

Indicazioni consolidate al trapianto di cellule staminali ematopoietiche, con comprovata documentazione di efficacia, per le quali è opportuna la raccolta dedicata (i.e. per un familiare) di sangue cordonale

(modificata da Cord Blood Registry 2007, Linee guida Associazione Italiana di Ematologia e Oncologia Pediatrica, Documento del Gruppo European Blood and Marrow Transplantation Group)

Leucemie e linfomi

Leucemia linfoblastica acuta
Leucemia mieloide acuta
Leucemia acuta bifenotipica
Leucemia acuta indifferenziata
Leucemia/linfoma a cellule T dell'adulto
Linfoma di Hodgkin
Linfomi non-Hodgkin
Leucemia linfatica cronica
Leucemia prolinfocitica

Disordini mielodisplastici/mieloproliferativi

Sindromi mielodisplastiche, includenti:

Anemia refrattaria (AR)
Anemia refrattaria con sideroblasti ad anello (ARSA)
Anemia refrattaria con eccesso di blasti (AREB)
Anemia refrattaria con eccesso di blasti in trasformazione (AREB-t)
Leucemia mielomonocitica cronica
Leucemia mielomonocitica giovanile
Citopenia refrattaria

Leucemia mieloide cronica Philadelphia positiva
Mielofibrosi idiopatica
Policitemia vera
Trombocitemia essenziale

Disordini della plasmacellula

Mieloma multiplo
Leucemia plasmacellulare
Macroglobulinemia di Waldenstrom
Amiloidosi

Insufficienze midollari mono/plurilineari

Anemia aplastica acquisita
Anemia di Fanconi
Discheratosi congenita
Emoglobinuria parossistica notturna
Anemia di Blackfan-Diamond
Anemia diseritropoietica congenita
Aplasia pura della serie eritroide acquisita
Porpora amegacariocitica congenita (da mutazione del gene del recettore per la trombopoietina)
Disordini congeniti delle piastrine (malattia di Bernard-Soulier, tromboastenia di Glanzmann)
Agranulocitosi congenita (sindrome di Kostmann)
Sindrome di Shwachman-Diamond

Emoglobinopatie

Beta Talassemia
Anemia a cellule falciformi
Selezionati casi di deficit di piruvato-kinasi con dipendenza trasfusionale

Istiocitosi

Linfoistiocitosi emofagocitica familiare
Sindrome di Griscelli
Sindrome di Chediak-Higashi
Istiocitosi a cellule di Langerhans (Istiocitosi X)

Disordini congeniti del sistema immunitario

Malattia granulomatosa cronica
Deficit delle proteine di adesione leucocitaria
Immunodeficienze combinate gravi (SCID), includenti:
Deficit di adenosin-deaminasi
Difetto delle molecole HLA di classe I e II
Difetto di Zap70
Sindrome di Omenn
Deficit di purin-nucleoside-fosforilasi
Disgenesia reticolare
Difetto della catena gamma comune a multiple citochine
Difetto di JAK3

Sindrome da iper-IgM
Sindrome di Wiskott-Aldrich
Sindrome linfoproliferativa X-linked (Sindrome dei Duncan o Sindrome di Purtillo)
Ipoplasi cartilagine-capillizio
Sindrome di DiGeorge

Sindrome IPEX (immunodeficienza con poliendocrinopatia, enteropatia, X-linked)

Errori congeniti del metabolismo

Sindrome di Hurler (MPS-IH)
Sindrome di Scheie (MPS-IS)
Sindrome di Maroteaux-Lamy (MPS-VI)
Sindrome di Sly (MPS-VII)
Adrenoleucodistrofia
Fucosidosi
Malattia di Gaucher
Malattia di Krabbe
Mannosidosi
Leucodistrofia metacromatica
Mucopolipidosi II (*I-cell disease*)
Lipofuscinosi ceroido neuronale (malattia di Batten)
Malattia di Sandhoff
Osteopetrosi

Osteogenesis imperfecta

Altri disordini ereditari

Porfiria eritropoietica congenita (malattia di Gunther)

Altre neoplasie

Sarcoma di Ewing
Neuroblastoma
Carcinoma a cellule chiare del rene
Rabdomiosarcoma

Altre indicazioni

Sindrome di Evans
Sindrome linfoproliferativa autoimmune (da difetto di FAS, FAS-L, Caspasi)
Sclerosi sistemica progressiva
Neoplasie in età pediatrica trattate con chemio/radioterapia (per aumentato rischio di sviluppo di s. mielodisplastiche e leucemie acute secondarie).

Genova, 13/02/2009