

# NIÑOS DE DISEÑO



Universidad  
Católica  
de Valencia  
San Vicente Mártir

**JUSTO AZNAR**

**MAYO 2009**

# **NIÑOS DE DISEÑO**

**La producción y utilización de niños medicamento, bebes medicamento o niños de diseño es un interesante problema médico, ético y social**

**Médicamente es muy atractivo intentar encontrar un camino para tratar a niños enfermos que en el momento actual prácticamente no tienen otra posibilidad de curarse que recurriendo al trasplante de material hematopoyético**  
**Por ello, es un tema que cuenta con una gran aceptación social**

# **NIÑOS DE DISEÑO**

**Para los padres del niño enfermo producir un niño de diseño es en muchas ocasiones un anhelado deseo que ampliamente justifica ante la sociedad su creación**

**Sin embargo, esta práctica conlleva importantes problemas médicos, sociales y éticos, que vamos a tratar de revisar**

# **NIÑOS DE DISEÑO Y SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL**

**Como más adelante se comentará para que los niños de diseño puedan ser útiles para tratar a un hermano enfermo hay que usar sangre de su cordón umbilical**

**Por ello, en primer lugar nos referiremos a las características biológicas y uso clínico de este tipo de muestras de sangre**

# **¿ES ADECUADA LA SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL PARA TRATAMIENTOS MÉDICOS?**

**Desde 1988 en que se realizó el primer trasplante de sangre de cordón umbilical se conoce que ésta fuente celular es útil para tratar pacientes que requieren un trasplante de material hematopoyético**

**Desde entonces las experiencias en este sentido son amplias y positivas  
Se puede utilizar para tratar tanto a niños como a adultos**

## **SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL. CARACTERÍSTICAS BIOLÓGICAS**

**Cada cordón umbilical contiene suficiente número de células madre para poder tratar con probabilidades de éxito a un niño de menos de 25 kg de peso**

**Trends in Molecular Medicine 7; 3, 2001**

**Human Reproduction 20; 845, 2005**

**Sin embargo, recientes experiencias clínicas indican que se pueden trasplantar niños de más de 25 kg de peso e incluso adultos con la sangre de un solo cordón**

# **CALIDAD DE LA SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL DESTINADA A TRASPLANTES**

**Depende fundamentalmente de la cantidad de células madre que contenga  
Especialmente del número de células nucleadas totales y del número de células CD34+  
Estas variables son las que mejor se correlacionan con**

**la eficiencia clínica de la sangre de cordón umbilical**

**Dada la capacidad proliferativa de las células madre hematopoyéticas del cordón umbilical cuando se utiliza  
éste se necesitan menos células que con el trasplante de médula ósea**

## **NÚMERO DE CÉLULAS MADRE APROPIADO PARA TRATAMIENTOS CLÍNICOS**

**El Plan Nacional de Sangre de Cordón Umbilical recomienda que sólo se almacenen las unidades que tienen un mínimo de 1.000 millones de células nucleadas totales, excepto para donaciones dirigidas o circunstancias específicas**

**Para trasplante en adultos recomienda utilizar unidades con un mínimo de 20 millones de células nucleadas totales por kilogramo de peso del receptor y 60.000 células CD34+ por kilo de peso del receptor**

**Las recomendaciones de Eurocord (organismo científico internacional para el trasplante de células madre hematopoyéticas) son más exigentes: 30 millones de células nucleadas totales por kilogramo de peso y/o 200.000 células CD34+ por kilo de peso del receptor**

## **NÚMERO DE CÉLULAS MADRE PARA EL TRASPLANTE AUTÓLOGO Y ALOGÉNICO**

**Probablemente para los trasplantes autólogos el número de células nucleadas necesario para su eficacia terapéutica sea mucho menor sugiriéndose un mínimo de 5 millones de células nucleadas por kilogramo del receptor**

**Además si se tiene en cuenta que el receptor puede ser un niño es factible que en estos casos puedan ser útiles unidades de sangre de cordón con un mínimo de 250 millones de células nucleadas totales**

## **¿TODOS LOS CORDONES SON APTOS PARA SER UTILIZADOS PARA TRASPLANTES?**

**No todos los cordones son aptos  
Solamente las unidades que tienen un  
número suficiente de células pueden  
producir el efecto terapéutico  
beneficioso deseado**

**Cuando el parto tiene una cierta  
complejidad como puede ser en caso  
de cesárea no parece recomendable  
utilizar el cordón**

# **FUENTES DE LA SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL**

**Se pueden obtener muestras de sangre de cordón umbilical de:**

**Niños no relacionados familiarmente con el enfermo. Son las muestras obtenidas de bancos públicos**

**Un determinado niño cuando la sangre se conserva para ser utilizada para el mismo. Son los denominados trasplantes dirigidos. Se conservan en bancos privados**

**Niños emparentados familiarmente con el enfermo generados por vía natural**

**Niños emparentados familiarmente con el enfermo generados por fecundación in vitro**

**Niños de diseño**

# VENTAJAS CLÍNICAS DEL USO DE LA SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL CON RESPECTO A LA MÉDULA ÓSEA

## Para el receptor

Rápida disponibilidad

Mayor tolerancia inmunológica, por tanto menor riesgo de que el trasplante sea rechazado

Poco riesgo de enfermedad de injerto contra huésped, tanto agudo como crónico

Posibilidad de trasplante de donantes que no son compatibles para uno o dos antígenos del sistema HLA

Bajo riesgo de contaminación viral (citomegalovirus humano, virus Epstein-Barr). Consecuentemente bajo riesgo de transmisión de enfermedades infecciosas

## Para el donante

Su obtención no conlleva problemas médicos o psicológicos

The Lancet 356; 1868, 2000  
Current Opinion in Oncology 14; 160, 2002  
Blood 100; 1192, 2002  
The Lancet 369; 1906, 2007  
Pediatrics 119; 165, 2007

## **VENTAJAS DEL USO DE LA SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL CON RESPECTO A LA MÉDULA ÓSEA**

**Los estudios más recientes indican que con la sangre de cordón umbilical se obtienen resultados más favorables que con la médula ósea**

**Leukemia 6-IX-2007**

**(DOI.10.1038/sj.leu.2404932)**

**Por lo que la sangre de cordón umbilical está reemplazando a la médula ósea como opción preferencial para tratar niños con leucemia, linfomas o enfermedades genéticas**

**Canadian Medical Association Journal 177; 705, 2007**

## **SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL. CARACTERÍSTICAS BIOLÓGICAS POSITIVAS**

**En términos de histocompatibilidad cuando se utiliza médula ósea de donantes no familiares, de los 8 antígenos HLA generalmente identificados, se requiere que al menos 7 sean compatibles con los del receptor**

**Cuando se usa sangre de cordón umbilical solamente se necesita que sean compatibles 4 de los 6 antígenos más comunes, lo que facilita el que se pueda encontrar una muestra adecuada**

## **SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL. CARACTERÍSTICAS BIOLÓGICAS NEGATIVAS**

**Los principales problemas que plantea el uso de células madre de sangre de cordón umbilical son:**

**Que una sola unidad de sangre generalmente no es suficiente para tratar a un adulto de más de 50 kilos de peso**

**Que las muestras de sangre depositadas en los bancos públicos no sean suficientes para la creciente demanda que se preve exista**

**Que por la congelación pueda deteriorarse la muestra. Aunque parece que se puede conservar en buenas condiciones al menos 15 años**

**Que según se va confirmando el trasplante de muestras de sangre autóloga no parece ser el más adecuado**

Proceedings of the National Academy of Sciences. USA 100; 645, 2003

The Lancet 369; 437, 2007

## **EFFECTOS SECUNDARIOS NEGATIVOS**

**La incidencia de enfermedad de  
“injerto contra huesped”  
después de un trasplante de  
sangre de cordón umbilical  
oscila entre un 14% y un 38%**

**Bone Marrow Transplantation 33; 1025, 2004**

## **VENTAJAS DEL USO DE LA SANGRE DEL CORDÓN UMBILICAL DE UN FAMILIAR**

**Los resultados del trasplante de material celular hematopoyético obtenido de un hermano HLA compatible son significativamente mejores y tienen menos complicaciones que los trasplantes de material celular hematopoyético de un donante no relacionado familiarmente con el paciente**

**The Lancet 362; 41, 2003**

**Por ello, en primer lugar se intenta encontrar hermanos cuya sangre sea compatible con la del niño enfermo**

**Informe N°9 de la ESHRE Taskforce on Ethics and Law**

**Human Reproduction 20; 845, 2005**

**Pediatrics 119; 165, 2007**

# POSIBILIDAD DE ENCONTRAR HERMANOS HISTOCOMPATIBLES

Los hermanos tienen teóricamente un 25% de posibilidades de que su sangre sea compatible

Pediatrics 119; 165, 2007

Sin embargo, la probabilidad real de encontrar un hermano HLA compatible dentro de la misma familia es menor del 25%

Blood 99; 4350, 2002

Incluso hay autores la reducen al 15%

Human Reproduction 17; 534, 2002

## **MUESTRAS DE HERMANOS GENERADOS POR VÍA NATURAL**

**Antes de que se conociera la posibilidad de producir niños de diseño algunas parejas utilizaron la reproducción natural para conseguir un hijo cuya sangre pudiera ser compatible con la del niño enfermo**

**Al menos hay dos casos bien documentados en la literatura médica  
En ambos se constató la remisión de la enfermedad**

## **DATOS HISTÓRICOS**

**La primera propuesta para utilizar sangre de cordón umbilical con fines terapéuticos fue realizada en 1982 por Edward A Boyse, Hal E Broxmeyer y Judith Bard**

**Journal Medical Association Thai 88; S93, 2005**

# **DATOS HISTÓRICOS**

**Posteriormente se realizaron una serie de estudios in vitro con sangre de cordón umbilical humana y estudios experimentales con sangre de cordón de ratón, por el propio grupo de Broxmeyer y Gluckman**

**Proceedings of the National Academy of Sciences USA 86; 3828, 1989  
Blood Cells 17; 313, 1991**

## **DATOS HISTÓRICOS**

**La primera vez que se utilizó la sangre de cordón umbilical para tratar a un niño enfermo fue en 1988. El trasplante fue realizado por el grupo de Gluckman y colaboradores. Se trataba de un niño de 5 años que padecía una anemia de Fanconi. Se utilizó sangre de un hermano. Clínicamente el trasplante fue un éxito**

## **DATOS HISTÓRICOS**

**Desde ese primer trasplante se  
siguieron tratando niños con  
leucemia o con fallos de la médula  
ósea de cualquier otro tipo con  
sangre de cordón umbilical  
obtenida de hermanos sanos**

**Blood 79; 1874, 1992**

**British Journal Haematology 85; 419, 1992**

**Transplantation 53; 1155, 1992**

## **DATOS HISTÓRICOS**

**El grupo de Gluckman, en 1998, había ya utilizado la sangre de cordón umbilical en 4 pacientes. En todas las ocasiones la sangre se obtuvo de un hermano sano HLA compatible**

**British Journal Haematology 103; 249, 1998**

**Hasta el año 2000 unos 2.000 pacientes habían recibido un trasplante de sangre de cordón umbilical**

**Biological Blood Marrow Transplantation 7; 635, 2001  
New England Journal of Medicine 344; 1860, 2001  
Blood 100; 1611, 2002  
Current Opinion in Oncology 14; 160, 2002**

# DATOS HISTÓRICOS

**Hasta agosto de 2005 se habían realizado más de 3.700 trasplantes de sangre de cordón umbilical, prácticamente la mitad de ellos en niños y la otra mitad en adultos**

**Bone Marrow Transplantation 38; 83, 2006**

**Hasta principios de 2007 se habían realizado más de 5.500 trasplantes de sangre de cordón umbilical**

**Pediatrics 119; 165, 2007**

# NÚMERO DE TRASPLANTES REALIZADOS

**Según se indica en el The Lancet hasta 2007 se habían realizado más de 10.000 trasplantes de sangre de cordón umbilical, tanto a niños como a adultos**

**The Lancet 369; 1906, 2007**

# DATOS HISTÓRICOS DE ESPAÑA

**Según datos de la Organización Nacional de Trasplantes desde 1996 a 2005 se habían llevado a cabo en España 17 trasplantes de sangre de cordón umbilical procedentes de un familiar y 329 procedentes de un donante no relacionado familiarmente con el paciente**

**Hasta enero de 2007 se habían realizado en España 423 trasplantes de sangre de cordón umbilical, 104 de ellos en el último año**

# UTILIDAD CLÍNICA DE LA SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL

# **INDICACIONES CLÍNICAS GENERALES**

**La sangre de cordón umbilical se ha utilizado para tratar:**

**Enfermedades malignas, especialmente leucemia o linfomas**

**Fallos de la médula ósea, como anemia aplásica**

**Hemoglobinopatías, como la  $\beta$ -talasemia mayor**

**Inmunodeficiencias**

**Errores del metabolismo del hierro**

**Otras indicaciones**

**Pediatrics 119; 165, 2007**

# OTRAS INDICACIONES CLÍNICAS

Hasta 2007 se habían tratado cuatro casos de enfermedad granulomatosa crónica

Bone Marrow Transplantation 31; 403, 2003

International Journal of Hematology 85; 70, 2007

Pediatrics Blood Cancer 49; 982, 2007

Un caso de enfermedad de Behçet

Lutern Medical Journal 46; 1753, 2007

Igualmente el suero de la sangre de cordón umbilical se ha utilizado para tratar con éxito pacientes con el síndrome del ojo seco

Bone Marrow Transplantation 39; 231, 2007

Finalmente, también se ha utilizado para tratar un caso de epidermolis bullosa distrófica en un niño de 18 meses. La sangre fue obtenida de un paciente compatible no familiar del pequeño

# INDICACIONES CLÍNICAS

## TRATAMIENTOS ESTANDAR ACTUALES

### Leucemias agudas:

- Leucemia linfoblástica aguda (ALL).
- Leucemia mieloide aguda (LMA).
- Leucemia aguda bifenotípica (BAL).
- Leucemia aguda indiferenciada.

### Leucemias crónicas:

- Leucemia linfocítica crónica (LLC).
- Leucemia mieloide crónica (LMC).
- Leucemia mieloide crónica juvenil (JCML).
- Leucemia mielomonocítica juvenil (JMML).

### Síndromes mielodisplásicos:

- Anemia refractaria.
- Anemia refractaria con sideroblastos en anillo (RARS).
- Anemia refractaria con excesos de blastos (RAEB).
- Anemia refractaria con exceso de blastos en transformación (RAEB-T).
- Leucemia mielomonocítica crónica (CMML).

### Linfomas:

- Linfoma de Hodgkin.
- Linfoma de no Hodgkin (tumor de Burkitt).

### Anomalías de los eritrocitos heredadas:

- Beta talasemia mayor.
- Anemia de Blackfan- Diamond.
- Aplasia pura de serie roja.
- Enfermedad de células falciformes.

### Trastornos en la proliferación de células sanguíneas:

- Anemia aplásica.
- Anemia de Fanconi.
- Anemia diseritropoyética congénita.
- Hemoglobinuria paroxística nocturna (PNH).
- Trombocitopenia de Glanzmann.

# INDICACIONES CLÍNICAS

## TRATAMIENTOS ESTANDAR ACTUALES

### Trastornos mieloproliferativos:

- Mielofibrosis aguda. • Metaplasma mieloide agnogénica. • Policitemia vera.
- Trombocitemia esencial o primaria.

### Trastornos del sistema inmunológico hereditarios:

- Inmunodeficiencia severa combinada (SCID) con deficiencia de adenosina deaminasa (ADA-SCID). • SCID ligada al cromosoma X. • SCID con ausencia de linfocitos T y B.
- SCID con ausencia de linfocitos T, y linfocitos B normales. • Síndrome de Omenn.
- Síndrome de Kostmann. • Mielocatexis. • Ataxia-telangiectasia. • Síndrome de Guillain-Barré. • Inmunodeficiencia variable común. • Síndrome de DiGeorge.
- Deficiencia de adhesión leucocitaria. • Trastornos linfoproliferativos (DBP).
- Trastornos linfoproliferativo, ligado al cromosoma X. • Síndrome de Wiskott- Aldrich.

### Trastornos en fagocitos:

- Síndrome Chediak-Higashi. • Enfermedad granulomatosa crónica.
- Deficiencia de actina en los neutrófilos. • Disgenesia reticular.

### Cáncer en médula ósea:

- Mieloma múltiple. • Leucemia de células plasmáticas. • Macroglobulinemia de Waldenstrom.

### Otros tipos de cáncer:

- Neuroblastoma. • Retinoblastoma.

### Hemoglobinopatías

[www.parentsguidecordblood.org](http://www.parentsguidecordblood.org)

# INDICACIONES CLÍNICAS DE LA SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL

## TRATAMIENTOS EN FASE DE ENSAYO CLÍNICO

**Diabetes tipo I.**

**Lupus eritematoso sistemático.**

**Trasplantes para enfermedades del Sistema Nervioso Central (SNC):**

- Parálisis cerebral.
- Esclerosis múltiple (EM).

**Trasplantes relacionados con el sistema inmune y otros órganos:**

- Síndrome hipoplasia cartílago-cabello.
- Síndrome Hermansky-Pudlak.
- Enfermedad de Günther.
- Síndrome de Pearson.
- Síndrome de Shwachman-Diamond.
- Mastocitosis sistémica.

**Trasplantes para trastornos metabólicos heredados:**

- Mucopolisacaridosis: • Mucopolisacaridosis (MPS).
- Síndrome de Hurler (MPS-IH).
- Síndrome de Scheie (MPS-IS).
- Síndrome de Hunter (MPS II).
- Síndrome de Sanfilippo (MPS-III).
- Síndrome de Morquio (MPS-IV).
- Síndrome Maroteaux-Lamy (MPS-VI).
- Síndrome de Sly (deficiencia de beta-glucuronidasa (MPS-VII)).
- Mucopolipidosis II.

**Leucodistrofias:**

- Adrenoleucodistrofia (ALD).
- Enfermedad de Krabbe.
- Leucodistrofia metacromática (LDM).

**Enfermedades lisosomales de almacenamiento:**

- Enfermedad de Gaucher.
- Enfermedad de Niemann-Pick.
- Enfermedad de Sandhoff.
- Enfermedad de Tay-Sachs.
- Enfermedad de Colman.

[www.parentsguidecordblood.org](http://www.parentsguidecordblood.org)

# INDICACIONES CLÍNICAS DE LA SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL

## TRATAMIENTOS EN FASE DE ENSAYO CLÍNICO

### Otros trastornos hereditarios:

- Síndrome de Lesch-Nyhan. • Osteopetrosis.

### Trastornos en la proliferación celular:

- Linfocitosis familiar eritrofagocítica. • Hemofagocitosis.
- Histiocitosis de las células de Langerhans (LCH).

### Trasplantes mediante alteración genética de las células madre:

- Tromboastenia de Glanzmann. • SCID con deficiencia de adenosina deaminasa (ADA-SCID). • SCID ligada al cromosoma X.

### Trasplantes en tumores cancerosos:

- Cáncer de mama. • Sarcoma de Swing. • Carcinoma en células renales.

**Síndrome de Huntington**

**Enfermedad de Crohn**

**Síndrome Evans**

**Daños en la médula espinal**

**Reparación de tejido cardíaco tras un infarto**

# **ESTUDIOS EXPERIMENTALES**

# **ESTUDIOS EXPERIMENTALES CON LA SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL**

**Las células madre mesenquimales de la sangre del cordón umbilical pueden ser potencialmente útiles en el tratamiento regenerativo del pulmón, la piel y la diabetes**

**Las células madre endoteliales se han ensayado para la generación de conductos parecidos a los vasos sanguíneos**

**Finalmente las células multipotentes pueden generar células de las tres capas germinales (mesodermo, ectodermo y endodermo), es decir desde células de la grasa hasta neuronas**

# ESTUDIOS EXPERIMENTALES

**Las células madre de la sangre de cordón umbilical se pueden diferenciar en células cardíacas, neurológicas, pancreáticas y de piel**

Blood 97; 3441, 2001

Journal of Experimental Medicine 200; 123, 2004

**Estudios experimentales en ratas han mostrado que el trasplante de sangre de cordón umbilical puede mejorar la movilidad de las patas de ratas a las que se les había producido una lesión de su médula espinal**

Neurochemical Research (17 de agosto de 2007)

**Las células madre de sangre de cordón umbilical, utilizadas conjuntamente con células madre derivadas de tejido graso, pueden ser útiles para producir y reparar el tejido cardíaco lesionado**

Biochemical Biophysical Research Communications 353; 182, 2007

**Igualmente se han utilizado para reparar hígados lesionados, pues favorecen la regeneración de los hepatocitos**

Transplantation Proceedings 39; 240, 2007

# ESTUDIOS EXPERIMENTALES CON LA SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL

## TRATAMIENTOS EXPERIMENTALES

### Enfermedades autoinmunes:

- Artritis juvenil. ● Artritis reumatoide. ● Dermatomiositis juvenil.
- Enfermedad de Crohn. ● Síndrome de Evans. ● Esclerodermia.

### Trasplantes mediante alteración genética de las células madre:

- Anemia de Fanconi. ● Enfermedad de Parkinson.

### Reparación de células nerviosas:

- Esclerosis lateral amiotrófica (ALS). ● Enfermedad de Alzheimer.
- Enfermedad de Parkinson. ● Enfermedad de Huntington.

**Lesiones de médula espinal. Reparación de tejidos en órganos como riñón, hígado.**

# RESULTADOS CLÍNICOS

## **SUPERVIVENCIA DESPUÉS DEL TRASPLANTE UTILIZANDO MÉDULA ÓSEA**

**La supervivencia después de un trasplante de médula ósea es de un:**

**30-50% para enfermedades adquiridas tales como leucemia, linfoma de Hodgkin o síndrome mielodisplásico**

**80-90% para anemia aplásica adquirida**

**70-90% para drepanocitosis**

**80-90% para anemia de Fanconi**

**70-90% para inmunodeficiencias**

# **SUPERVIVENCIA DE LOS NIÑOS TRATADOS**

**Datos recientes indican que la supervivencia al año del trasplante puede ser del 75% al 90% cuando se utiliza sangre de cordón umbilical de un familiar HLA compatible y del 40% al 80% cuando la sangre no es de un familiar**

**Pediatrics 119; 165, 2007**

## **¿CUÁL ES LA PROBABILIDAD ACTUAL DE UTILIZAR LA SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL PARA UN TRASPLANTE AUTÓLOGO?**

**Los primeros informes calcularon una probabilidad de uso de una unidad de sangre de cordón umbilical entre 1/10.000 y 1/200.000. La probabilidad de necesitar un trasplante autólogo de células madre sanguíneas a los 21 años se calculó en 1/2.700 (0,04%). Un reciente estudio ha demostrado que la probabilidad acumulativa hasta los 70 años de recibir un trasplante de células madre sanguíneas en Estados Unidos es de 1/435 (0,23%) para el trasplante autólogo, 1/400 (0,25%) para el trasplante alogénico y 1/220 (0,46%) para cualquier tipo de trasplante.**

# UTILIZACIÓN DE SANGRE AUTÓLOGA

Hasta la fecha se han descrito tres casos de trasplante de sangre de cordón umbilical autóloga para tratar a pacientes que padecían:

## Neuroblastoma

Bone Marrow Trasplantation 24; 1041, 1999

## Aplasia medular

Biological Blood Marrow Trasplantation 10; 741, 2004

## Leucemia

Pediatrics 119; 296, 2007

## **EN EL SUPUESTO CASO DE NECESITAR UN TRASPLANTE DE CÉLULAS MADRE SANGUÍNEAS ¿QUÉ TIPO DE TRASPLANTE ES PREFERIBLE?**

**En general, cuando un niño es diagnosticado de una enfermedad sanguínea o del sistema inmune es preferible el tratamiento con células madre que no tengan una predisposición genética hacia esa enfermedad. Por lo tanto sería preferible el trasplante alogénico de un donante emparentado o no emparentado. Por eso el trasplante autólogo de sangre de cordón umbilical se reservó inicialmente para el tratamiento de tumores sólidos como el neuroblastoma o para enfermedades adquiridas como la anemia aplásica. Sin embargo, como ya se ha comentado, las células madre del cordón umbilical pueden encontrar aplicaciones para otras enfermedades pediátricas y para un amplio abanico de futuras indicaciones en la Medicina Regenerativa.**

## **¿CUÁLES SON LAS APLICACIONES ÚTILES DEL USO AUTÓLOGO DE LA SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL?**

**En la actualidad hay recogidas más de 60 aplicaciones de las células madre de la sangre de cordón umbilical para uso autólogo. Entre las indicaciones hay que destacar el neuroblastoma, la anemia aplásica, el retinoblastoma, el meduloblastoma, la leucemia linfoblástica aguda, parálisis cerebral, lesión cerebral anóxica y diabetes, entre otras.**

## **USO DE SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL AUTÓLOGA**

**El principal inconveniente para el uso de sangre de cordón umbilical autóloga para tratar una leucemia es que no se ha demostrado que en la sangre de los recién nacidos que posteriormente vaya a conservarse no existan mutaciones en su ADN que puedan favorecer tras el trasplante el desarrollo de una leucemia**

**Nature Medicine 4; 150, 1998**

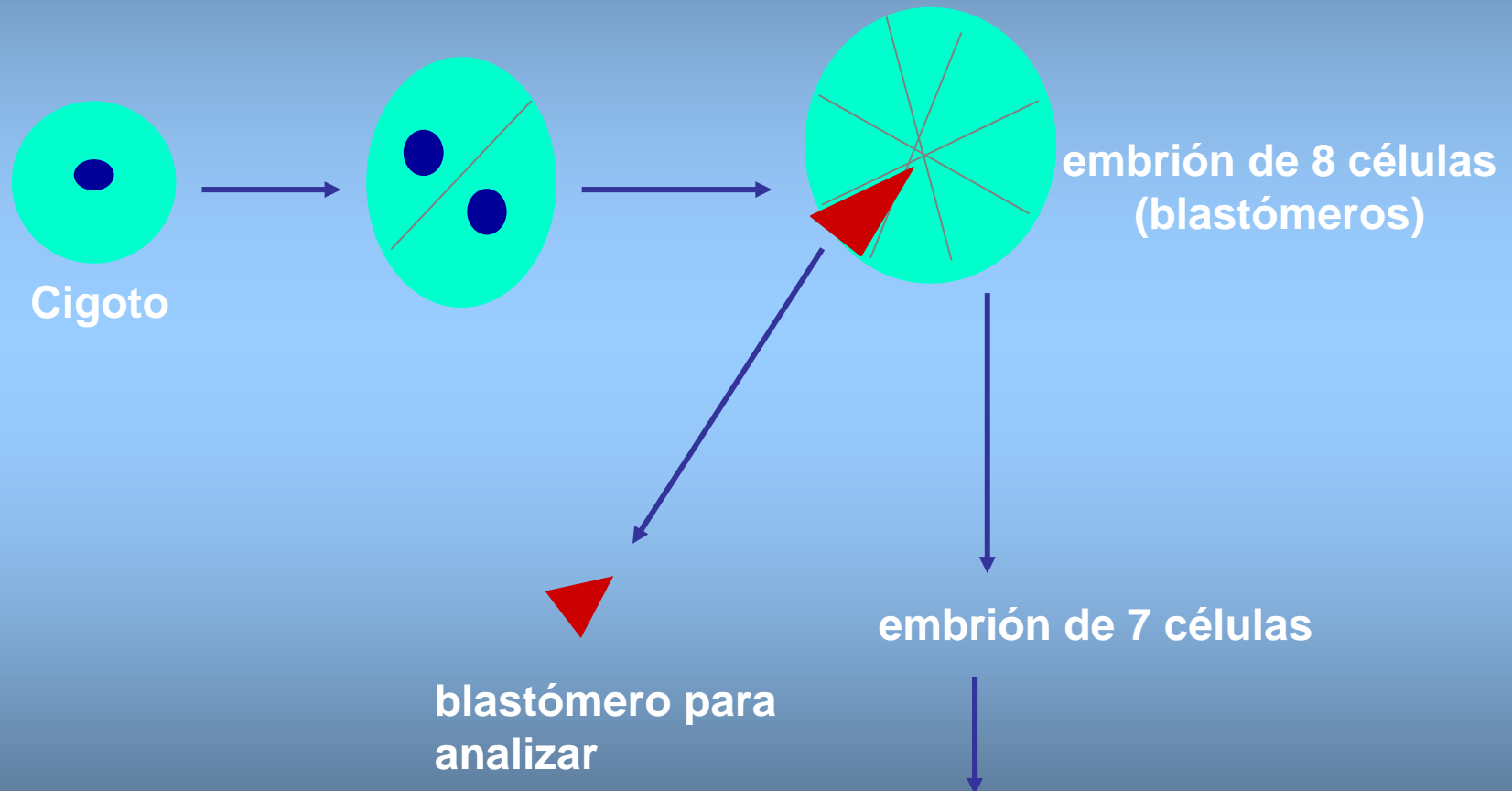
**Así pues, el uso de sangre de cordón umbilical del propio niño no parece por el momento aconsejable para tratar una leucemia**

# NIÑOS DE DISEÑO DEFINICIÓN

# DEFINICIÓN

**Son niños producidos por fecundación in vitro que sirven como donantes de material hematopoyético para tratar a un hermano enfermo**

# PRODUCCIÓN DE UN NIÑO DE DISEÑO



# TERMINOLOGÍA

# TERMINOLOGÍA

- **Bebes – medicamento**
- **Niños – medicamento**
- **Niños de diseño**
- **Niños donantes**
- **Niños nacidos por fecundación in vitro con intencionalidad terapéutica**
- **Hermanos salvadores (saviour siblings)**
- **Niños amados (loved children)**

1. **Journal of Medical Ethics 28; 289, 2002**
2. **Science as Culture 12; 471, 2003**
3. **Blood 103; 1147, 2004**

# DATOS HISTÓRICOS

**El primer niño de diseño fue Adam Nash que fue producido para tratar a su hermana Molly de 6 años que padecía un anemia de Fanconi**

**Adam nació el 29 de agosto de 2000 y la sangre de su cordón umbilical fue trasplantada a su hermana en la primera semana de octubre de ese mismo año en el Hospital de la Universidad de Mineapolis en Minesota**

**Comentado: BMJ 321; 918, 2000  
Publicado: Verlinsky y col  
JAMA 285; 3130, 2001**

# DATOS HISTÓRICOS DE ESPAÑA

**En noviembre de 2004 se produjo en el Instituto de Genética Reproductiva de Chicago la primera niña de diseño española. Nació en agosto de 2005 autorizándose la utilización de la sangre de su cordón umbilical para tratar a una hermana de 14 años que padecía  $\beta$ -talasemia mayor.**

**Dada la edad de la paciente hubo que completar la cantidad de sangre transferida con un 20% de médula ósea sana.**

**El proceso clínico sigue en evolución por lo que aun no se han podido evaluar adecuadamente los resultados.**

# DATOS HISTÓRICOS DE ESPAÑA

**Desde 2000 a 2005, 30 familias habían solicitado en España autorización para producir niños de diseño**

**21 de ellas para tratar niños con enfermedades hereditarias**

**7 para neoplasias y dos para anemias aplásicas**

Organización Nacional de Trasplantes

# DATOS HISTÓRICOS DE ESPAÑA

**En octubre de 2006 se presentaron en el Ministerio de Sanidad español los primeros 24 protocolos solicitando la autorización para producir niños de diseño**

**De ellos se seleccionaron 8 y finalmente se dio la autorización a 3 que son los primeros que se podrán producir en España**

**Las pacientes son dos niñas con  $\beta$ -talasemia mayor y otra con anemia de Fanconi**

**El Mundo.es 4-XII-2006**

# DATOS HISTÓRICOS DE ESPAÑA

**En ninguno de los tres  
casos se ha conseguido  
producir un bebé útil**

# DATOS HISTÓRICOS DE ESPAÑA

**Recientemente se ha autorizado en España un cuarto caso para producir un niño de diseño**

**Se trata de una familia sevillana que tiene ya un niño que padece  $\beta$ -talasemia mayor**



**BEBÉ  
MEDICAMENTO**

**Javier**

# LIMITACIONES DEL USO DE NIÑOS DE DISEÑO

**Se requiere un tiempo a veces largo para la producción de un niño donante útil que puede oscilar entre 12 y 18 meses.**

**Este tiempo puede ser excesivo para tratar casos tumorales activos (leucemia)**

**Se necesitan un elevado número de embriones y en la mayoría de los casos varios ciclos de fecundación para producir un niño donante**

# LIMITACIONES DEL USO DE NIÑOS DE DISEÑO

**Las equivocaciones del diagnóstico genético preimplantacional pueden oscilar entre el 1% y 5%**  
**La posibilidad de conseguir un embarazo está limitada por varios factores y particularmente por la edad avanzada de la madre**

**El éxito del trasplante depende del tipo de enfermedades y puede variar entre un 90% en caso de  $\beta$ -talasemia a porcentajes menores en caso de leucemia**

**Si el tratamiento con sangre de cordón umbilical falla se necesitaría hacer después un trasplante de médula ósea**

# **EFFECTOS SECUNDARIOS NEGATIVOS**

**En el año 2007 se describió el primer caso de enfermedad de “injerto contra huesped” tras un trasplante de células de sangre de cordón umbilical obtenidas de un niño de diseño**

**Pediatrics Transplantation 11; 818, 2007**

# EFICIENCIA

**Conocer la eficiencia de la técnica es uno de los aspectos más importantes para su valoración ética**

# POSIBILIDAD DE CONSEGUIR UN NIÑO DE DISEÑO ÚTIL

La posibilidad de conseguir un embrión útil para ser implantado y producir un niño de diseño es del:

**20%**

JAMA 285; 3130, 2001

**15%**

Human Reproduction 17; 534, 2002

**19%**

Human Reproduction 19; 700, 2004

**19%**

ESHRE. Human Reproduction 20; 845, 2005

# EFICIENCIA

**Para producir el primer niño de diseño, Adam Nash, se produjeron 33 embriones en cuatro ciclos de estimulación; 7 en el primero, 4 en el segundo, 8 en el tercero y 14 en el cuarto.**

**De ellos 19 eran portadores heterocigotos de la enfermedad y 5 homocigotos. Otros 5 eran sanos**

**De entre los 24 sanos o heterocigotos, se detectaron 5 HLA compatibles; se transfirieron 2 y se implantó 1**

**De 33 embriones nació 1 niño  
Eficiencia: 3%**

Verlinsky y col

JAMA 285; 3130, 2001

# EFICIENCIA

**Uno de los grupos con más experiencia, el Instituto de Genética Reproductiva de Chicago, en 2004 resumió sus primeros resultados obtenidos en 9 parejas distintas**

**Utilizaron 199 embriones**

**45 (23%) eran compatibles con el enfermo**

**Se transfirieron 28 embriones**

**Se consiguieron 5 embarazos**

**Nacieron 5 niños útiles para donar su cordón**

**De 199 embriones nacieron 5 niños**

**Eficiencia: 2.5%**

# EFICIENCIA

**Datos del Instituto de Genética Reproductiva de Chicago  
correspondientes a 2005**

**Embriones  
producidos**

**466**

**Utilizados**

**435**

**Embriones útiles  
transferidos**

**55**

**Embarazos**

**7**

**De 466 embriones nacieron 5 niños**

**Eficiencia: 1.07%**

**RBM Online 11; 362, 2005**

# EFICIENCIA

El mismo Instituto mostraba en 2005 los resultados actualizados de sus experiencias conjuntamente con las de otros cinco centros de Australia, Bélgica, Turquía y Estados Unidos



**EXPERIENCIA DEL “MEMORIAL HOSPITAL” DE ESTAMBUL QUE TIENE LA SEGUNDA SERIE EN EL MUNDO CON MAYOR NÚMERO DE EMBRIONES PRODUCIDOS**

<b>Embriones utilizados</b>	<b>Embriones transferidos</b>	<b>Embarazos</b>	<b>Niños nacidos útiles</b>
<b>1200</b>	<b>79</b>	<b>31</b>	<b>31</b>

**De 1200 embriones nacieron 31 niños**  
**Eficiencia: 2.58%**

# **EFICIENCIA DE LAS EXPERIENCIAS REALIZADAS EN ESPAÑA**

**En el caso de la primera niña de diseño nacida en España, pero producida en el Instituto de Genética Reproductiva de Chicago, se realizaron tres intentos  
Primer intento (2003). Se produjeron 18 embriones.**

**Ninguno resultó ser sano y compatible**

**Segundo intento (enero 2004). Se produjeron 10 embriones. Uno era compatible, pero no se consiguió implantarlo**

**Tercer intento (noviembre 2004). Se produjeron 9 embriones. Dos eran compatibles. Se consiguió implantar 1**

**De 37 embriones nació  
1 niño  
Eficiencia: 2.7%**

**El País 28-I-2007**

**69**

## **EFICIENCIA DE LAS PRUEBAS REALIZADAS EN ESPAÑA**

**Una de las tres primeras experiencias autorizadas en España para producir un niño de diseño, ha sido para tratar una anemia de Fanconi.**

**En este caso concreto la madre se sometió entre junio de 2005 y junio de 2006 a cuatro ciclos de estimulación ovárica en Bruselas. Ninguno fue efectivo**

# INDICACIONES CLÍNICAS DE LA PRODUCCIÓN Y USO DE NIÑOS DE DISEÑO

# INDICACIONES CLÍNICAS DE LA SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL DE NIÑOS DE DISEÑO

## ENFERMEDADES ADQUIRIDAS

### Neoplásicas:

- Leucemia linfoblástica aguda.
- Leucemia mieloblástica aguda.
- Leucemia mieloide crónica.
- Leucemia mielomonocítica juvenil.
- Linfoma no Hodgkin y Enfermedad de Hodgkin.
- Síndrome mielodisplásico.

### No neoplásicas:

- Aplasia medular.
- Hemoglobinuria paroxística nocturna.

[www.parentsguidecordblood.org](http://www.parentsguidecordblood.org)

# INDICACIONES CLÍNICAS DE LA SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL DE NIÑOS DE DISEÑO

## ENFERMEDADES CONGENITAS

- Inmunodeficiencia congénita combinada.
- Aplasia medular de Fanconi. ● Talasemia mayor.
- Drepanocitosis o enfermedad de células falciformes. ● Anemia de Blackfan-Diamond.
- Síndrome de Kostman. ● Síndrome de Schwachmann-Diamond. ● Síndrome de Wiskott-Aldrich. ● Síndrome de Chediak-Higashi. ● Síndrome de Di George. ● Ciertas enfermedades metabólicas de depósito (por ejemplo, la enfermedad de Krabbe).
- Linfohistiocitosis hemofagocítica. ● Osteopetrosis juvenil. ● Enfermedad granulomatosa crónica.

# VALORACIÓN ÉTICA DE LA PRODUCCIÓN Y USO DE NIÑOS DE DISEÑO

## **VALORACIÓN ÉTICA DE LA PRODUCCIÓN Y USO DE NIÑOS DE DISEÑO**

**Es indudable que todos los actos humanos deben pasar el filtro de su adecuación ética**

**Como es lógico no se exime de esta evaluación a la producción y uso de niños de diseño**

**Por lo que parece necesario realizar un amplio debate sobre ello**

## **VALORACIÓN ÉTICA DE LA PRODUCCIÓN Y USO DE NIÑOS DE DISEÑO**

**A nuestro juicio el debate ético último sobre este tema es definir si al valorar la producción y uso de los niños de diseño se debe seguir una ética utilitarista, fundamentalmente arraigada en el mundo anglosajón, que hace prevalecer la bondad del fin buscado sobre los medios utilizados para conseguirlo, o una ética personalista, en la que el respeto a la vida humana, basado en su propia dignidad, sea el principio ético último que guíe todas las acciones biomédicas que se desarrollen en este campo**

# VALORACIÓN ÉTICA DE LA PRODUCCIÓN Y USO DE NIÑOS DE DISEÑO

**El utilitarismo pregona que la bondad ética de una acción se basa en conseguir el mayor beneficio posible para el mayor número de gente posible**

**John Stuart Mill**

**Sin embargo, en el caso que nos concierne sería conseguir el mayor beneficio posible para un solo sujeto el niño enfermo**

# VALORACIÓN ÉTICA DE LA PRODUCCIÓN Y USO DE NIÑOS DE DISEÑO

**En nuestra opinión, en este debate ético se deberían considerar tres aspectos fundamentales:**

**Si con la producción de niños de diseño se está instrumentalizando al individuo humano creado. Es decir, si el imperativo kantiano debe ser la norma ética fundamental en la que se apoye cualquier juicio sobre esta materia<sup>1</sup>**

**Si para a<sup>1</sup> conseguir ese fin hay que utilizar medios que ineludiblemente requieran la destrucción de vidas humanas, en este caso de embriones humanos**

**Si existen alternativas técnicas para conseguir éticamente el bien deseado**

**1. I Kant  
Groundwork of the Metaphysics of Moral  
Harper and Row. New York**

## **VALORACIÓN ÉTICA DE LA PRODUCCIÓN Y USO DE NIÑOS DE DISEÑO**

**Aunque posiblemente para el público en general el problema ético relacionado con los niños de diseño se podría formular así:**

**¿Se puede permitir la muerte de un niño enfermo por no utilizar por razones éticas los remedios que la ciencia ofrece para curarlo?**

# **INSTRUMENTALIZACIÓN DEL NIÑO DE DISEÑO**

**Ya en el artículo que describe los resultados clínicos del caso de Adam Nash se proponen algunos criterios éticos para tratar de solventar el problema de la instrumentalización del niño de diseño producido**

**En él se sugiere que para cohonestar éticamente la producción de niños de diseño estos deben ser deseados y amados por sus padres como desearían y amarían a cualquier otro hijo nacido por vía natural. Es decir, aunque admiten el imperativo kantiano creen que la dificultad ética que supone la instrumentalización del niño producido podría ser cohonestada por el amor de sus padres hacia él**

# **INSTRUMENTALIZACIÓN DEL NIÑO DE DISEÑO**

**Este criterio es ratificado por G Pennings quien sostiene que producir un niño de diseño sería éticamente aceptable con la condición de que el niño producido lo fuera como consecuencia del amor de sus padres hacia él además del fin instrumental que la acción persigue**

**Esencialmente habría que considerar que el nuevo niño es un niño amado y deseado por sus padres por si mismo con independencia de su utilización como medio para salvar a un hermano**

# INSTRUMENTALIZACIÓN DEL NIÑO DE DISEÑO

**Otros autores siguen un criterio parecido al considerar que “la producción de *hermanos salvadores* es éticamente permisible”**

**S Sheldon y S Wilkinson**

**Journal of Medical Ethics 30; 533, 2004**

# **INSTRUMENTALIZACIÓN DEL NIÑO DE DISEÑO**

**No cabe duda que esta valoración ética es un ejemplo típico de utilitarismo ya que se anteponen los beneficios clínicos para un tercero al bien del niño producido**

**B Edwards**

**RBM Online 9; 222, 2004**

# **INSTRUMENTALIZACIÓN DEL NIÑO DE DISEÑO**

**De acuerdo con la “European Society of Human Reproduction and Embriology (ESHRE) Ethics Task Force” la creación de un niño de diseño “sería moralmente aceptable si su utilización como donante de la sangre del cordón umbilical no es el único motivo de los padres para tener el hijo”**

**Si los padres lo aman y cuidan como amarían y cuidarían a cualquier otro hijo su producción sería éticamente admisible**

# **INSTRUMENTALIZACIÓN DEL NIÑO DE DISEÑO**

**También bastaría para cohonestar la producción de niños de diseño que los beneficios que se pudieran derivar para el niño enfermo compensaran las desventajas que puedan existir para el niño de diseño producido**

**ESHRE Ethics Taskforce**

**Human Reproduction 18; 649, 2003**

# **INSTRUMENTALIZACIÓN DEL NIÑO DE DISEÑO**

**Este criterio se ratifica en el noveno informe del ESHRE en el que se afirma que aunque la valoración ética de la producción y uso de niños de diseño es particularmente compleja pues los intereses del niño enfermo que requiere el trasplante celular deben ser equilibrados con los del niño donante si los padres desean amorosamente al niño donante su producción y utilización no es esencialmente irrespetuosa para él**

# **INSTRUMENTALIZACIÓN DEL NIÑO DE DISEÑO**

**Por tanto, la valoración moral de la producción de estos niños se fundamenta en cuales sean los deseos últimos de los padres en relación con el niño de diseño producido**

**B Edwards**

**RBM Online 9; 222, 2004**

**Sin embargo, a nosotros nos parece que buscar los motivos últimos que han inducido a los padres a producir el niño de diseño parece extremadamente difícil**

**¿PERO REALMENTE EL NIÑO DE DISEÑO ES  
PRODUCIDO POR RAZÓN DEL AMOR QUE LE  
PROFESARON SUS PADRES?**

**En el caso de Molly Nash su hermano Adam fue  
producido cuando la niña tenía 6 años**

**¿Se puede razonablemente sostener que en  
esos seis años sus padres no desearan tener  
otro hijo por amor hacia él y que únicamente lo  
amaron cuando su producción fue requerida  
para curar a su hermana Molly?**

**Esto mismo se podía afirmar en otros casos  
similares en los que los hermanos que  
requerían los trasplantes tenían 14 años o más**

## **VALORACIÓN ÉTICA DE LA PRODUCCIÓN Y USO DE NIÑOS DE DISEÑO**

**Otros expertos sugieren que los principales criterios que debería regir la evaluación ética de la producción y uso de niños de diseño son:**

**El beneficio de la pareja  
El beneficio del niño enfermo**

**MD Damewood. JAMA 285; 3143, 2001**

**Es decir, se obvian totalmente el bien del niño donante y la pérdida de embriones que la técnica conlleva**

# **VALORACIÓN ÉTICA DE LA PRODUCCIÓN Y USO DE NIÑOS DE DISEÑO**

**Para otros autores son dos las consideraciones principales que deben ser tenidas en cuenta al evaluar éticamente la producción de niños de diseño:**

**Que la posibilidad de que el niño producido pueda ser utilizado como donante de material biológico para su hermano no sea el único motivo por el cual los padres han deseado su producción**

**Que la producción de los embriones por esta técnica sea menos molesta para los padres que otras alternativas**

**P. Baetens**

**RBM Online 10; 154, 2005**

**Por ello, el Centro de Medicina Reproductiva de la Universidad Libre de Bruselas en donde desarrolla su labor profesional la Dra. Baetens considera moralmente justificado dar asistencia médica a las parejas que desean producir un niño de diseño**

# **VALORACIÓN ÉTICA DE LA PRODUCCIÓN Y USO DE NIÑOS DE DISEÑO**

**Otros autores añaden un problema ético más al valorar la producción de niños de diseño**

**El problema “de la pendiente resbaladiza” es decir el temor de que se oscurezcan los límites éticos que valoran estas técnicas lo que podría derivarse hacia su utilización con fines eugenésicos**

**S. Kahraman**

**RBM Online 14; 104, 2007**

## **OPINIONES CONTRARIAS A LA CREACIÓN DE NIÑOS DE DISEÑO**

**La creación de niños  
medicamento “constituye una  
violación de los derechos del  
niño donante, que no puede dar  
su consentimiento para esta  
acción”**

**D Josefson**

**British Medical Journal 321; 917, 2000**

## **OPINIONES CONTRARIAS A LA CREACIÓN DE NIÑOS DE DISEÑO**

**Muy contrario a la creación de niños de diseño se muestra el editor del Bulletin of Medical Ethics, Richard Nicholson, quien afirma: “Nosotros no estamos creando el hermano salvador para ser un niño en su correcto sentido. Lo estamos creando para tener una fuente de tejidos que puedan ser donados para un niño ya existente”**

**“No encuentro una distinción moral entre esclavitud y producción por eso prefiero llamar a estos niños hermanos esclavos”**

## **VALORACIÓN ÉTICA DE LA PRODUCCIÓN Y USO DE NIÑOS DE DISEÑO**

**A la vista de lo anteriormente expuesto se puede concluir que gran parte de la literatura anglosajona sigue un criterio utilitarista al catalogar éticamente la producción y uso de niños de diseño que fundamentalmente se cohonestaría al presuponer que el niño ha sido producido también por el amor de sus padres hacia él es decir que habría sido concebido independientemente de que su sangre pudiera servir o no para curar a su hermano enfermo**

## **VALORACIÓN ÉTICA DE LA PRODUCCIÓN Y USO DE NIÑOS DE DISEÑO**

**Sin embargo, al realizar la valoración ética de la producción y uso de los niños de diseño en general se omite un aspecto que a nuestro juicio es fundamental el número de embriones que se pierden**

# EFICIENCIA EN LA PRODUCCIÓN DE NIÑOS DE DISEÑO

AUTOR	Nº EMBRIONES	EFICIENCIA
Verlinsky y col. Caso de Adam Nash (1)	33	3%
Verlinsky y col (2)	466	1,07%
Kuliv y col (3)	1130	1,15%
Memorial Hospital de Estambul (4)	1200	2,58%
Primer caso de España (5)	37	2,7%

**Eficiencia 1,07% a 3%**

1. JAMA 285; 3130, 2001
2. RBM Online 11; 362, 2005
3. Annals of New York Academy of Science; 1054, 223, 2005
4. RBM Online 14; 104, 2007

# **EFICIENCIA EN LA PRODUCCIÓN DE NIÑOS DE DISEÑO**

**Es decir, para obtener un  
niño útil se requiere  
aproximadamente 50  
embriones humanos  
De ellos 49 serían destruidos**

# ALTERNATIVAS A LA PRODUCCIÓN DE NIÑOS DE DISEÑO

# **ALTERNATIVAS A LA PRODUCCIÓN DE NIÑOS DE DISEÑO**

**Bancos de muestras de  
sangre de cordón  
umbilical**

**Bancos de embriones  
debidamente tipificados**

# **BANCOS DE SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL**

## **NECESIDADES POTENCIALES DE USO DE SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL**

**Cada año en Estados Unidos se detectan**

**2000 niños con leucemias y linfomas**

**1500 con drepanocitosis**

**30 a 50 con otras patologías serias pero no  
malignas que requieran trasplante de material  
hematopoyético**

**Blood 101; 351, 2003**

## **NECESIDAD DE CREAR BANCOS DE SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL**

**Dado que no siempre es posible encontrar a un familiar histocompatible que pueda donar sangre de su cordón umbilical o producir un niño de diseño para poder tratar un número tan elevado de pacientes es necesaria la obtención y conservación de un elevado número de cordones umbilicales de personas no relacionadas familiarmente con el paciente  
Esta opción lleva a la creación de bancos de sangre de cordón umbilical**

# ¿QUÉ ES UN BANCO DE SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL?

**Un banco de sangre de cordón umbilical se puede definir como un centro que colecciona, procesa, almacena y mantiene la sangre de cordón umbilical para suministrar sus células madre para trasplante u otros usos terapéuticos**

# **BANCOS DE SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL HISTORIA**

**En 1990 Gluckman y colaboradores tras utilizar por primera vez sangre de cordón umbilical ya plantearon la necesidad de crear bancos de sangre de cordón umbilical**

**New England Journal of Medicine 321; 1174, 1989**

# TIPOS DE BANCOS

**Bancos públicos**

**Bancos privados**

**Bancos mixtos**

## **TIPOS DE BANCOS DE SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL**

**El 75% de bancos de sangre de  
cordón umbilical que hay en el  
mundo son de titularidad pública  
El resto es de titularidad privada**

**Organización Nacional de Trasplantes**

**Febrero 2007**

## **BANCOS DE SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL**

**El primer banco de muestras de sangre  
de cordón umbilical se inauguró en  
Nueva York en 1991**

**Proceedings of the National Academy of Sciences USA  
92; 10119, 1995**

**Actualmente existen en el mundo  
más de 40 bancos de sangre de  
cordón umbilical**

**The Lancet 369; 1906, 2007**

**NÚMERO DE MUESTRAS DE  
SANGRE DE CORDÓN  
UMBILICAL DISPONIBLES**

**En 2005 había en el mundo  
alrededor de 180.000 unidades  
de sangre de cordón umbilical  
almacenada en bancos  
especializados**

**Blood 105; 3786, 2005**

## **NÚMERO DE MUESTRAS DE SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL DISPONIBLES**

**Actualmente en el mundo hay entre 250.000 a 300.000 unidades de cordón umbilical en bancos públicos y alrededor de 11 millones de donantes adultos de médula ósea tipificados**

**Canadian Medical Association Journal 177; 705, 2007  
The Lancet 369; 1906, 2007**

**En bancos privados hay alrededor de 600.000 muestras conservadas**

**elmundo.es, 19-I-2007**

# **BANCOS DE SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL EN ESPAÑA**

**En 2006 se crioconservaron  
3405 unidades de sangre  
de cordón umbilical**

**Organización Nacional de trasplantes**

**elmundo.es 19-I-2007**

## **BANCOS DE SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL EN ESPAÑA**

**En España en enero de 2007 había seis bancos públicos de sangre de cordón umbilical autorizados que por orden de número de unidades almacenadas son: Barcelona, Málaga, Madrid, Galicia, Valencia y Tenerife. Estos bancos almacenan 24.445 unidades lo que supone un 10% del total mundial. Cataluña dispone de 7177 unidades que son accesibles a los registros internacionales.**

Organización Nacional de Trasplantes

elmundo.es, 8-I-2007  
elmundo.es, 19-I-2007  
elmundo.es 31-I-2007

## **BANCOS DE SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL EN ESPAÑA**

**Joan García director del programa de cordón umbilical del Banco de Sangre y Tejidos de Barcelona comentaba recientemente que ya existen en España “25.000 unidades congeladas pero sólo valdrían para trasplante la mitad porque no cumplen con los estándares de calidad al no poseer el número suficiente de células**

**Este especialista estima que si en España hubiera 50.000 unidades de sangre de cordón umbilical junto con las 200.000 disponibles en otros bancos del mundo se tendría prácticamente la probabilidad de que se pudiera encontrar una muestra de sangre de cordón umbilical para cualquier paciente”**

**El Mundo, 25/01/07**

# **BANCOS DE SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL EN ESPAÑA**

**La organización Nacional de Trasplantes prevé que en España se necesitarán unas 60.000 unidades de sangre de cordón umbilical para cubrir todas las necesidades clínicas existentes**

**Organización Nacional de Trasplantes**

**elmundo.es, 31-I-2007**

## **UTILIZACIÓN DE LAS MUESTRAS DE SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL ACTUALMENTE EXISTENTES**

**A fecha 31 de diciembre de 2006 en España, se habían utilizado 423 muestras de sangre de cordón, 104 de ellos en el último año, 270 cordones se han enviado al extranjero y 162 se han utilizado en España**

**Organización Nacional de Trasplantes  
Febrero 2007**

# **¿QUIÉN COORDINA LA RECOGIDA Y DONACIÓN DE LA SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL?**

**En nuestro país el Registro Español de Donantes de Médula Osea (REDMO) realiza la búsqueda tanto de donantes de médula ósea como de unidades de sangre de cordón.**

**La Organización Nacional de Trasplantes (ONT) coordina en colaboración con el REDMO y los bancos de sangre de cordón umbilical la obtención y distribución de la sangre de médula ósea y de las unidades de sangre de cordón umbilical de los bancos**

## **MUESTRAS DE SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL QUE SE CONSERVAN**

**En Alemania actualmente se  
conserva el 1,3% de los cordones  
umbilicales de los recién nacidos**

**En Estados Unidos un 3%**

**En Taiwan un 9%**

**En Corea del Sur un 15%**

**Eberhard F Sampeter**

**El Médico, 26-X-2006**

## **COSTES EN ESPAÑA DE LOS BANCOS DE CORDONES UMBILICALES**

**El coste por analizar y guardar la sangre de un cordón oscila entre 1300 y 1800 euros por lo que para conseguir las 60.000 muestras que se consideran necesarias para que nuestro país sea autosuficiente en esta área se requeriría invertir entre 50 y 70 millones de euros**

**OTROS PROBLEMAS QUE SE SUSCITAN,  
CON RESPECTO A LA SANGRE DE CORDÓN  
UMBILICAL ALMACENADA**

**Un problema médico importante es saber cuanto tiempo se puede mantener la sangre de cordón umbilical congelada en condiciones para ser utilizada clínicamente**

**Según estudios experimentales recientes tras 15 años de congelación la sangre de cordón umbilical mantiene su funcionalidad biológica es decir puede ser utilizada para trasplantes**

# **REGULACIÓN LEGAL DE LOS BANCOS DE SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL EN ESPAÑA**

**La recogida y preservación de la sangre de cordón umbilical está regulada en España por el Real Decreto 1301/2006 en vigor desde el 11 de Noviembre de 2006 que supone la transposición al ordenamiento jurídico español de la Directiva 2004/23 del Parlamento Europeo sobre normas de calidad y seguridad para la donación, evaluación, procesamiento, almacenamiento y distribución de células y tejidos humanos**

**Esta información es aplicable tanto a bancos públicos como privados**

## **REGULACIÓN LEGAL DE LOS BANCOS DE SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL EN ESPAÑA**

**A final del mes de enero de 2007 se celebró en Madrid la Conferencia sobre el Plan de Sangre de Cordón Umbilical. En ella se evaluaron aspectos relacionados con el donante los criterios de selección la metodología de obtención y el papel de las unidades obstétricas**

**Así mismo se propone realizar el inventario de cordones almacenados las acreditaciones de los bancos públicos y privados e incluso mixtos**

**En el Plan que deberá surgir de esa Conferencia se detallarán las aplicaciones clínicas que tiene el uso de la sangre de cordón umbilical**

**A la vez, la agencia del medicamento estadounidense (la FDA) acaba de hacer pública su intención de elaborar en los próximos seis meses nuevas guías para el manejo de la sangre de cordones umbilicales**

# DONACIONES DIRIGIDAS

**La donación dirigida es la extracción y almacenamiento de la sangre de cordón umbilical destinada a un paciente determinado. El Plan Nacional de Sangre de Cordón Umbilical contempla la posibilidad de realizar donaciones dirigidas para familiares en primer grado (padre, madre, hijo o hermano) que padezcan una enfermedad que pueda ser tratada con un trasplante alogénico de células madre de sangre de cordón umbilical**

**Luis T Mercé Alberto  
Conversaciones sobre células madre del cordón umbilical. Hospital Ruber Internacional. Madrid. 2009**

# INDICACIONES DE DONACIONES DIRIGIDAS

**Las enfermedades para las que está indicada la donación dirigida son algunas neoplasias adquiridas como leucemias y linfomas, alteraciones no cancerosas sanguíneas como la aplasia medular y determinadas enfermedades congénitas como la anemia de Falconi o la talasemia mayor**

**Las unidades de sangre de cordón umbilical para donación dirigida deben obtenerse en maternidades autorizadas y su exclusión se valorará de forma específica dado el interés que supone su recolección**

**Luis T Mercé Alberto  
Conversaciones sobre células madre del cordón umbilical. Hospital Ruber Internacional. Madrid. 2009**

# **OTRAS ALTERNATIVAS AL USO DE NIÑOS DE DISEÑO**

**Otra posibilidad es crear bancos de embriones sanos tipificados para el sistema HLA de forma que exista una amplia oferta de embriones compatibles que puedan ser implantados para posteriormente utilizar la sangre de su cordón umbilical**

# CONSIDERACIONES FINALES

# **¿CUÁL ES EL MEJOR MATERIAL PARA TRATAR A UN NIÑO QUE REQUIERE UN TRASPLANTE HEMOTOPOYÉTICO?**

**Ante un niño que requiere que se le transfunda material hemotopoyético la primera opción que hay que considerar es si existe algún familiar compatible inmunológicamente con el enfermo. Si lo hay, ésta es la solución terapéutica idónea**

**En caso de que no se de esta circunstancia existen dos opciones más:**

**Producir un niño de diseño para utilizar la sangre de su cordón umbilical**

**Utilizar sangre de un banco público de cordones umbilicales**

**COMPARACIÓN DE LA EFICIENCIA CLÍNICA ENTRE LA SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL DE UN DONANTE NO RELACIONADO FAMILIARMENTE CON EL PACIENTE QUE RECIBE EL TRASPLANTE Y DE SANGRE DE UN NIÑO DE DISEÑO**

**Si no existe el familiar histocompatible lo más importante es conocer si con la sangre de cordón umbilical de un donante no relacionado familiarmente con el niño enfermo utilizada en las debidas condiciones se pueden conseguir remisiones clínicas similares o casi similares a las que se obtienen utilizando niños de diseño**

**COMPARACIÓN DE LA EFICIENCIA CLÍNICA ENTRE LA SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL DE UN DONANTE NO RELACIONADO FAMILIARMENTE CON EL PACIENTE QUE RECIBE EL TRASPLANTE Y DE SANGRE DE UN NIÑO DE DISEÑO**

**La supervivencia al año del trasplante puede ser del 75% al 90% cuando se utiliza material hemotopoyético de un familiar HLA compatible y del 40% al 80% cuando la sangre de cordón umbilical no es de un familiar.**

**Pediatrics 119; 165, 2007**

**Es decir, las remisiones clínicas cuando se utiliza sangre del cordón umbilical de un banco de sangre de cordones umbilicales son inferiores a las conseguidas con material hemotopoyético de un familiar**

**COMPARACIÓN DE LA EFICIENCIA CLÍNICA ENTRE LA SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL DE UN DONANTE NO RELACIONADO FAMILIARMENTE CON EL PACIENTE QUE RECIBE EL TRASPLANTE Y DE SANGRE DE UN NIÑO DE DISEÑO**

**Sin embargo, ante este dato nos parece que hay que considerar:**

**Que cuando se utiliza sangre de cordón umbilical en ocasiones se puede realizar un segundo trasplante que aumenta en un 10% a 15% las posibilidades de remisión  
Que en los tratamientos actuales no siempre se utilizan muestras de sangre idónea desde el punto de vista de compatibilidad HLA ya que muchas veces se usa sangre con solo 4 antígenos compatibles. Se pueden analizar hasta 12 antígenos y tener en cuenta su histocompatibilidad**

**COMPARACIÓN DE LA EFICIENCIA CLÍNICA ENTRE LA SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL DE UN DONANTE NO RELACIONADO FAMILIARMENTE CON EL PACIENTE QUE RECIBE EL TRASPLANTE Y DE SANGRE DE UN NIÑO DE DISEÑO**

**Si se pudieran tener almacenados en nuestro país alrededor de 200.000 unidades de sangre de cordón umbilical es muy probable que siempre se pudieran utilizar muestras con 6 o más antígenos HLA compatibles**

**En estas circunstancias las remisiones podrían acercarse al 70% que es el porcentaje aproximado que actualmente se consigue utilizando sangre de niños de diseño**

**COMPARACIÓN DE LA EFICIENCIA CLÍNICA ENTRE LA SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL DE UN DONANTE NO RELACIONADO FAMILIARMENTE CON EL PACIENTE QUE RECIBE EL TRASPLANTE Y DE SANGRE DE UN NIÑO DE DISEÑO**

**Por tanto, parece razonable asumir que si se potencia adecuadamente la creación de bancos públicos de sangre de cordón umbilical se podría estar en disposición de tratar a un niño enfermo que requiera un trasplante de material hemotopoyético y no tenga un familiar histocompatible con parecidas expectativas de curación que si se utiliza sangre de cordón umbilical de un niño de diseño**

**COMPARACIÓN DE LA EFICIENCIA CLÍNICA ENTRE LA SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL DE UN DONANTE NO RELACIONADO FAMILIARMENTE CON EL PACIENTE QUE RECIBE EL TRASPLANTE Y DE SANGRE DE UN NIÑO DE DISEÑO**

**Si a ello se añade:**

**Que esta opción terapéutica se puede aplicar al paciente rápidamente probablemente en un plazo no superior a 15 días**

**Que su uso no conlleva ninguna dificultad ética  
Que para producir un niño de diseño útil se requiere un largo**

**proceso técnico que puede oscilar entre año y medio o dos años**

**Que no siempre se consigue  
Que acarrea objetivas molestias para la pareja como pueden ser**

**elevado coste económico o efectos médicos no favorables para la madre, especialmente el síndrome de hiperestimulación ovárica**

**COMPARACIÓN DE LA EFICIENCIA CLÍNICA ENTRE LA SANGRE DE CORDÓN UMBILICAL DE UN DONANTE NO RELACIONADO FAMILIARMENTE CON EL PACIENTE QUE RECIBE EL TRASPLANTE Y DE SANGRE DE UN NIÑO DE DISEÑO**

**Por todo ello, parece razonable concluir que el uso de sangre de cordón umbilical almacenada en bancos públicos especializados puede ser en un futuro próximo la solución idónea tanto desde el punto de vista médico como ético para tratar niños que requieran un transplante de material hemotopoyético y que no tenga un familiar inmunológicamente compatible que pueda proporcionárselo**

**Es decir, con toda  
probabilidad los niños de  
diseño habrán dejado de ser  
útiles antes de que su  
producción se haya  
generalizado**

