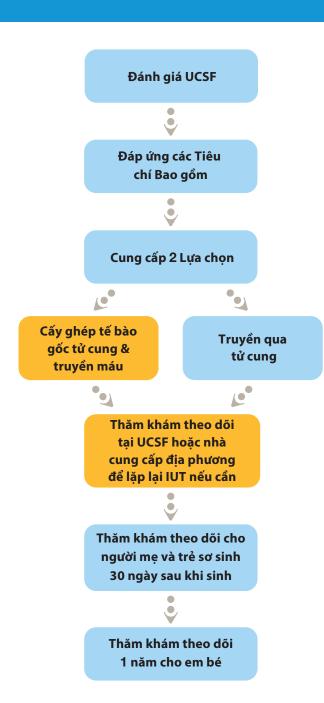
## Thuật toán Giới thiệu





Để biết thêm thông tin hoặc giới thiệu bệnh nhân, vui lòng liên hệ với chúng tôi tại:



## Trung tâm Điều trị Thai nhi UCSF (UCSF Fetal Treatment Center)

1855 4th Street Tầng 2, Phòng A-2432 San Francisco, CA 94158-2549

1-800-RX-FETUS (1-800-793-3887)

fetaltreatmentcenter@ucsf.edu fetus.ucsf.edu



# Can thiệp thai nhi đối với Bệnh Thiếu máu Huyết tán Alpha (ATM)



Bệnh Thiếu máu Huyết tán Alpha (Alpha Thalassemia Major, ATM) thường gây tử vong trong tử cung. Việc truyền máu thai nhi là phương pháp điều trị hiện tại duy nhất để chăm sóc thai nhi trong thời kỳ mang thai. Trẻ sơ sinh cần truyền máu mạn tính để thay thế tế bào hồng cầu. Cấy ghép tế bào gốc sau sinh có thể là một liệu pháp chuẩn nhưng có nhiều biến chứng. Việc cấy ghép tế bào gốc tử cung được phát triển như là một chiến lược để giải quyết những thách thức liên quan đến việc cấy ghép sau khi sinh.

Chúng tôi đã phát triển một chiến lược mới trong việc cấy ghép tế bào gốc tử cung với mục tiêu giảm tỷ lệ mắc bệnh sau sinh và chữa bênh cho thai nhi trước khi sinh.

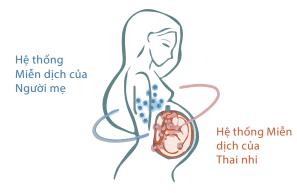


## Cấy ghép Tế bào Gốc Tử cung

### Đánh giá & Tư vấn

## Thiết kế Nghiên cứu

Hệ thống miễn dịch của thai nhi có những đặc điểm riêng biệt làm cho việc cấy ghép tế bào gốc trước khi sinh trở nên an toàn hơn so với điều trị sau khi sinh. Vì người mẹ và thai nhi dung nạp lẫn nhau trong thai kỳ (khả năng dung nạp của người mẹ-thai nhi), nên việc cấy ghép tế bào gốc từ người mẹ đem lại những kết quả tốt nhất.



Nhóm của chúng tôi đã thử nghiệm ý tưởng này trong hơn một thập kỷ và gần đây chúng tôi đã nhận được sự chấp thuận của FDA để thực hiện một thử nghiệm lâm sàng giai đoạn 1 về cấy ghép tế bào gốc người mẹ ở thai nhi có ATM.

Kế hoạch thử nghiệm nhằm lấy các tế bào gốc từ tủy xương của người mẹ, chuẩn bị cho việc tiêm an toàn, và cấy ghép chúng vào thai nhi cùng với truyền qua tử cung (IUT). Cấy ghép tế bào gốc đồng thời với IUT làm giảm tối đa nguy cơ về thủ thuật bổ sung cho thai nhi và tận dụng khoảng thời gian đặc biệt trong quá trình phát triển khi người mẹ có thể là người hiến tế bào gốc lý tưởng cho thai nhi.

Ngay cả khi việc cấy ghép tử cung không chữa khỏi bệnh, thì nó có thể làm cho việc cấy tủy xương sau khi sinh từ người mẹ trở nên an toàn hơn. Sau khi sinh, trẻ sơ sinh có thể cần phải truyền máu bổ sung hoặc không cần điều trị thêm tùy thuộc vào mức độ sống sót của những tế bào được cấy ghép.

Mục tiêu của nghiên cứu này là để xác định mức độ dung nạp của người mẹ và thai nhi đối với việc lấy và cấy ghép tế bào gốc.

#### Bước 0 – Xác định thai kỳ có nguy cơ

Việc khám sàng lọc bệnh thiếu máu (thalassemia) cần phải được thực hiện ở những bệnh nhân gốc Đông Nam Á, Trung Đông, Châu Phi, Địa Trung Hải hoặc Ấn Độ ở Châu Á có MCV <82 và các nghiên cứu sắt bình thường.

#### Bước I – Đánh giá Trước UCSF

Các bà mẹ có đột biến bệnh thiếu máu huyết tán alpha (alpha thalassemia) và thai nhi phát triển có dấu hiệu thiếu máu cần phải được kiểm tra bổ sung để xác nhận chẩn đoán thai nhi hoặc tình trạng truyền bệnh ở cả bố mẹ. Các hồ sơ y tế có thể được gửi đến Trung tâm Điều trị Thai nhi UCSF để xem xét.

#### Bước II – Đánh giá UCSF

Đánh giá bao gồm siêu âm, siêu âm tim và tư vấn của các thành viên trong nhóm tại Trung tâm Điều trị Thai nhi UCSF: bác sĩ phẫu thuật thai nhi, bác sĩ chuyên khoa về huyết học, bác sĩ chuyên khoa sinh sản, nhân viên xã hội, bác sĩ chuyên khoa nhi, nhà tư vấn di truyền học và y tá. Nếu người mẹ và thai nhi được cho là thích hợp, thì việc cấy ghép tế bào gốc tử cung sẽ được cung cấp.

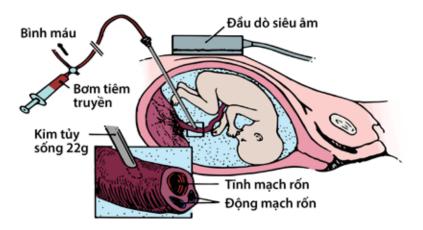
#### Bước III - Cấy ghép tế bào gốc tử cung

Trước tuần 25 của thai kỳ, việc cấy ghép tế bào gốc được thực hiện đồng thời với IUT. Sau thủ thuật ban đầu này, thai nhi có thể sẽ cần truyền máu bổ sung như là một phần của chăm sóc ATM tiêu chuẩn. Các lần truyền máu này có thể được điều phối thông qua Trung tâm Điều trị Thai nhi UCSF hoặc bệnh nhân có thể rời khỏi San Francisco để tìm dịch vụ chăm sóc của các nhà cung cấp dịch vụ y tế địa phương.

#### Bước IV – Theo dõi Trẻ Sơ sinh

Chúng tôi sẽ đánh giá máu của trẻ sơ sinh để xác định tế bào gốc của người mẹ tồn tại và được ghép tốt như thế nào. Sau đó, chúng tôi sẽ theo dõi từng bệnh nhân trong một năm sau khi được cấy ghép tử cung.

Nghiên cứu giai đoạn I này sẽ đánh giá tính an toàn và tính khả thi của việc cấy ghép tử cung ở thai nhi có ATM.



#### Các Tiêu chí Bao gồm

- Thiếu máu ở thai nhi thứ cấp đối với ATM
- Thai kỳ 18-25 tuần tuổi
- Lấy tủy xương đầy đủ từ chủ thể người mẹ

#### Các Tiêu chí Loại trừ

- Sự hiện diện của một dị tật bẩm sinh khác góp phần gây ra nguy cơ bệnh tật hoặc tử vong đáng kể
- Các phát hiện siêu âm tim hoặc siêu âm cho thấy có nguy cao cơ gây tử vong thai nhi sau khi can thiệp
- Bệnh tim mạch ở người mẹ
- Bằng chứng của hội chứng phù ở người mẹ
- Triệu chứng thiếu máu của người mẹ
- Vỡ màng ối sớm hoặc sinh non