

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 fratello/sorella) di sangue cordonale.

(prodotta dal GITMO – Gruppo Italiano per il Trapianto di Midollo Osseo – definita successivamente dal Decreto Ministeriale del 18/11/2009, aggiornato e modificato con il Decreto Ministeriale del 22/04/2014)

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-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)
- Ipoplasia cartilagine-capillizio
- Sindrome di Di George
- 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)
- Lipofusinosi 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
- Rbdomiosarcoma

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)

Patologie ad aumentato rischio di neoplasie:

- Sindrome di Down
- Neurofibromatosi di Tipo I
- Immunodeficienze acquisite.