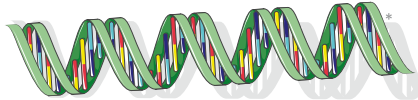


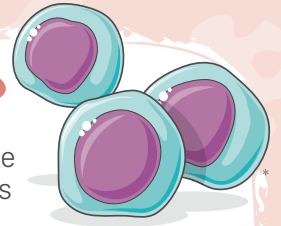
Terapia Génica EX-VIVO

¿Qué es?

- Puede ser el **tratamiento definitivo** de algunas **inmunodeficiencias primarias** (IDP) con causa genética conocida.
- Es la **reparación del defecto genético** (del ADN) directamente en las células de defensa del cuerpo.



¿Cómo se hace?



- Se extraen las células madre de la fábrica de las defensas (médula ósea) del paciente.
- Se repara el error del ADN de las células en el laboratorio.
- Se devuelven a la médula ósea.

Es parecido a un trasplante de médula ósea propio (autólogo).

1er paso

Extraer las células madre de la fábrica de las defensas (médula ósea) de dos formas diferentes:

- Aféresis: como una donación de sangre gracias a un tratamiento previo con factor.
- Aspiración: extracción de la médula ósea gracias a una aguja bajo sedación.

2º paso



- **Hacer sitio** a las nuevas células (acondicionamiento).
- Ingreso en el hospital (habitaciones de aislamiento) durante unas 3 semanas.
- Con medicamentos: quimioterapia habitualmente más suave que la quimioterapia tradicional.

3er paso

- En el laboratorio se **sustituye el ADN** que no funciona dentro de las células gracias a un virus (vector) que hace de transportador.
- Transfusión de las células reparadas al cuerpo del paciente.
- Esperar a que las **células reparadas** se cojan bien a la médula ósea (implantación) y se multipliquen (proliferación).

¿Qué puede pasar?



- Infecciones mientras las células reparadas aún no funcionan.
- Toxicidad de la quimioterapia.
- Recuperación parcial de las defensas.
- Necesidad de transfusiones de sangre o plaquetas.
- A largo plazo algunos casos de malignidad.

...¿y después?

- Para casa si no hay complicaciones.
- Controles frecuentes durante el primer año.
- Medicación frecuente.
- Poco a poco, retorno a la vida normal y curación.



Dónde encontrar más información

Consultar todas las dudas al equipo médico de referencia.

- pidfoundationbcn.org
- primaryimmune.org
- acadip.org
- info4pi.org
- ipopi.org
- fundacionmencia.org