



**„Csontvelő”  
transzplantáció és MPS:  
nemzetközi javaslatok és  
dilemmák**

Sólyom Alexander  
PTE KK Gyermekgyógyászati Klinika  
Pécs

## Mit írnak?



- Csak korábbi eseteket feldolgozó tanulmányokra, illetve egyes esetekre lehet támaszkodni (1999, 2009, 2011).
- Általános vélemény hogy csak azokban az esetekben jöhet szóba, ahol súlyos lefolyás, központi idegrendszeri érintettség várható.
- Hunter (MPS II), Sanfillipo (MPS III) eredmények nem egyértelműek, de úgy tűnik, a súlyos idegrendszeri elváltozásokat nem állítja meg.
- Egyértelmű javaslat csak 2-3 év alatti Hurler (MPS I) gyermekekben (2011).



## Dilemma?

- Esély a jövőre nézve.
- Hosszú, életveszélyes, nem 100%.
- Bizonytalan kimenetel.
- Hogy lehet előre látni?
- Ki nem vállalná fel?

## Például...

- Egy testvérpár...  
(azonos mutáció, várható hasonló lefolyás)
- Hunter szindróma
- 3 éves és 11 hónapos
- Transzplantációs bizottság
  - Egy igen, egy nem



## Például...

- Amit nem írnak...

(nemzetközi vélemények)

- Hunter – nem mondhatnak igent, nem mondhatnak nemet.

- Egyedi esetek mindig reményt hordoznak.

- Az idő megy előre, de ez nem az egyedüli magyarázat.



# Mit tudunk csinálni?

- Korai felismerés...felmérés...konzultáció
- Tájékozódás
  - MPS társaság
  - Transzplantáció
  - Enzimpótló terápia



# Mit mondanának?

- A szülőnek?
- Az orvosnak?



Köszönöm a figyelmet!

