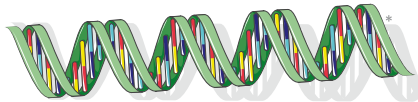


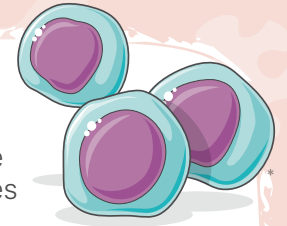
Teràpia Gènica EX-VIVO

Què és?

- Pot ser el **tractament definitiu** d'algunes **immunodeficiències primàries (IDP)** amb causa genètica coneguda.
- És la **reparació del defecte genètic** (de l'ADN) directament en les cèl·lules de defensa del cos.



Com es fa?



- Es treuen les cèl·lules mare de la fàbrica de les defenses (moll d'os) del pacient.
- Es repara l'error de l'ADN de les cèl·lules al laboratori.
- Es tornen al moll d'os.

És semblant a un trasplantament de moll d'os propi (autòleg).

1er pas

Treure les cèl·lules mare de la fàbrica de les defenses (moll d'os) de dues maneres diferents:

- Afèresi: com una donació de sang gràcies a un tractament previ amb factor.
- Aspiració: extracció del moll d'os gràcies a una agulla sota sedació.

2on pas



- **Fer lloc** per les noves cèl·lules (acondicionament).
- Ingrés a l'hospital (habitacions d'aïllament) unes 3 setmanes.
- Amb medicaments: quimioteràpia habitualment més suau que la quimioteràpia tradicional.

3er pas

- Al laboratori es **substitueix l'ADN** que no funciona dins de les cèl·lules gràcies a un virus (vector) que fa de transportador.
- Transfusió de les cèl·lules reparades al cos del pacient.
- Esperar que les **cèl·lules reparades** s'agafin bé al moll d'os (implantació) i es multipliquin (proliferació).

Què pot passar?

- Infeccions mentre les cèl·lules reparades encara no funcionin.
- Toxicitat de la quimioteràpia.
- Recuperació parcial de les defenses.
- Necessitat de transfusions de sang o plaquetes.
- A llarg termini algun casos de malignitat.



...i després?

- Cap a casa si no hi ha complicacions.
- Controls sovint durant el primer any.
- Medicació freqüent.
- A poc a poc, retorn a la vida normal i curació.



On trobar més informació

Consultar tots els dubtes a l'equip mèdic de referència.

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