

**Indicazioni cliniche per le quali è consolidato l'uso per il trapianto di cellule staminali ematopoietiche, con comprovata documentazione di efficacia, per le quali è opportuna la raccolta dedicata di sangue cordonale**

**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 pistrine (malattia di Bernard-Soullier, 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  
Mucopolidosi 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).

09A15290

---