



TRANSPLANTE DE CÉLULAS-TRONCO HEMATOPOIÉTICAS NO TRATAMENTO DE LEUCODISTROFIAS EM PEDIATRIA

DANIELA SASSO PASQUINI

Introdução: Leucodistrofias são um grupo de doenças genéticas raras derivadas de erros inatos do metabolismo. Geralmente ocorrem na infância, causando desmielinização neuronal e prejuízo à substância branca. O transplante de células-tronco hematopoiéticas (TCTH) é uma das opções terapêuticas utilizadas para tratar diferentes tipos de leucodistrofias, apresentando efeitos no retardamento da progressão da doença e no aumento da sobrevida de pacientes pediátricos acometidos. **Objetivo:** Demonstrar e analisar, a partir de revisão de literatura médica, a importância do transplante de células-tronco hematopoiéticas no tratamento de diferentes tipos de leucodistrofias em pacientes pediátricos. **Material e Métodos:** Foi realizada uma revisão de literatura utilizando os bancos de dados PubMed e SciELO. A busca foi feita com os descritores "leukodystrophy" AND "Hematopoietic Stem Cell Transplantation". Foram incluídos artigos na língua portuguesa e inglesa publicados após 2019. **Resultados:** Ao total foram encontrados 80 artigos, desses foram excluídos aqueles duplicados e que não abordavam o tema de interesse. Portanto, foram escolhidos ao final 4 artigos que apresentavam abordagem condizente ao objetivo estabelecido da pesquisa. TCTH tem sido o tratamento de escolha para esse grupo de doenças há décadas, sendo utilizado em adrenoleucodistrofia ligada ao X (X-ALD), leucodistrofia metacromática (LDM) e leucodistrofia de células globóides (doença de Krabbe). O transplante deve ser indicado logo ao início do curso das leucodistrofias, impactando no desfecho da doença e no prognóstico do paciente. Em LDM e doença de Krabbe essa terapia faz correção cruzada de distúrbios lisossomais pela substituição de células da microglia mediante macrófagos do doador. Já na X-ALD ocorre correção em distúrbio peroxissomal não totalmente compreendido, com células doadoras cruzando a barreira hematoencefálica e estabilizando o processo de desmielinização. Além disso, um estudo mostrou que as células da medula óssea penetram no espaço vascular e perivascular cerebral, com efeito, na normalização da permeabilidade da substância branca e do fluxo microvascular. **Conclusão:** O TCTH mostrou-se eficaz no tratamento de leucodistrofias, retardando a progressão da doença e melhorando a sobrevida. A intervenção precoce é essencial para otimizar o prognóstico e estabilizar a função neurológica, reforçando a importância de um diagnóstico rápido e da aplicação oportuna do TCTH aos pacientes pediátricos.

Palavras-chave: **LEUCODISTROFIA; TRANSPLANTE DE CÉLULAS-TRONCO HEMATOPOIÉTICAS; PEDIATRIA**