

# Enfermedades tratables

## CÁNCER

- › Leucemia Linfoblástica Aguda (ALL)
- › Leucemia, Mieloide Aguda (AML)
- › Linfoma de Burkitt
- › Leucemia Mieloide Crónica (CML)
- › Leucemia Juvenil mielomonocítica (JMML)
- › Linfocitosis Hemofagocítica
- › Linfoma No-Hodgkin
- › Linfoma de Hodgkin
- › Histiocitosis de células de Langerhans
- › Granulomatosis Linfomatoide
- › Síndrome Mielodisplástico (MDS)
- › Leucemia Mielomonocítica Crónica (CMML)

## SÍNDROMES DE FALLO DE LA MÉDULA OSEA

- › Trombocitopenia Amegakariocítica
- › Neutropenia Autoinmune (severa)
- › Anemia Diseritropoética Congénita
- › Neutropenia Cíclica
- › Anemia de Diamond-Blackfan
- › Síndrome de Evan
- › Anemia de Fanconi
- › Enfermedad de Glanzmann
- › Dermatomiositis Juvenil
- › Síndrome de Kostmann
- › Aplasia de Células Rojas
- › Síndrome de Schwachman
- › Anemia Aplásica Severa
- › Anemia Sideroblástica Congénita
- › Trombocitopenia con Radio Ausente
- › Disqueratosis congénita

## ALTERACIONES METABÓLICAS

- › Adrenoleucodistrofia
- › Enfermedad de Gaucher (infantil)
- › Leucodistrofia Metacromática
- › Enfermedad de Krabbe (leucodistrofia de células globoides)
- › Enfermedad de Gunther
- › Síndrome de Hermansky-Pudlak
- › Síndrome de Hurler
- › Síndrome de Scheie
- › Síndrome de Hunter
- › Síndrome de Sanfilippo
- › Síndrome de Maroteaux-Lamy
- › Mucopolisidosis Tipos II, III
- › Alfa mannosidosis
- › Síndrome de Niemann Pick Syndrome, tipo A y B
- › Síndrome de Sandhoff Syndrome
- › Enfermedad de Tay-Sachs

- › Enfermedad de Batten
- › Enfermedad de Lesch-Nyhan

### **ALTERACIONES DE LA SANGRE / Hemoglobinopatias**

- › Anemia de células Falciformes (hemoglobina SS)
- › Enfermedad HbSC
- › Talasemia  $\beta_0$
- ›  $\alpha$ -talasemia mayor (hydrops fetal)
- ›  $\beta$ -talasemia mayor (Anemia de Cooley)
- ›  $\beta$ -talasemia intermedia
- › E- $\beta_0$  talasemia
- › E- $\beta^+$  talasemia
- › Inmunodeficiencias
- › Ataxia telangiectásica
- › Enfermedad crónica Granulomatosa
- › Síndrome de DiGeorge
- › Deficiencia Gamma IKK
- › Disregulación InmunePoliendocrinopatias ligada al X
- › Mucopolidosis, Tipo II
- › Mielokatexis
- › Inmunodeficiencia ligada al X
- › Inmunodeficiencia combinada Severa
- › Deficiencia de Adenosine deaminase
- › Síndrome de Wiskott-Aldrich
- › Agammaglobulinemia Ligada al X
- › Enfermedad Linfoproliferativa
- › Síndrome de Omenn
- › Displasia Reticular
- › Displasia Timica
- › Deficiencia de Adhesión del Leucocito
- › Dermatomiositis Juvenil
- › Síndrome de Kostmann
- › Aplasia de Células Rojas
- › Síndrome de Schwachman
- › Anemia Aplàstica Severa
- › Anemia Sideroblàstica Congenita
- › Trombocitopenia con Radio Ausente
- › Disker

### **OTROS**

- › Osteopetrosis

### **NUEVAS APLICACIONES**

- › Diabetes Insulino Dependiente
- › Parálisis Cerebral
- › Evento Vascular Cerebral
- › Infarto Agudo del Miocardio
- › Lesiones articulares