

BEIKE BIOTECHNOLOGY

paciente caso de estudio

Ataxia

Hombre, 11 años, febrero 2023

resumen

diagnóstico	sexo	edad	nacionalidad
Ataxia	Hombre	11 años	Australia
inyecciones	tipo de células	fecha de admisión	fecha de egreso
8	UCMSC	julio 2023	agosto 2023

historia médica

El paciente, un varón joven nacido en 2012, en Australia, ha sido diagnosticado de Ataxia de Friedreich (FRDA), un tipo de ataxia. La trayectoria médica del paciente comenzó cuando mostró signos de torpeza a los seis años, que empeoraron progresivamente con el tiempo. Su diagnóstico inicial reveló ataxia visible, caracterizada por pie caído, disminución del golpe de talón bilateral, arcos elevados en los pies y escoliosis. A medida que la enfermedad avanzaba, la paciente experimentaba debilidad en las extremidades inferiores, por lo que necesitaba ayuda para mantener el equilibrio y caminar en tándem. Ahora depende de un andador para desplazarse debido al creciente dolor y cansancio en las piernas. Además, tiene dificultades para articular el habla, escribir a mano y realizar tareas cotidianas, lo que afecta a sus interacciones sociales y su rendimiento académico. A pesar de las continuas terapias y ayudas, el estado del paciente ha seguido deteriorándose, lo que ha llevado a solicitar ayuda al Sistema Nacional de Seguro de Discapacidad.

Condition On Admission

El paciente tiene dificultades para caminar sin apoyo y experimenta debilidad en las piernas, lo que hace necesario el uso de un andador para desplazarse. Su habla se

deteriora gradualmente, lo que afecta a su capacidad para mantener conversaciones coherentes. El paciente tiene una caligrafía muy inferior a la media de su grupo de edad y tiene dificultades para sujetar lápices y cubiertos durante periodos prolongados. Además, presenta nistagmo leve, temblor de intención y disimetría en las extremidades superiores. Su afección le ha provocado limitaciones en las actividades cotidianas, las tareas escolares y las interacciones sociales. A pesar de intervenciones como la fisioterapia, la terapia ocupacional y las consultas médicas periódicas, su capacidad funcional sigue disminuyendo, lo que subraya la necesidad de apoyo y gestión continuos para mejorar su calidad de vida.

programa de tratamiento

El paciente recibió 8 paquetes de células madre derivadas del cordón umbilical (UCMSC) mediante inyección intravenosa (IV) e inyección intratecal a través de punción lumbar (PL), según el siguiente programa:

Number	Date	Cell Type	Delivery Method	Side Effects
1	2023-08-01	UCMSC	Inyección intratecal & Inyección intravenosa	no comunicado
2	2023-08-07	UCMSC	Inyección intratecal	no comunicado
3	2023-08-10	UCMSC	Inyección intratecal & Inyección intravenosa	no comunicado
4	2023-08-14	UCMSC	Inyección intratecal	no comunicado
5	2023-08-17	UCMSC	Inyección intratecal & Inyección intravenosa	no comunicado

condición al momento de egreso

Tras el tratamiento, se han observado mejoras generales en el estado físico, con pequeñas mejoras en el equilibrio para mantenerse en pie. El paciente experimenta dolor torácico moderado, y se han observado mejoras en el equilibrio, el control del movimiento y la coordinación. Se observan mejoras significativas en la fatiga, el bajo estado de ánimo o la ansiedad, y la rigidez muscular, mientras que se observan pequeñas mejoras en los movimientos finos de las manos y la deglución. Se observa una mejora moderada de la capacidad para caminar. El paciente sigue mejorando, aunque el médico no lo ha confirmado. Los padres están satisfechos con el resultado del tratamiento y no se ha administrado ningún tratamiento adicional tras el tratamiento con células madre.

Síntoma	Evaluación de la mejora por los padres
Equilibrio	Pequeña mejora
Control del movimiento	Mejora moderada
Coordinación	Pequeña mejora
Fatiga	Mejora significativa
Bajo estado de ánimo o ansiedad	Mejora significativa
Rigidez muscular	Mejora significativa
Tragar	Mejora moderada
Caminar	Mejora moderada
Movimientos finos de las manos	Pequeña mejora

Condición 1 mes después de tratamiento

El estado físico general del paciente ha mejorado notablemente, con aumento de la fuerza y del apetito. Se ha producido una mejora significativa de la calidad de vida del paciente, aunque el médico no ha confirmado estas mejoras. A pesar de no haber recibido ningún tratamiento adicional tras la terapia con células madre, los síntomas generales del paciente han experimentado cambios positivos. En concreto, se ha producido una notable mejora del equilibrio, la coordinación, el control del movimiento, los movimientos finos de las manos, el estado de ánimo bajo o la ansiedad, la deglución y la capacidad para caminar. El paciente muestra ahora mejor equilibrio, puede caminar sin ayuda distancias cortas y puede levantarse sin ayuda desde una posición sentada, lo que indica una mejora sustancial de la movilidad y la independencia.

Síntoma	Evaluación de la mejora por los padres
Equilibrio	Mejora significativa
Control del movimiento	Mejora significativa
Coordinación	Mejora significativa
Fatiga	Mejora significativa
Movimientos finos de las manos	Mejora significativa
Bajo estado de ánimo o ansiedad	Mejora significativa
Tragar	Mejora significativa

Caminar	Mejora significativa
---------	----------------------

Condición 3 meses después de tratamiento

Tres meses después del tratamiento, el paciente ha experimentado mejoras significativas en su estado físico general, con una notable reducción de los niveles de fatiga. El ejercicio regular ha ayudado a mantener el tono muscular y a fortalecer el tronco, lo que ha contribuido a mejorar la calidad de vida del paciente. A pesar de la falta de confirmación por parte del médico, el paciente y sus cuidadores están satisfechos con el resultado del tratamiento y siguen observando mejoras continuas. Tres meses después del tratamiento, el equilibrio y la coordinación del paciente han experimentado mejoras de moderadas a significativas, junto con mejoras significativas en el control del movimiento, los movimientos finos de las manos, el estado de ánimo bajo o la ansiedad, y la rigidez muscular. La capacidad para caminar también ha mejorado significativamente, lo que permite al paciente ponerse de pie y trasladarse con mayor independencia, aunque sigue necesitando algo de ayuda.

Síntoma	Evaluación de la mejora por los padres
Equilibrio	Mejora moderada
Control del movimiento	Mejora moderada
Coordinación	Mejora significativa
Fatiga	Mejora significativa
Movimientos finos de las manos	Mejora significativa
Bajo estado de ánimo o ansiedad	Mejora significativa
Rigidez muscular	Mejora significativa
Caminar	Mejora significativa