

BEIKE BIOTECHNOLOGY

Estudo de caso de paciente

Ataxia

Male, 11 Anos, fevereiro 2023

Resumo

Diagnóstico	Sexo	Idade	Nacionalidade
Ataxia	Male	11 Anos	Austrália
Injeções	Tipo de células	Data de entrada	Data de saída
8	UCMSC	julho 2023	agosto 2023

Histórico médico

O doente, um jovem do sexo masculino nascido em 2012, na Austrália, foi diagnosticado com Ataxia de Friedreich (FRDA), um tipo de ataxia. O percurso médico do doente começou quando, aos seis anos de idade, apresentou sinais de falta de jeito, que se foram agravando progressivamente ao longo do tempo. O seu diagnóstico inicial revelou uma ataxia visível, caracterizada por queda do pé, diminuição da batida do calcanhar bilateralmente, arcos elevados nos pés e escoliose. À medida que a doença avançava, o doente começou a sentir fraqueza nos membros inferiores, necessitando de assistência para actividades de equilíbrio e marcha em tandem. Atualmente, depende de um andarilho para se deslocar devido ao aumento das dores nas pernas e à fadiga. Além disso, enfrenta dificuldades na articulação da fala, na caligrafia e nas tarefas quotidianas, o que tem impacto nas suas interações sociais e no seu desempenho académico. Apesar das terapias em curso e das ajudas de assistência, a condição do doente continuou a deteriorar-se, o que levou ao envolvimento com o Esquema Nacional de Seguro de Invalidez para obter apoio.

Condition On Admission

O doente tem dificuldade em andar sem apoio e sente fraqueza nas pernas, necessitando de utilizar um andador para se deslocar. A sua fala está a deteriorar-se gradualmente, afectando a sua capacidade de participar em conversas coerentes. As capacidades de caligrafia do doente estão significativamente abaixo da média para a sua faixa etária e ele tem dificuldades em segurar lápis e talheres durante períodos prolongados. Além disso, apresenta nistagmo ligeiro, tremor de intenção e dismetria nos membros superiores. O seu estado de saúde levou a limitações nas actividades diárias, tarefas escolares e interações sociais. Apesar das intervenções como a fisioterapia, a terapia ocupacional e as consultas médicas regulares, a sua capacidade funcional continua a diminuir, o que realça a necessidade de apoio e gestão contínuos para melhorar a sua qualidade de vida.

Cronograma de tratamento

O doente recebeu 8 pacotes de células estaminais derivadas do cordão umbilical (UCMSC) por injeção intravenosa (IV) e por injeção intratecal através de punção lombar (PL), de acordo com o esquema abaixo:

Number	Date	Cell Type	Delivery Method	Side Effects
1	2023-08-01	UCMSC	Injeção intratecal & Injeção intravenosa	nenhum relatado
2	2023-08-07	UCMSC	Injeção intratecal	nenhum relatado
3	2023-08-10	UCMSC	Injeção intratecal & Injeção intravenosa	nenhum relatado
4	2023-08-14	UCMSC	Injeção intratecal	nenhum relatado
5	2023-08-17	UCMSC	Injeção intratecal & Injeção intravenosa	nenhum relatado

Condição ao sair

Após o tratamento, registaram-se melhorias gerais da condição física, com pequenas melhorias no equilíbrio em pé. O doente tem dores moderadas no peito e foram observadas melhorias no equilíbrio, no controlo dos movimentos e na coordenação. Verifica-se uma melhoria significativa da fadiga, do mau humor ou da ansiedade e da rigidez muscular, enquanto se registam pequenas melhorias nos movimentos finos das mãos e na deglutição. Observa-se uma melhoria moderada na capacidade de andar. O doente continua a registar melhorias, embora o médico não as tenha confirmado. Os pais estão satisfeitos com o resultado do tratamento e não foi administrado qualquer tratamento adicional após o tratamento com células estaminais.

Sintoma	Avaliação da melhoria pelos pais
Equilíbrio	Pequena melhoria
Controlo do movimento	Melhoria moderada
Coordenação	Pequena melhoria
Fadiga	Melhoria significativa
Humor baixo ou ansiedade	Melhoria significativa
Rigidez muscular	Melhoria significativa
Deglutição	Melhoria moderada
Andar	Melhoria moderada
Movimentos finos das mãos	Pequena melhoria

Condição um mês após o tratamento

A condição física geral do paciente melhorou notavelmente, com aumento da força e do apetite. Verificou-se uma melhoria significativa da qualidade de vida do doente, embora o médico não tenha confirmado essa melhoria. Apesar de não ter recebido qualquer tratamento adicional após a terapia com células estaminais, os sintomas gerais do doente registaram alterações positivas. Especificamente, verificou-se uma melhoria notável no equilíbrio, na coordenação, no controlo dos movimentos, nos movimentos finos das mãos, na diminuição do humor ou da ansiedade, na deglutição e na capacidade de andar. O doente apresenta agora um melhor equilíbrio, pode caminhar sem ajuda em distâncias curtas e pode levantar-se sem ajuda de uma posição sentada, o que indica uma melhoria substancial da mobilidade e da independência.

Sintoma	Avaliação da melhoria pelos pais
Equilíbrio	Melhoria significativa
Controlo do movimento	Melhoria significativa
Coordenação	Melhoria significativa
Fadiga	Melhoria significativa
Movimentos finos das mãos	Melhoria significativa
Humor baixo ou ansiedade	Melhoria significativa
Deglutição	Melhoria significativa

Andar	Melhoria significativa
-------	------------------------

Condição 3 meses após o tratamento

Três meses após o tratamento, o paciente registou melhorias significativas na sua condição física geral, com uma redução notável dos níveis de fadiga. O exercício regular ajudou a manter o tônus muscular e a fortalecer o núcleo, contribuindo para a melhoria da qualidade de vida do doente. Apesar da ausência de confirmação por parte do médico, o doente e os seus acompanhantes estão satisfeitos com o resultado do tratamento e continuam a observar melhorias contínuas. Três meses após o tratamento, o equilíbrio e a coordenação do paciente registaram melhorias moderadas a significativas, bem como melhorias significativas no controlo dos movimentos, nos movimentos finos das mãos, no humor ou ansiedade baixos e na rigidez muscular. A capacidade de andar também melhorou significativamente, permitindo que o doente se levante e se transfira com maior independência, embora ainda necessite de alguma assistência.

Sintoma	Avaliação da melhoria pelos pais
Equilíbrio	Melhoria moderada
Controlo do movimento	Melhoria moderada
Coordenação	Melhoria significativa
Fadiga	Melhoria significativa
Movimentos finos das mãos	Melhoria significativa
Humor baixo ou ansiedade	Melhoria significativa
Rigidez muscular	Melhoria significativa
Andar	Melhoria significativa