

การปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือด ในโรคราล์สซีเมีย

“ เนื่องจากการรักษาโรคราล์สซีเมียชนิดรุนแรงให้หายขาดมีทางเดียวคือการเปลี่ยนแปลงการสร้างฮีโมโกลบิน (สารสีแดงที่นำออกซิเจนไปเลี้ยงส่วนต่างๆ ของร่างกาย) ที่ผิดปกติให้มีการสร้างได้ปกติ หรือเกือบปกติ โดยวิธีการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือด (แต่ก่อนเรียกว่าปลูกถ่ายไขกระดูก) ซึ่งนำมาจากผู้อื่นมาใส่ให้ผู้ป่วย หรือนำเซลล์ต้นกำเนิดผิดปกติของผู้ป่วยเองไปทำการตัดต่อ เปลี่ยนแปลงให้มีการสร้างฮีโมโกลบินปกติได้โดยกระบวนการเปลี่ยนยีน ”

ในครั้งนี้อะหมอจะเล่าถึงเรื่องการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดเสียก่อนเนื่องจากในปัจจุบันมีการทำการรักษาด้วยวิธีนี้แพร่หลายมาก โอกาสหน้าคงจะได้เล่าเรื่องการเปลี่ยนยีน

เมื่อมีกระแสข่าวการรักษาโรคให้หายขาดได้ ผู้ป่วยและพ่อแม่ผู้ปกครองโรคราล์สซีเมียจะหัวใจพองโต มองเห็นความหวังในการรักษาโรคของตนเองหรือของบุตรหลานให้หายขาด ช่วงที่มีข่าวการรักษาที่มีการเปลี่ยนแปลงที่ดีขึ้นแต่ละครั้งออกมา คุณหมอทั้งหลายต้องคอยตอบคำถามในเรื่องดังกล่าวกันมากมาย ซึ่งผู้ป่วยและพ่อแม่ผู้ปกครองบางคนยังคงมีความหวัง ในขณะที่บางคนหัวใจกลับเหี่ยวแห้งเช่นเดิม

การปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดมีการทำมากขึ้น มีการศึกษาและมีเทคนิคในการทำพัฒนาไปได้ผลดีมาก ขึ้น พวดูเหมือนจะง่ายแต่ก็ไม่ง่ายเหมือนตัวเปื้อนแล้วอาบน้ำให้สะอาดหลักการของการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดคือการเอาเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดของผู้อื่นที่ร่างกายผู้ป่วยยอมรับโดยคาดว่าจะไม่มีการต่อต้านกันหรือมีการต่อต้านกันน้อยที่สุดไปใส่ให้ผู้ป่วยนี้แหละคือความยาก

ในร่างกายของแต่ละคนจะมีลักษณะทางพันธุกรรมซึ่งถูกกำหนดโดยยีนแตกต่างกัน ทำให้คนแตกต่างกัน นอกจากความแตกต่างยังมีการต่อต้านไม่ยอมรับซึ่งกันและกัน

ลองอ่านเรื่องยุ่งๆ ต่อนะคะ
ในร่างกายสิ่งมีชีวิตทั้งหลายมีหน่วยเล็กที่สุดเรียกว่าเซลล์ มากมายนับล้าน เซลล์ทำหน้าที่ต่างๆ กันไปแล้วแต่อวัยวะที่มีเซลล์นั้นๆ อยู่ ในเซลล์มีหัวใจของเซลล์เรียกว่านิวเคลียสและมีส่วนที่ห่อหุ้มล้อมนิวเคลียสเรียกว่าไซโตพลาสซึม นอกสุดของเซลล์คือเยื่อหุ้มเซลล์หรือผนังเซลล์
ลองนึกภาพเซลล์ เปรียบเทียบกับไข่ไก่ นิวเคลียสคือไข่แดง ไซโตพลาสซึมคือไข่ขาว เยื่อหุ้มเซลล์หรือผนังเซลล์คือเปลือกไข่

ทั้งนิวเคลียสและไซโตพลาสซึมต่างก็มีส่วนประกอบและหน้าที่สำคัญที่จะทำให้สิ่งมีชีวิตดำเนินชีวิตได้อย่างปกติ

ในนิวเคลียสมีสารพันธุกรรม
ยีนเป็นหน่วยพันธุกรรมที่เล็กที่สุดอยู่ในดีเอ็นเอ (DNA: Deoxyribonucleic acid) ดีเอ็นเอเป็นส่วนหนึ่งของ โครโมโซมซึ่งเห็นอยู่เป็นคู่กัน เมื่อผ่าเซลล์ไปเพาะเลี้ยงไว้ โครโมโซมในนิวเคลียสของเซลล์จะอยู่กันเป็นคู่คล้ายปาต่องโก่

พ่อแม่ส่งต่อยีนคือส่งต่อลักษณะพันธุกรรมไปยังลูกได้ ลูกจะได้รับสารพันธุกรรมจากพ่อมาครึ่งหนึ่ง (เปรียบเหมือนปาต่องโก่ข้างหนึ่ง) และจากแม่มาอีกครั้งหนึ่ง (เปรียบได้กับปาต่องโก่อีกข้างหนึ่ง) หากพ่อและแม่เป็นพาหะราล์สซีเมียโอกาสที่ลูกจะรับความผิดปกติจากทั้งพ่อและแม่ทำให้ลูกเป็นโรคราล์สซีเมีย (มีความผิดปกติที่โครโมโซมทั้งสองข้าง) หรือบางคนได้รับพันธุกรรมผิดปกติมาจากฝ่ายใดฝ่ายหนึ่งทำให้ลูกมีความผิดปกติเพียงข้างเดียวของโครโมโซมก็ไม่ใช่โรค เป็นเพียงพาหะราล์สซีเมียเช่นเดียวกับพ่อและแม่ บางคนรับแต่ส่วนปกติของพ่อและแม่มา ก็จะเป็นปกติไม่เป็นพาหะ โอกาสจะเป็นอะไรก็ยากที่จะคาดเดาเช่นเดียวกับโอกาสที่จะมีลูกว่าเป็นผู้ชายหรือผู้หญิงซึ่งโอกาสนี้จะเป็นครึ่งต่อครึ่ง แต่โอกาสที่จะมีลูกเป็นโรคราล์สซีเมียเป็นเท่าใดขึ้นกับว่าพ่อและแม่มีพันธุกรรมอย่างไร (คำว่าโอกาสในพ่อแม่ที่มีความเสี่ยงต่อการมีลูกเป็นโรคราล์สซีเมียหมายความว่าอาจมีลูกเป็นโรค หรือไม่โรค อาจเป็นพาหะหรือปกติขึ้นอยู่กับพันธุกรรมของพ่อแม่และพันธุกรรมในส่วนที่ลูกรับไป)

ข้อจำกัดของผู้ป่วยราล์สซีเมียคือพ่อแม่มีลูกเป็นโรคราล์สซีเมียชนิดรุนแรงคนแรก แล้วจะกลัวการมีลูกคนที่สอง หรือ

บางคู่มีลูกคนแรกเป็นโรคธาลัสซีเมีย แต่เนื่องจากคนแรกยังไม่อาการไม่ชัดเจน ในขณะที่เด็กอายุน้อยยังไม่ไดวินิจฉัยว่าเป็นโรค พ่อแม่อาจมีลูกคนที่สองเป็นโรคธาลัสซีเมียอีก กว่าจะวินิจฉัยโรคก็มีลูกเป็นโรคธาลัสซีเมียไปสองคนแล้ว

“พี่น้องของผู้ป่วยธาลัสซีเมียจะเป็นผู้บริจาคเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดในการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดแต่ต้องเป็นพี่น้องที่มีเฮชแอลเอเหมือนกัน”

คุณหมอบอกอย่างนี้ใช่ไหมคะ
เรื่อง เฮชแอลเอ ทำให้งงอีกแล้ว

เฮชแอลเอ (HLA: Human leukocyte antigen) มียีนเฮชแอลเอควบคุมการสร้างโปรตีนที่ไปเกาะบนผนังเซลล์ต่างๆ เนื่องจากพบที่ผนังเซลล์ของเม็ดเลือดขาวก่อนจึงตั้งชื่อว่า Human leukocyte antigen (leukocyte คือเม็ดเลือดขาว) เฮชแอลเอของแต่ละคนไม่เหมือนกัน โอกาสที่พ่อแม่จะมีลูกที่มีเฮชแอลเอเหมือนกัน (matched related HLA) ได้ประมาณ 1 ใน 4 แต่พ่อแม่หลายคู่มีลูกหลายคนเฮชแอลเอไม่เหมือนกันก็มาก ขณะที่พ่อแม่บางคู่มีลูกเพียง 2 คน เฮชแอลเอเข้ากันได้ก็มี (หลักการถ่ายทอดยีนเฮชแอลเอใช้หลักการแบบปาหังโก้เช่นเดียวกัน)

การมีพี่น้องพ่อแม่เดียวกันเฮชแอลเอเหมือนกัน ทำให้โอกาสทำการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดของผู้ป่วยธาลัสซีเมียชนิดรุนแรงประสบความสำเร็จสูงและต่อต้านกันน้อย

ดังนั้นการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดของผู้ป่วยธาลัสซีเมียชนิดรุนแรงต้องการผู้ให้เซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดที่ไม่เป็นโรคธาลัสซีเมีย (ผู้ให้เซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดเป็นคนปกติหรือเป็นพาหะธาลัสซีเมียก็เป็นผู้ให้ได้) และมีเฮชแอลเอเหมือนกัน

พ่อแม่บางคู่จึงตั้งใจมีลูกคนใหม่ที่ปกติเพื่อจะหาทางให้น้องปกติเป็นผู้ให้เซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดแก่พี่ที่เป็นโรคโดยวิธีการวินิจฉัยก่อนคลอด และเลือกที่

จะมีลูกที่ไม่เป็นโรคธาลัสซีเมียชนิดรุนแรง ซึ่งอาจได้ลูกปกติหรือลูกที่เป็นพาหะ

แต่ข้อจำกัดด้านที่สองคือการทำให้ทั้งคู่ที่มีเฮชแอลเอเหมือนกันก็ยากขึ้นไปอีกระดับหนึ่ง

เซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือด หากจะเปรียบเทียบคือข้าวเปลือกที่สามารถเจริญเติบโตเป็นต้นข้าวที่จะออกผลคือเมล็ดข้าวได้ต่อไป

เมื่อเมล็ดข้าวเปลือกที่ไม่สามารถเติบโตเป็นต้นข้าวที่ให้ผลผลิตปกติได้ ชาวนา ก็สามารถเปลี่ยนเอาเมล็ดข้าวเปลือกที่ให้ผลผลิตสมบูรณ์ปลูกแทน

เซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดเป็นเซลล์ที่เป็นต้นกำเนิดของเม็ดเลือดชนิดต่างๆ ทั้งเม็ดเลือดแดง เม็ดเลือดขาว และเกล็ดเลือด เพื่อทำหน้าที่แตกต่างกันโดยเม็ดเลือดแดงมีสารสีแดงที่เรียกว่า ฮีโมโกลบิน ทำหน้าที่นำออกซิเจนจากปอดไปเลี้ยงส่วนต่างๆ ของร่างกาย และรับก๊าซคาร์บอนไดออกไซด์จากเนื้อเยื่อเหล่านั้นไปสู่ปอดเพื่อขับก๊าซคาร์บอนไดออกไซด์ออกจากร่างกาย เม็ดเลือดขาวทำหน้าที่ป้องกันและทำลายเชื้อโรค ส่วนเกล็ดเลือดมีหน้าที่ในส่วนของการแข็งตัวของเลือดทำให้ไม่มีเลือดออกผิดปกติ

เม็ดเลือดที่สำคัญที่เสียไปในโรคธาลัสซีเมีย คือเม็ดเลือดแดง เนื่องจากโรคนี้มีการสร้างสายโกลบินซึ่งเป็นส่วนประกอบของฮีโมโกลบินในเม็ดเลือดแดงผิดปกติ คือสร้างสายโกลบินน้อยลงหรือสร้างไม่ได้

ในคนปกติจะมีสายโกลบินต่างชนิดที่เรียกว่าสายโกลบินแอลฟาและสายโกลบินบีที่ไม่ใช่แอลฟาอย่างละ 2 สายมารวมกันเป็นฮีโมโกลบินแต่ละชนิด สายโกลบินแอลฟาควบคุมโดยยีนแอลฟา สายโกลบินชนิดที่ไม่ใช่แอลฟาได้แก่สายแกมมา เบต้า และเดลต้าทั้งสามชนิดหลังนี้มีกลุ่มยีนที่เรียกว่ากลุ่มยีนเบต้าควบคุมการสร้างสายโกลบินเหล่านั้นคนปกติมีฮีโมโกลบินชนิดเอ (HbA) หรือ adult hemoglobin

(เกิดจากสายโกลบินแอลฟากับเบต้ารวมกัน) มาก แต่จะมีฮีโมโกลบินชนิดเอฟ (Hb F) หรือ fetal hemoglobin (เกิดจากสายโกลบินแอลฟากับแกมมาวมกัน) น้อย อัตราส่วนนี้จะกลับกันกับขณะเป็นทารก เมื่อยังเป็นทารกในครรภ์มารดาจะมีฮีโมโกลบินชนิดเอฟมากและฮีโมโกลบินเอฟจะลดลงจนเท่ากับปกติ เมื่ออายุหลังเกิด 1 ปี

โดยสรุปคือ โรคธาลัสซีเมียเกิดจากความผิดปกติของยีนแอลฟาหรือเบต้า หรืออาจจะผิดปกติทั้งยีนแอลฟาและเบต้า หัวใจสำคัญของการเกิดโรคธาลัสซีเมียคือการเกิดภาวะไม่สมดุลของสายโกลบินแอลฟาและเบต้า เมื่อการสร้างสายโกลบินหนึ่งลดลง สายโกลบินส่วนที่เหลือจะมากเกินไปมีคู้จับ ต้องจับกันเองทำให้เกิดฮีโมโกลบินที่ไม่คงทน ตกตะกอน และไปเกาะที่ผนังเม็ดเลือดแดง ทำให้เม็ดเลือดแดงแตกง่ายกว่าปกติ

อาการของโรคธาลัสซีเมียเป็นผลตามจากการแตกของเม็ดเลือดแดง คือ ซีด เหลือง ตับม้ามโต ไพรงกระดูกขยายกว้าง เพื่อสร้างเม็ดเลือดแดงทดแทนกับภาวะโลหิตจาง (ซีด) ทำให้หน้าตาเปลี่ยน กระดูกบาง หักง่าย

กลับมาที่การปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือด ไม่ได้มีการเปลี่ยนแปลงยีนที่ผิดปกติให้ปกติ แต่เป็นการใส่เซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดปกติเข้าไปเพื่อให้สร้างเม็ดเลือดปกติ

ดังนั้นผู้ป่วยที่ทำการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดได้ผลสำเร็จ หายจากอาการของโรคธาลัสซีเมียยังคงมียีนธาลัสซีเมียอยู่ สามารถถ่ายทอดความผิดปกติไปยังลูกหลานได้ เพียงแต่เลือดที่สร้างใหม่เป็นเลือดชุดใหม่ของผู้ที่ให้เซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือด

การปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดโดยได้เซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดมาจากพี่น้องพ่อแม่เดียวกันที่มีเฮชแอลเอเหมือนกันทั้งหมดจะได้ผลดี และเป็นการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดที่ได้

ผลคุ้มค่า ผู้ป่วยโรคธาลัสซีเมียชนิดรุนแรงจะเปลี่ยนเป็นคนที่ใช้ชีวิตปกติไม่ต้องได้รับเลือดต่อไปอีก บางคนอาจยังมีธาตุเหล็กสูงหลงเหลืออยู่ อาจต้องให้ยาขับธาตุเหล็กต่อจนธาตุเหล็กกลับมาอยู่ในระดับที่ยอมรับได้

ปัจจุบันมีการนำเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดมาจากผู้อื่นที่ไม่ใช่พี่น้องกัน แต่มีเอชแอลเอที่เข้ากันได้ ซึ่งโอกาสนี้ อาจพบประมาณ 1 ต่อ 50,000 ถึง 1 ต่อแสนของประชากรที่มีเชื้อชาติเหมือนกัน ซึ่งขณะนี้ประเทศไทยมีธนาคารเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดที่สภากาชาดไทย ในประเทศต่างๆ ก็มีธนาคารเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดของตนเอง ยังมีผู้บริจาคเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดมากเท่าใด โอกาสหาเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดจะง่ายขึ้นมาก

ผู้ที่มีจิตกุศลจึงอาจไปแสดงความจำนงบริจาคเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดได้ โดยให้ข้อมูลเอชแอลเอของตนเก็บไว้ที่ธนาคารและเมื่อมีผู้ต้องการขอใช้ซึ่งอาจไม่ใช่โรคธาลัสซีเมียเพียงอย่างเดียว มีโรค มะเร็ง และโรคพันธุกรรมอีกหลายอย่างที่สามารถรักษาให้หายได้โดยการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดทางธนาคาร เซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดจะติดต่อกันเพื่อนัดให้ไปบริจาคเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือด

การบริจาคเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดที่ได้สะดวกคือแยกจากเลือดของผู้บริจาค โดยการนำเลือดที่เจาะหลอดเลือดดำเหมือนกับเวลาบริจาคเลือดผ่านเข้าเครื่องเพื่อเลือกเซลล์ที่ต้องการใช้ (cell separator) ส่วนที่ไม่ต้องการใช้ก็คืนกลับไปยังผู้บริจาค

ในผู้บริจาคเซลล์ที่เป็นเด็กซึ่งคือพี่น้องของผู้ป่วยอาจใช้วิธีนำเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดจากไขกระดูก โดยวางยาสลบให้เด็กผู้บริจาค แล้วใช้เข็มเจาะไขกระดูกบริเวณกระดูกสะโพกดูดเลือดออกไปดำเนินการต่อ เด็กผู้บริจาคจะมีอาการปวดบริเวณเจาะเล็กน้อยอยู่วันสองวันรับประทานยาแก้ปวดก็ดีขึ้น แล้วจะฟื้นกลับเป็นปกติในเร็ววัน ไขกระดูกของเด็กที่เป็นผู้ให้จะสร้างเม็ดเลือดขึ้นมาทดแทนส่วน



ที่บริจาคออกไปในเวลาไม่นานผู้ป่วยเด็กบางคนอาจได้รับเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดจากเลือดที่บีบออกมาจากสายรกของน้องที่เกิดใหม่ที่มีเอชแอลเอเข้ากันได้ แต่กรณีนี้มีข้อจำกัดว่าผู้ป่วยต้องตัวไม่ใหญ่มากจนเซลล์ต้นกำเนิดน้อยไป

ในปัจจุบันวิทยาการเจริญก้าวหน้าไปมาก มีการเริ่มเอาเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดจากแม่หรือพ่อซึ่งอาจมีเอชแอลเอใกล้เคียงกับลูกมากที่สุด แล้วนำไปเข้ากระบวนการคัดแยกเฉพาะเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดที่ต้องการใส่เข้าไปให้ลูกของตนเอง ซึ่งแม้จะมีการทำยังไม่มาก แต่มีผลน่าพึงพอใจ ในอนาคตอาจช่วยแก้ปัญหาให้ผู้ป่วยธาลัสซีเมียชนิดรุนแรงได้มากขึ้น

การปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดต้องมีการเตรียมตัวผู้รับให้พร้อมที่จะรับเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดของผู้อื่น คล้ายกับการทำนาต้องมีการเตรียมพื้นที่กำจัดวัชพืชเสียก่อน

การปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดต้องมีการเตรียมพื้นที่ในไขกระดูกผู้รับเพื่อให้เซลล์ของผู้ให้มีโอกาสเจริญเติบโตแบ่งตัว ทำงานได้ ในขณะเดียวกันต้องมีการเตรียมการป้องกันเซลล์ของผู้ให้และผู้รับที่จะต่อต้านกันด้วย ยาที่ใช้ในการเตรียมก่อนปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเป็นยากลุ่มยาเคมีบำบัด ซึ่งมีฤทธิ์ในการทำลายเซลล์ทั้งที่ต้องการและไม่ต้องการ ส่วนยาที่ป้องกันการต่อต้านกันของเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดของผู้ให้และผู้รับเป็นยากดภูมิคุ้มกัน

เส้นทางที่จะใส่เซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดคือหลอดเลือดใหญ่ของผู้ป่วย มักใช้หลอดเลือดใหญ่บริเวณคอที่ต่อกับบริเวณหน้าอกซึ่งต้องให้ผู้เชี่ยวชาญเป็นผู้ใส่ให้ เมื่อใส่เซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดเข้าหลอดเลือดแล้วเซลล์เหล่านี้จะเดินทางไปยังไขกระดูกที่เป็นแหล่งรวมของเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดเพื่อทำหน้าที่ต่อไป

ดังนั้นการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือด จึงไม่ง่ายเหมือนการอาบน้ำล้างตัวที่สกปรก

ผู้ที่ได้รับการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดจึงต้องเตรียมตัวเตรียมใจผ่านสมรภูมิที่เสี่ยงต่อการติดเชื้อ การมีเลือดออก อาการซีด เนื่องจากในระยะแรกที่ยาเคมีบำบัดทำลายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดทั้งหลาย และเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดที่ใส่เข้าไปยังปลูกไม่ติด บางคนอาจเสียชีวิตจากภาวะแทรกซ้อนแต่ก็น้อยลงกว่าในระยะเริ่มต้นที่มีการนำวิธีนี้มารักษา

นอกจากนี้ต้องเตรียมที่จะรับอาการอันเกิดจากการต่อต้านกันของเซลล์ของผู้ให้และผู้รับ เช่นอาการทางผิวหนัง อาการที่เกิดกับระบบทางเดินอาหารและอวัยวะอื่นๆ และที่สำคัญต้องทำใจว่าการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดอาจล้มเหลวได้ เนื่องจากอาการของโรคธาลัสซีเมียชนิดรุนแรงทำให้ผู้ป่วยทุกข์ทรมานอยู่ตลอด ผู้ป่วยและพ่อแม่จำนวนไม่น้อยจึงยังมีความคาดหวังที่จะหายจากโรคโดยการปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือด แต่การปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดเป็นกระบวนการที่ต้องมีทั้งผู้ให้เซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดที่ปกติและมีเอชแอลเอที่เข้ากันได้ ผู้รับเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดอาจจะอยู่ในภาวะยากลำบากในกระบวนการทำอยู่นาน ต้องอยู่ในห้องปลอดเชื้ออย่างน้อย 2-4 สัปดาห์และมีการรักษาและติดตามอย่างใกล้ชิดต่อไปอีก อีกประการหนึ่งที่สำคัญคือค่าใช้จ่ายสูงซึ่งอาจทำให้การปลูกถ่ายเซลล์ต้นกำเนิดเม็ดเลือดจำกัดอยู่ในวงแคบ