

## ABSTRAK

### PENATALAKSANAAN KELAINAN DARAH DENGAN TRANSPLANTASI *STEM CELL*

Bayu Adjie, 2007; Pembimbing I : Freddy Tumewu A, dr, MS

*Stem cell* adalah sel *primal* (pertama, induk) yang mempunyai dua karakteristik yaitu kemampuan untuk memperbaharui diri dan berdiferensiasi menjadi beraneka ragam keturunan tipe sel yang spesifik. *Stem cell* dibagi menjadi dua kelompok utama, *Embryonic Stem cell* (ES) dan *Adult Stem cell* (*stem cell* dewasa).

Transplantasi *stem cell* adalah teknik yang dapat mengembalikan fungsi sumsum tulang dari pasien yang telah mengalami kerusakan yang berat pada jaringan tersebut. Pada umumnya transplantasi *stem cell* yang digunakan adalah transplantasi sumsum tulang dan transplantasi *stem cell* dari darah tepi, untuk terapi kelainan darah, penyakit sistem imun dan diarahkan untuk keganasan dan penyakit degeneratif.

Tujuan dari penulisan karya tulis ilmiah ini adalah untuk mengetahui mekanisme *stem cells* sebagai sel yang mampu berdiferensiasi menjadi satu atau lebih sel yang terspesialisasi dalam tubuh, pengaruh *stem cells* terhadap kelainan darah dan kendala yang timbul sebelum dan sesudah terapi ini .

Transplantasi *stem cell* dapat berpengaruh menyembuhkan penderita kelainan darah secara permanen dengan mekanisme dasar menggantikan sel-sel yang mengalami kelainan baik dalam sumsum tulang atau sirkulasi darah. Kendala yang terjadi adalah menemukan donor yang sesuai tipe HLA resipien pada allogeneik serta efek *host versus graft* dan *graft versus host disease* yang saat ini diatasi dengan imunosupresi.

Kata Kunci : *Stem cell*, Transplantasi *stem cell*, Kelainan darah.

## **ABSTRACT**

### ***BLOOD DISORDER THERAPY WITH TRANSPLANTATION STEM CELL***

Bayu Adjie, 2007. *1<sup>st</sup> tutor*: Freddy Tumewu A, dr, MS

*Stem cell is primal cell which have two characteristic, ability to renew themselves and to differentiate into a wide range of specialized cell types. Stem cell divided into two major group, Embryonic Stem Cell (ES) and Adult stem cell.*

*Transplantation stem cell is technique that can restore bone marrow function from patient who had severe injury to that site. Usually Transplantation Stem Cell used for are Bone Marrow Stem Cell (BMT) and Peripheral Blood Stem Cell (PBSC), for blood disorder therapy, immunological system disease and lead to malignancies and degenerative disease.*

*The aim of this literature study is to knowing stem cell mechanism as a cell that can differentiate to become one or more specialized cells in body, stem cell effect to the blood disorder and problem might occur before and after this therapy.*

*Transplantation stem cell can affect to restore blood disorder permanently with basic mechanism to substitute diseased cells both in bone marrow or circulatory blood. Obstacles that might occur are to find compatible HLA donors to recipients and also effects host versus graft and graft versus host disease which at this time solved with immunosuppressor.*

*Key words: Stem cell, Transplantation stem cell, blood disorder*

## **KATA PENGANTAR**

Puji syukur kepada Allah SWT atas berkah dan rahmat-Nya sehingga Karya Tulis Ilmiah ini dapat terselesaikan. Adapun tujuan penulisan Karya Tulis Ilmiah ini adalah sebagai salah satu syarat untuk memperoleh gelar Sarjana Kedokteran (S.Ked) di Universitas Kristen Maranatha.

Dalam penyelesaian karya tulis ini tidak terlepas dari bimbingan, bantuan serta doa dari berbagai pihak, diantaranya:

1. Tim KTI yang telah memberi kesempatan kepada penulis untuk membuat karya tulis ini.
2. Freedy Tumewu A, dr, MS. selaku dosen pembimbing yang telah menyediakan waktunya untuk memberikan bimbingan, pengarahan, masukan dan dukungan kepada penulis dari awal sampai akhir pembuatan Karya Tulis Ilmiah ini.
3. Dosen penguji yang telah memberikan saran dan masukannya kepada penulis.
4. Papa, Mama, Wisnu, Winny dan semua keluarga atas semua dukungan moril, materil serta doa, semangat dan kasih sayangnya kepada penulis.
5. Teman-teman seperjuangan Nurudin, Jonathan, Sammy dan semua pihak yang telah membantu dalam penyelesaian karya tulis ini yang tidak dapat penulis sebutkan satu persatu, semoga Tuhan membalas semua kebaikan kalian semua.

Penulis menyadari akan keterbatasan pengetahuan, pengalaman serta kemampuan yang dimiliki, sehingga karya tulis ini masih jauh dari sempurna. Semoga karya tulis ini dapat memberikan informasi dan pengetahuan, serta bermanfaat bagi para pembaca di kemudian hari.

Bandung, Januari 2007

Bayu Adjie

## DAFTAR ISI

	Halaman
JUDUL .....	i
LEMBAR PERSETUJUAN .....	ii
SURAT PERNYATAAN .....	iii
ABSTRAK .....	iv
ABSTRACT .....	v
KATA PENGANTAR .....	vi
DAFTAR ISI.....	vii
DAFTAR GAMBAR .....	ix
DAFTAR GRAFIK.....	x
DAFTAR BAGAN .....	xi

### BAB I PENDAHULUAN

1.1. Latar belakang .....	1
1.1. Identifikasi masalah .....	2
1.3. Maksud dan Tujuan .....	3
1.4. Kegunaan .....	3
1.5. Metodologi penelitian .....	3
1.6. Tempat dan waktu penelitian .....	3

### BAB II TINJAUAN PUSTAKA

2.1. Definisi <i>Stem Cell</i> .....	4
2.2. Klasifikasi Umum <i>Stem Cell</i> .....	5
2.3. Sumber <i>Stem Cell</i> .....	7
2.4. <i>Embryonic Stem Cell</i> (ES) .....	13
2.5. <i>Stem cell</i> dewasa .....	18
2.6. Transplantasi <i>Stem Cell</i> .....	23
2.6.1. Definisi Transplantasi <i>Stem Cell</i> .....	23
2.6.2. Sejarah Transplantasi <i>Stem Cell</i> .....	28
2.6.3. Donor dan Resipien .....	28
2.6.4. <i>Bone Marrow Transplantation</i> (BMT) .....	31
2.6.5. <i>Peripheral Blood Stem Cell</i> (PBSC) .....	33
2.7. Kelainan-kelainan Darah .....	35
2.7.1. Anemia Aplastik .....	35
2.7.2. Anemia Diamond-Blackfan (DBA) .....	37
2.7.3. Anemia Fanconi (FA) .....	39
2.7.4. Anemia <i>Sickle-cell</i> .....	40
2.7.5. Amegakariositik Trombositopenia .....	40
2.7.6. Sindrom Evan .....	44
2.7.7. Sindrom Kostmann .....	45
2.7.8. Talasemia .....	45
2.8. Hubungan Transplantasi <i>stem cell</i> dengan kelainan darah.....	47

<b>BAB III PEMBAHASAN .....</b>	<b>49</b>
<b>BAB IV KESIMPULAN DAN SARAN</b>	
4.1. Kesimpulan .....	52
4.2. Saran .....	52
<b>DAFTAR PUSTAKA .....</b>	<b>53</b>
<b>RIWAYAT HIDUP .....</b>	<b>56</b>

## DAFTAR GAMBAR

	Halaman
Gambar 2.1 ES pada tikus dengan marker fluoresensi.....	1
Gambar 2.2 <i>Stem cells</i> berdasarkan potensinya .....	6
Gambar 2.3 Metode pembuatan ES.....	8
Gambar 2.4 Diferensiasi <i>stem cells</i> dewasa .....	12
Gambar 2.5 Protokol dasar manipulasi diferensiasi ES.....	17
Gambar 2.6 Jalur diferensiasi <i>stem cell</i> dewasa.....	20
Gambar 2.7 Plastisitas dan transdiferensiasi <i>stem cell</i> dewasa .....	22
Gambar 2.8 Lokasi sumsum tulang aktif pada dewasa .....	32

## DAFTAR GRAFIK

	Halaman
Grafik 2.1 Perbandingan BMT dan PBSC.....	35

## DAFTAR BAGAN

	Halaman
Bagan 2.1	Perkembangan populasi sel awal hingga lapisan primer germ .....14
Bagan 2.2	Perkembangan <i>stem cells</i> menjadi sel darah dan sel limfatik .....26
Bagan 2.3	Pola penurunan Karakteristik HLA.....30