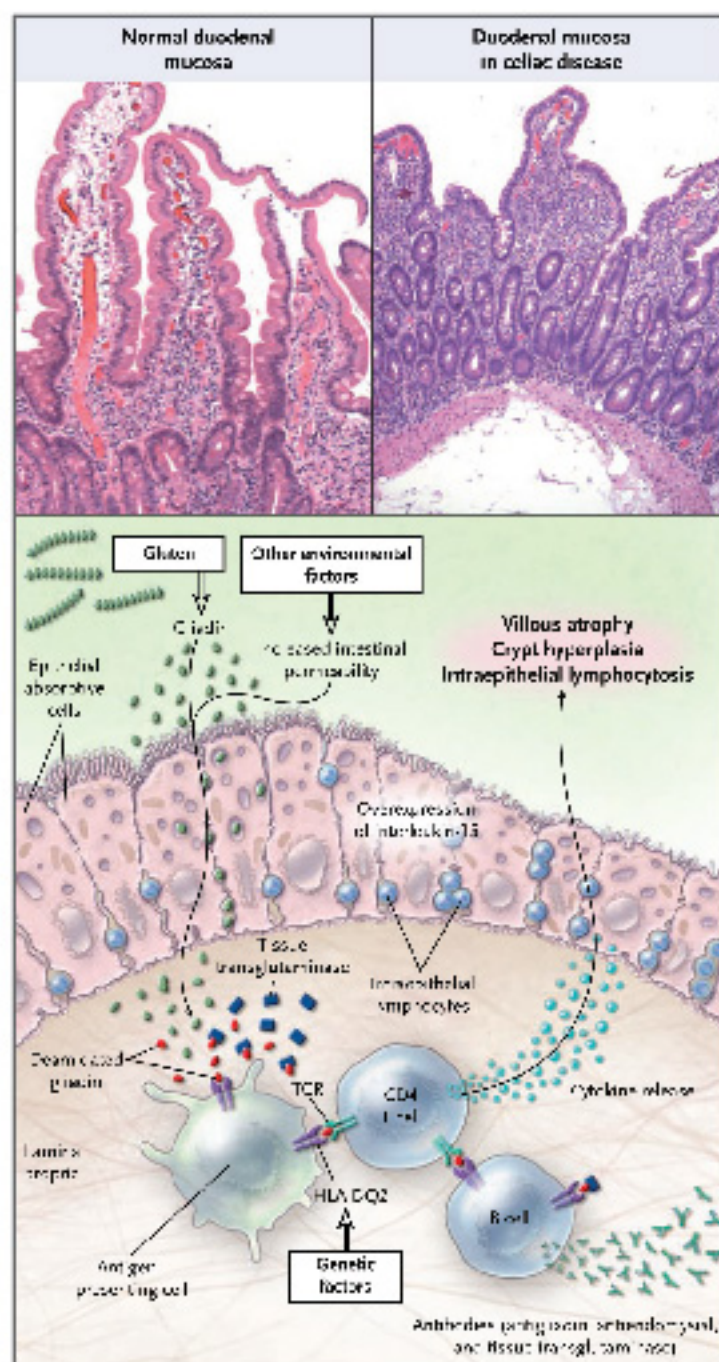
**CryoMed**  
Bajo Licencia de CryoCell

## ENFERMEDAD CELÍACA

Peter H.R. Green y Christophe Cellier

New England Journal of Medicine 2007; 357:1731-43

La Enfermedad Celíaca (EC) es un desorden auto-inmune único, ya que su desencadenante ambiental es conocido; la enfermedad celíaca es precipitada, en pacientes genéticamente predispuestos, por la ingesta de gluten, la principal proteína del trigo y granos similares. La gliadina es la fracción soluble del gluten, que causa en pacientes con esta enfermedad una reacción inflamatoria, caracterizada por la infiltración de la lámina propia y del epitelio con células inflamatorias crónicas y atrofia vililar. La enfermedad celíaca no se desarrolla si la persona no presenta genes alelos que codifiquen HLA-DQ2 o HLA-DQ8.



La incidencia de Enfermedad Celíaca es del 1% tanto en niños como en adultos, sin embargo, se considera que la mayoría de pacientes están sub-diagnosticados; las mujeres adultas tienen de 2 a 3 veces mayor riesgo que los hombres de presentarla.

Las manifestaciones clínicas varían según el grupo etario, en general los pacientes presentan diarrea, dolor abdominal, distensión abdominal, problemas de crecimiento, anemia ferropénica y osteoporosis. El diagnóstico se establece por la mejoría clínica luego de la dieta, biopsia de la mucosa intestinal y presencia de marcadores serológicos, especialmente de anticuerpos IgA anti-endomisial, IgG/IgA anti-gliadina y transglutaminasa tisular IgA.

El único tratamiento aceptado es la terapia nutricional, es decir, evitar la ingesta de gluten; sin embargo, existe una mala respuesta hasta en un 30% de pacientes, y un 5% de pacientes presentarán Enfermedad Celíaca Refractaria (ECR), definida como la persistencia de síntomas y atrofia vililar a pesar de una dieta adecuada; los pacientes con enfermedad refractaria no tienen muchas opciones de tratamiento, las terapias inmuno-supresoras no han demostrado curar la enfermedad. Estudios preliminares han demostrado que los trasplantes autólogos y heterólogos de células madre hematopoyéticas son exitosos y promisorios.

## TRASPLANTE AUTÓLOGO DE CÉLULAS MADRE HEMATOPOYÉTICAS EN ENFERMEDAD CELÍACA REFRACTARIA CON CÉLULAS T ABERRANTES

Abdulbaqi Al-toma, Otto J. Visser, et al.

Blood Marzo 2007; 109(5):2243-2249



El Trasplante Autólogo de Células Madre Hematopoyéticas (TACM), es un tratamiento cada vez más aceptado para enfermedades autoinmunes refractarias. La Enfermedad Celíaca Refractaria con células T aberrantes no responde a las terapias disponibles y tiene un gran riesgo de convertirse en enteropatía asociada a linfomas de células T.

Este estudio respalda el empleo, la seguridad y eficacia del TACM en pacientes con ECR tipo II. Trece pacientes con ECR tipo II fueron incluidos en el estudio, siete de ellos (3 mujeres, 4 hombres, promedio de edad 61.5 años) fueron trasplantados después de haber

recibido una terapia de acondicionamiento con fludarabina y melfalan. Los pacientes fueron monitorizados para evaluar la respuesta, efectos adversos y reconstitución hematológica. El injerto se produjo en todos los pacientes. No se observó toxicidad hematológica ni mortalidad relacionada con los trasplantes. Hubo una reducción significativa de las células T aberrantes en las biopsias duodenales, asociadas con una mejora clínica y normalización de los marcadores hematológicos y bioquímicos (promedio de seguimiento: 15.5 meses). Un paciente murió a los 8 meses post-trasplante por enfermedad neuro-celíaca. Estos resultados preliminares demuestran que dosis altas de quimioterapia seguidas de un TACM es factible y seguro, y podrían resultar en una mejora a largo plazo de pacientes con Enfermedad Celíaca Refractaria que no responden a las drogas terapéuticas convencionales.

## CORRECCIÓN DE LA ENFERMEDAD CELÍACA DESPUÉS DE TRASPLANTE ALOGÉNICO DE CÉLULAS MADRE HEMATOPOYÉTICAS PARA LEUCEMIA MIELOIDEA AGUDA

Ronald M. Kiine, Steven M.L. Neudorf, y Howard I. Baron.

Pediatrics Octubre 2007; 120(4): e1120-e1122

El Trasplante Alogénico de Células Madre Hematopoyéticas ha demostrado corregir y mejorar varias enfermedades autoinmunes. Esto no había sido investigado para Enfermedad Celíaca. En este artículo reportamos el caso de una niña de 12 años quien había sido diagnosticada de EC a los 2 años de edad por presentar cuadro de diarrea, IgA e IgG anti-gliadina positivos y biopsia duodenal con infiltración crónica y atrofia vililar, la niña presentó mejoría con la dieta libre de gluten. A los 9 años de edad, por presentar trombocitopenia y anemia, fue diagnosticada por punción medular de Leucemia Mieloidea Aguda tipo M1; recibió un protocolo con 4 ciclos de quimioterapia y entro en remisión, los match de HLA en su familia revelaron que su hermano era compatible, la paciente fue preparada con terapia de

acondicionamiento para un trasplante de células madre hematopoyéticas. La paciente recibió 4 dosis de metotrexate y ciclosporina para evitar la enfermedad injerto contra huésped, complicación que no se presentó. Inmediatamente de reiniciada una dieta general la niña no presentó ninguna sintomatología digestiva.

El seguimiento a los 3 ½ años post-trasplante no demostró evidencia serológica de EC (anticuerpos anti-gliadina y transglutaminasa negativos con IgA normales). La paciente no ha recibido medicación inmuno-supresora por más de dos años, no ha demostrado evidencia de enfermedad injerto contra huésped y no presenta evidencia serológica ni histopatológica de enfermedad celíaca a pesar de la dieta normal.

## CRITERIO FDA



U.S. Food and Drug Administration

La FDA registra en el último año más de 1.400 estudios clínicos con células madre  
2008/02/13

Un gran número de médicos confía en que la aplicación terapéutica de células madre adultas representen en el futuro una opción para el tratamiento de muchas enfermedades que hasta ahora sólo han podido ser tratadas de manera insuficiente. Los esfuerzos en el campo de la investigación que se están llevando a cabo en este ámbito son la prueba de la importancia que se concede a este tipo de terapias: sólo en el último año la FDA ha registrado más de 1.400 estudios clínicos con células madre.

Como fuente para la obtención de células

madre adultas se utiliza en estos momentos, sobre todo, médula ósea, sangre periférica y cada vez en mayor medida sangre del cordón umbilical. Esta última tiene la ventaja de que contiene células madre jóvenes, especialmente vitales, con un elevado potencial de diferenciación y regeneración. Por ello, existe la esperanza de que con la aplicación de estas células, en comparación con las procedentes de médula ósea, se puedan conseguir mejores resultados terapéuticos. Por otra parte, las células madre procedentes de sangre del cordón umbilical no contienen, por regla general, ningún tipo de virus u otros agentes patógenos y en caso de necesidad están disponibles de inmediato.

La cantidad de estudios registrados por la FDA, el organismo más importante a nivel internacional en materia de regulación de fármacos, subraya "Estamos en un momento donde se va conservando la sangre de aquellos bebés cuyos padres lo deciden, y esto permitirá, siempre y cuando se conserven bajo estrictas normas de control y calidad, su aplicación futura. La ciencia, en general, da pocos pasos hacia atrás y veremos avances, en los próximos años, que ahora nos resultan casi de ciencia ficción".

## NOTICIAS CRYO-MED

La sonrisa de más de 100 niños que agasajamos en su día, nos alentó a seguir con nuestra misión de proteger la salud de las futuras generaciones.



Quito: Telfs.:(593 2) 246 5045 246 9738 / 245 6171 Col: (593 9) 2416081

Guayaquil: Telfs.:(593 4) 239 5327 228 3974 Col.: (593 9) 2479804

Cuenca: Telfs.:(593 7) 281 1061 Col.:(593 9) 2479755 / 2479878.