

BEIKE BIOTECHNOLOGY

Étude de cas de patients

Ataxie

Mâle, 11 années, février 2023

Résumé

Diagnostic	Sexe	Âge	Nationalité
Ataxie	Mâle	11 années	Australie
Injections	Type de cellule	Nationalité	Date de sortie
8	UCMSC	juillet 2023	août 2023

Antécédents médicaux

Le patient, un jeune homme né en 2012 en Australie, a été diagnostiqué avec l'ataxie de Friedreich (FRDA), un type d'ataxie. Le parcours médical du patient a commencé lorsqu'il a montré des signes de maladresse à l'âge de six ans, qui se sont progressivement aggravés au fil du temps. Le diagnostic initial a révélé une ataxie visible, caractérisée par un pied tombant, une diminution de l'impact du talon bilatéral, une voûte plantaire élevée et une scoliose. Au fur et à mesure de l'évolution de la maladie, le patient a ressenti une faiblesse des membres inférieurs, nécessitant une assistance pour les activités d'équilibre et la marche en tandem. Il se déplace désormais à l'aide d'un déambulateur en raison de douleurs et d'une fatigue croissantes au niveau des jambes. En outre, il est confronté à des difficultés d'articulation de la parole, d'écriture et de tâches quotidiennes, ce qui a un impact sur ses interactions sociales et ses résultats scolaires. Malgré les thérapies en cours et les aides techniques, l'état de la patiente a continué à se détériorer, ce qui l'a amenée à s'adresser au régime national d'assurance invalidité pour obtenir de l'aide.

Condition On Admission

e patient a du mal à marcher sans soutien et souffre d'une faiblesse dans les jambes, ce qui l'oblige à utiliser un déambulateur pour se déplacer. Son élocution se détériore progressivement, ce qui affecte sa capacité à participer à des conversations de manière cohérente. Les capacités d'écriture du patient sont nettement inférieures à la moyenne pour son groupe d'âge, et il éprouve des difficultés à tenir des crayons et des couverts pendant de longues périodes. En outre, il présente un léger nystagmus, un tremblement intentionnel et une dysmétrie au niveau des membres supérieurs. Son état a entraîné des limitations dans les activités quotidiennes, les tâches scolaires et les interactions sociales. Malgré des interventions telles que la physiothérapie, l'ergothérapie et des consultations médicales régulières, sa capacité fonctionnelle continue de diminuer, ce qui souligne la nécessité d'un soutien et d'une prise en charge continue pour améliorer sa qualité de vie.

Calendrier de traitement

Le patient a reçu 8 paquets de cellules souches dérivées du cordon ombilical (UCMSC) par injection intraveineuse (IV) et par injection intrathécale via une ponction lombaire (PL), selon le calendrier ci-dessous :

Number	Date	Cell Type	Delivery Method	Side Effects
1	2023-08-01	UCMSC	Injection Intrathécale & Injection intraveineuse	aucun rapport
2	2023-08-07	UCMSC	Injection Intrathécale	aucun rapport
3	2023-08-10	UCMSC	Injection Intrathécale & Injection intraveineuse	aucun rapport
4	2023-08-14	UCMSC	Injection Intrathécale	aucun rapport
5	2023-08-17	UCMSC	Injection Intrathécale & Injection intraveineuse	aucun rapport

État à la sortie

Après le traitement, l'état physique général s'est amélioré, avec de légères améliorations de l'équilibre en position debout. Le patient ressent une douleur thoracique modérée et des améliorations ont été observées au niveau de l'équilibre, du contrôle des mouvements et de la coordination. Une amélioration significative est constatée au niveau de la fatigue, de la mauvaise humeur ou de l'anxiété, et de la raideur musculaire, tandis que de petites améliorations sont notées au niveau des mouvements fins de la main et de la déglutition. Une amélioration modérée de la capacité de marche est observée. Le patient continue à faire des progrès, bien que le médecin ne les ait pas confirmés. Les parents sont satisfaits du résultat du traitement et

aucun traitement supplémentaire n'a été administré après le traitement par cellules souches.

Symptôme	Évaluation de l'amélioration par les parents
Équilibre	Petite amélioration
Contrôle des mouvements	Amélioration modérée
Coordination	Petite amélioration
Fatigue	Amélioration significative
Humeur maussade ou anxiété	Amélioration significative
Raideur musculaire	Amélioration significative
Déglutition	Amélioration modérée
Marche	Amélioration modérée
Mouvements fins de la main	Petite amélioration

État 1 mois après le traitement

L'état physique général du patient s'est considérablement amélioré, avec une augmentation de la force et de l'appétit. Il y a eu une amélioration significative de la qualité de vie du patient, bien que le médecin n'ait pas confirmé ces améliorations. Malgré l'absence de traitement supplémentaire après la thérapie par cellules souches, les symptômes généraux du patient ont évolué positivement. Plus précisément, il y a eu une amélioration remarquable de l'équilibre, de la coordination, du contrôle des mouvements, des mouvements fins de la main, de la baisse de l'humeur ou de l'anxiété, de la déglutition et de la capacité à marcher. Le patient présente désormais un meilleur équilibre, peut marcher sans aide sur de courtes distances et peut se lever sans aide d'une position assise, ce qui indique une amélioration substantielle de la mobilité et de l'indépendance.

Symptôme	Évaluation de l'amélioration par les parents
Équilibre	Amélioration significative
Contrôle des mouvements	Amélioration significative
Coordination	Amélioration significative
Fatigue	Amélioration significative
Mouvements fins de la main	Amélioration significative

Humeur maussade ou anxiété	Amélioration significative
Déglutition	Amélioration significative
Marche	Amélioration significative

État 3 mois après le traitement

Trois mois après le traitement, le patient a constaté des améliorations significatives de sa condition physique générale, avec des réductions notables des niveaux de fatigue. L'exercice régulier a permis de maintenir le tonus musculaire et de renforcer le tronc, contribuant ainsi à l'amélioration de la qualité de vie de la patiente. Malgré l'absence de confirmation de la part du médecin, le patient et ses soignants sont satisfaits du résultat du traitement et continuent d'observer des améliorations. Trois mois après le traitement, l'équilibre et la coordination du patient ont connu des améliorations modérées à significatives, ainsi que des améliorations significatives dans le contrôle des mouvements, les mouvements fins des mains, la baisse de l'humeur ou de l'anxiété et la raideur musculaire. La capacité de marche s'est également améliorée de manière significative, permettant au patient de se lever et de se transférer avec une plus grande indépendance, bien qu'une certaine assistance soit encore nécessaire.

Symptôme	Évaluation de l'amélioration par les parents
Équilibre	Amélioration modérée
Contrôle des mouvements	Amélioration modérée
Coordination	Amélioration significative
Fatigue	Amélioration significative
Mouvements fins de la main	Amélioration significative
Humeur maussade ou anxiété	Amélioration significative
Raideur musculaire	Amélioration significative
Marche	Amélioration significative