

BEIKE BIOTECHNOLOGY

Estudo de caso de paciente

Optic Nerve Hypoplasia (ONH) / Septo-optic Dysplasia (SOD)

Male, 1 Anos, fevereiro 2022

Resumo

Diagnóstico	Sexo	Idade	Nacionalidade
Optic Nerve Hypoplasia (ONH) / Septo-optic Dysplasia (SOD)	Male	1 Anos	EUA
Injeções	Tipo de células	Data de entrada	Data de saída
8	UCMSC	fevereiro 2022	fevereiro 2022

Histórico médico

O paciente, nascido em 2020, com um diagnóstico primário de hipoplasia do nervo ótico com displasia septo-ótica (ONH-SOD), apresenta atrasos na mobilidade e deficiências visuais, dificultando a sua capacidade de seguir os brinquedos. O seu historial de tratamento inclui injeção de acetato de desmopressina para a diabetes insípida e medicação diária com sintróide. Além disso, o doente sofre de obstipação desde o nascimento. Ele relatou uma alergia à medicação Netflux. Existe incerteza quanto à visão do doente para além da perceção da luz.

Condition On Admission

O doente, apesar da perceção da luz, não tem a certeza da extensão da sua visão. Tem obstipação desde o nascimento, mas não tem outros problemas digestivos ou doenças transmissíveis. Não há historial de tumores, problemas respiratórios,

problemas cardiovasculares ou necessidade de equipamento médico especializado. O principal objetivo médico é melhorar a visão, particularmente na percepção de objectos grandes. O doente procura tratamento o mais rapidamente possível para resolver o seu problema.

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	2022-02-10	UCMSC	Injeção intratecal & Injeção intravenosa	nenhum relatado
2	2022-02-14	UCMSC	Injeção intratecal & Injeção intravenosa	nenhum relatado
3	2022-02-17	UCMSC	Injeção intratecal & Injeção intravenosa	nenhum relatado
4	2022-02-21	UCMSC	Injeção intratecal & Injeção intravenosa	nenhum relatado

Condição um mês após o tratamento

Após o tratamento com células estaminais, o doente registou algumas melhorias na mobilidade, força, equilíbrio e alimentação. Registaram-se melhorias gerais da condição física, embora pequenas, com melhor consciência espacial e capacidades de navegação. Embora a visão do doente tenha melhorado, em particular no que diz respeito ao nistagmo e à cegueira, outros aspectos visuais, como a capacidade de ver a curta distância e os campos visuais, registaram apenas pequenas melhorias. A capacidade do doente para focar os olhos rapidamente, manter os olhos focados durante muito tempo e contar os dedos não registou qualquer melhoria. Apesar destes resultados variáveis, a qualidade de vida global melhorou ligeiramente de acordo com a avaliação dos pais.

Sintoma	Avaliação da melhoria pelos pais
Capacidade de ver coisas a curta distância	Pequena melhoria
Cegueira	Pequena melhoria

Nistagmo (movimento descontrolado dos olhos)	Pequena melhoria
Campo visual	Pequena melhoria

Condição 3 meses após o tratamento

Após o tratamento com células estaminais, a condição física geral do doente registou pequenas melhorias, nomeadamente a nível da força. Embora se verifique uma ligeira melhoria global da qualidade de vida, o médico não confirmou essas melhorias, o que deixa alguma incerteza. A capacidade do doente para focar os olhos rapidamente, manter os olhos focados durante muito tempo e ver as coisas com clareza não melhorou. No entanto, registaram-se pequenas melhorias na visão dos movimentos das mãos e dos objectos a curta distância. Nomeadamente, há uma melhoria significativa no nistagmo, enquanto outros aspectos visuais, como a cegueira, a visão de cores e a visão nocturna, não mostraram qualquer melhoria. A visão do doente em ambos os olhos, bem como a capacidade de ver objectos a uma grande distância, permanece inalterada apesar do tratamento.

Sintoma	Avaliação da melhoria pelos pais
Capacidade de ver o movimento das mãos	Pequena melhoria
Capacidade de ver coisas a curta distância	Pequena melhoria
Nistagmo (movimento descontrolado dos olhos)	Melhoria significativa
Campo visual	Pequena melhoria

Condição 6 meses após o tratamento

O estado físico geral do doente registou melhorias moderadas, nomeadamente a nível da força, o que indica um progresso contínuo na sua saúde geral. No entanto, o médico não confirmou estes avanços, deixando alguma incerteza quanto à sua extensão. Apesar da melhoria da condição física geral, não se registou uma melhoria notável da qualidade de vida do doente, que não era passível de avaliação anteriormente. A capacidade do doente para focar os olhos rapidamente, manter os olhos focados durante muito tempo e ver objectos a curta e longa distância não melhorou. No entanto, registaram-se pequenas melhorias na percepção dos movimentos das mãos, na visão das cores, na percepção da luz e no campo visual. O nistagmo do doente também registou uma pequena melhoria, enquanto outros sintomas como a cegueira, a dor nos olhos e o estrabismo permaneceram inalterados apesar dos ajustes do tratamento.

Sintoma	Avaliação da melhoria pelos pais
Capacidade de ver o movimento das mãos	Pequena melhoria
Visão cromática	Pequena melhoria

Percepção da luz	Pequena melhoria
Nistagmo (movimento descontrolado dos olhos)	Pequena melhoria
Campo visual	Pequena melhoria