

BEIKE BIOTECHNOLOGY

Étude de cas de patients

Infirmité motrice cérébrale

Mâle, 9 mois, février 2022

Résumé

Diagnostic	Sexe	Âge	Nationalité
Infirmité motrice cérébrale	Mâle	9 mois	Roumanie
Injections	Type de cellule	Nationalité	Date de sortie
8	UCMSC	février 2022	février 2022

Antécédents médicaux

Le patient, un nourrisson de sexe masculin né en mai 2020, présente des antécédents médicaux complexes. On lui a diagnostiqué une malformation cardiaque ALCAPA, qui a été réparée chirurgicalement en septembre 2020. Cependant, il a également été victime d'un accident vasculaire cérébral à la même époque, ce qui a entraîné une épilepsie symptomatique et une suspicion d'atrophie partielle du nerf optique. Après l'intervention chirurgicale, il a eu des crises d'épilepsie et a été traité avec des médicaments antiépileptiques, mais sa maladie est restée résistante aux médicaments, avec des crises quotidiennes qui ont affecté sa santé cardiaque. Sa fonction cardiaque, dont la fraction d'éjection est actuellement de 20 %, limite les options thérapeutiques en raison des contre-indications liées à la sédation. Des médicaments pour la fonction cardiaque, la diurèse et l'épilepsie sont en cours depuis le diagnostic, avec des ajustements pour gérer ses symptômes.

Condition On Admission

Les symptômes actuels du patient comprennent des crises quotidiennes d'intensité et de durée variables, malgré les ajustements de médicaments et l'hospitalisation. Les crises, caractérisées par des spasmes, se produisent 3 à 5 fois par jour et durent 3 à 5

minutes chacune. Son état neurologique présente des difficultés, avec des soupçons d'atrophie partielle du nerf optique, d'atrophie cérébrale modérée-sévère et de lésions diffuses observées à l'IRM. Bien que son état cardiaque et pulmonaire soit stable, sa fonction cardiaque reste compromise, ce qui influe sur le choix des stratégies de traitement. Les inquiétudes concernant le retard de perception visuelle et l'impact des médicaments sur son nerf optique ajoutent à la complexité de sa prise en charge médicale. Malgré les évaluations et les traitements en cours, la famille cherche des interventions visant à arrêter les crises, à améliorer la fonction neurologique, la vision et la santé cardiaque.

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	2022-02-10	UCMSC	Injection Intrathécale & Injection intraveineuse	aucun rapport
2	2022-02-14	UCMSC	Injection Intrathécale & Injection intraveineuse	aucun rapport
3	2022-02-17	UCMSC	Injection Intrathécale & Injection intraveineuse	aucun rapport
4	2022-02-21	UCMSC	Injection Intrathécale	aucun rapport
5	2022-02-24	UCMSC	Injection Intrathécale	aucun rapport

État à la sortie

L'évaluation de la patiente après le traitement révèle plusieurs améliorations, même si elles sont pour la plupart mineures. On observe notamment des améliorations significatives de l'appétit et de petites améliorations de l'amplitude des mouvements et du contrôle de la tête. Cependant, certains symptômes ne se sont pas améliorés, notamment l'équilibre, le bavage, la force musculaire des membres, les troubles de l'humeur, l'élocution, la déglutition et la force musculaire du tronc. Le traitement semble avoir aggravé les mouvements involontaires. En ce qui concerne les fonctions spéciales, le patient a principalement conservé la capacité de contrôler les mouvements de la tête et de concentrer son attention instantanément. Il y a une miction réflexe partielle sans contrôle de la fonction vésicale, tandis que le contrôle des intestins reste impossible. Le patient est généralement capable de reconnaître les membres de sa famille et a une mémoire des choses, mais il a des difficultés avec les fonctions

langagières telles que la compréhension des expressions, la formation de phrases et la reconnaissance des formes. Dans l'ensemble, si des progrès ont été constatés, des améliorations significatives restent nécessaires dans certains domaines.

Symptôme	Évaluation de l'amélioration par les parents
Appétit	Amélioration significative
Tenue de la tête	Petite amélioration
Amplitude des mouvements	Petite amélioration

État 3 mois après le traitement

Trois mois après le traitement, l'état de santé du patient s'est considérablement dégradé. L'état physique général ne s'est pas amélioré et la qualité de vie non plus, selon les parents. Le traitement par cellules souches n'a pas apporté d'améliorations confirmables, ce qui les a laissés insatisfaits du résultat. En outre, le patient a eu besoin de Depakine comme traitement supplémentaire en raison d'un nouveau déclenchement de l'épilepsie par les cellules souches. Notamment, certains symptômes se sont aggravés depuis le traitement, notamment le contrôle de la tête, la force musculaire des membres et l'amplitude des mouvements.

Symptôme	Évaluation de l'amélioration par les parents
Tenue de la tête	Pire qu'avant le traitement
Force musculaire des membres	Pire qu'avant le traitement
Amplitude des mouvements	Pire qu'avant le traitement
Contrôle de la vessie	Fonction normale

État 12 mois après le traitement

Douze mois après le traitement, l'état physique général du patient s'est modérément amélioré, bien que le traitement par cellules souches n'ait pas amélioré sa qualité de vie telle que perçue par les parents. De légères améliorations ont été constatées au niveau de l'équilibre, du contrôle de la tête, des mouvements involontaires et de l'amplitude des mouvements. Certains symptômes sont restés inchangés, comme le contrôle de la vessie et la marche à quatre pattes, tandis que la bave ne s'est pas améliorée et que l'appétit et la force musculaire ont connu des améliorations modérées et significatives.

Symptôme	Évaluation de l'amélioration par les parents
Appétit	Amélioration modérée
Équilibre	Petite amélioration

Tenue de la tête	Petite amélioration
Mouvements involontaires	Petite amélioration
Force musculaire des membres	Amélioration significative
Babillage	Amélioration modérée
Se lever	Amélioration modérée
Déglutition	Amélioration modérée
Force musculaire du tronc	Amélioration modérée