

REUMATOLOGIA



Criteri di eleggibilità per le patologie reumatiche:

- **Sindrome da anticorpi antifosfolipidi:**
Si specifica che si deve trattare di una condizione sintomatica (trombosi o malattia attiva); non è di conseguenza sufficiente avere solo la positività al titolo anticorpale
- **Malattie Autoinfiammatorie:** TRAPS, CINCA/NOMID, HIDS CANDLE, DIRA
- **Vasculiti Croniche:**
 - Granulomatosi eosinofila (Sindrome di Churg-Strauss)
 - Granulomatosi con poliangioite (Granulomatosi di Wegner)
 - Poliangioite microscopica
 - Poliarterite nodosa
 - Arterite di Takayasu
- **Dermatomiosite giovanile**
Con qualsiasi insufficienza d'organo, calcinosi o qualsiasi ricaduta con almeno un anno di trattamento, o con 2 o più ricadute
- **Malattia mista del tessuto connettivo con interessamento terminale di qualsiasi organo**
- **Policondrite con danno terminale ad una qualsiasi organo**
- **Sclerosi sistemica progressiva**
 - Artrite reumatica giovanile/ arterite giovanile idiopatica con MAS (Sindrome da attivazione macrofagica) riferita da almeno 12 mesi con manifestazioni episodiche o continuative.

Altre condizioni che possono rientrare nei criteri di eleggibilità sono:

- Complicazioni per l'immunoterapia
- Altre condizioni non precedentemente citate

PNEUMOLOGIA



Criteri di eleggibilità per le patologie polmonari:

- Ipossiemia cronica che richieda un supporto di ossigeno
- Insufficienza respiratoria cronica
- Dipendenza dal ventilatore meccanico
- Fibrosi cistica
- Trapianto di polmone
- Sofferenza polmonare da moderata a severa secondaria a chemioterapia o radioterapia
- Essere in lista d'attesa per un trapianto polmonare
- Istocitosi progressiva compresa la forma multifocale,
- Interstiziopatie polmonari progressive con immunodeficienza,
- Malattie autoimmuni o disregolazioni del sistema immune
- Fibrosi polmonare
- Malattia da rigetto polmonare (graft versus host disease GVHD)
- Ipertensione polmonare
- Linfangiectasia polmonare
- Compromissione respiratoria severa non responsiva a terapia e/o con episodi recidivanti ricorrenti
- Sindrome da distress respiratori nel neonato? Deficit delle proteine del surfattante
- Soggetti tracheotomizzati per insufficienza respiratoria cronica o per ostruzione delle vie aeree

Altre condizioni che possono rientrare nei criteri di eleggibilità sono:

- Insufficienza respiratoria acuta
- Displasia broncopolmonare
- Soggetti tracheotomizzati con richiesta d'ossigeno (il tutto dipende dalla diagnosi medica e dalla ragione della tracheotomia)
- Polmonite ostruttive croniche
- PDiscinesia ciliare primaria
- Asma severo
- Patologie restrittive polmonari severe
- Complicanze per una terapia immunosoppressiva
- Altre condizioni non precedentemente citate

ONCOLOGIA



Criteri di eleggibilità per le patologie oncologiche:

- Trapianto di midollo osseo o di cellule staminali
- Tumori di basso grado con almeno uno dei seguenti criteri:
 - Richiedenti chemio o radioterapia e segnalati entro un anno dal termine di questi trattamenti
 - Richiedenti un intervento di chirurgia maggiore come la craniotomia
 - Tumori che a causa della loro localizzazione hanno richiesto un intervento medico (es a causa delle dimensioni, dei deficit endocrini, problematiche funzionali come paralisi o altri coinvolgimenti neurologici importanti)
 - Associate a complicazioni estese nel tempo (es una lunga permanenza in ospedale non pianificata)
- Neoplasie maligne e neoplasia dal comportamento instabile
 - Richiedenti almeno un anno di chemioterapia infusionale o radio e segnalati entro un anno dal termine di queste terapie
- Status post trapianto di midollo osseo o cellule staminali

Altre condizioni che possono rientrare nei criteri di eleggibilità sono:

- Complicazioni per terapie immunodepressive

NEUROLOGIA



Criteri di eleggibilità per le patologie neurologiche:

- Sindrome di Alpers
- Paralisi cerebrale associata a complicanze a lungo termine (es convulsioni non trattabili, compromissioni severe a livello respiratorio)
- Patologie neuromuscolari congenite con un coinvolgimento cardiaco o respiratorio:
 - Distrofie miotoniche
 - Distrofia di Duchenne
 - SMA1 o 2 (atrofia muscolare spinale 1 o 2)
- Epilessia/convulsioni che risultano essere:
 - Non trattabili
 - Refrattarie
 - Farmacoresistenti
- Disautonomia familiare (Riley day)
- Atassia di Friedreich
- Malattia di Huntington
- Sindrome di Leigh
- Sindrome di Lennox Gastaut che sia intrattabile o resistente alla terapia
- Leucodistrofia
- Patologie miomatose
- Patologie neurodegenerative con un accorciamento dell'aspettativa di vita
- Neurodegenerazione con accumulo cerebrale di ferro NBIA
- Patologie cerebrovascolari progressive con complicanze permanenti
- Deficit nel neurosviluppo associato a complicanze permanente e richiedenti supporti medici
- Sindrome di Rett
- Sclerosi tuberosa con coinvolgimento cerebrale o spinale

Altre condizioni che possono rientrare nei criteri di eleggibilità sono:

- | | |
|-------------------|---|
| • Arinencefaia | • Miopatie |
| • Encefalopatia | • Neurofibromatosi |
| • Idrocefalo | • Spina bifida |
| • Megaloencefalia | • Altre condizioni non precedentemente citate |

NEFROLOGIA



Criteri di eleggibilità per le patologie renali:

- Insufficienza renale cronica (almeno stadio III) con:
 - Plurimi peggioramenti o riacutizzazioni che hanno richiesto un ricovero ospedaliero nell' ultimo anno
- Soggetti dialisi dipendente
- Trapianto di rene
- Patologie renali che richiedono infusioni a lungo a termine o plasmateresi (es. Sindrome uremica emolitica atipica che richiedono terapia anticoagulanti per rimanere in fase remissiva)
- Status post trapianto di rene con eventuali
- Complicanze lungo termine

Altre condizioni che possono rientrare nei criteri di eleggibilità sono:

- Sindrome nefrosica refrattaria: recidive multiple che richiedono terapia infusionali o plurime terapie immunosoppressive.
- Complicanze da terapia immunosoppressiva
- Altre condizioni non precedentemente citate

IMMUNOLOGIA



Criteri di eleggibilità per le patologie immunitarie e le malattie infettive

- Trapianto di midollo osseo
- Immunodeficienze con:
 - Complicanze autoimmuni severe e/o aspettativa di vita significativamente ridotta
- Immunodeficienze primarie che richiedono un trattamento a vita
 - Se l'aspettativa di vita prevista è significativamente ridotta in assenza di trattamento disponibile
 - Ad esempio: Sindrome di Wiskott-Aldrich, agammaglobulinemia di Bruton, malattie granulomatose croniche
- Immunodeficienza primaria cui conseguono ospedalizzazioni frequenti, non programmate e gravate da infezioni non ben controllate
- Immunodeficienza combinata grave (SCID)
- Status di paziente trapiantato di midollo osseo (con complicanze attuali che mettono in pericolo la vita)

Altre condizioni che possono rientrare nei criteri di eleggibilità sono:

- Complicanze dovute a terapia immunosoppressiva
- HIV
- Altre condizioni non elencate

EMATOLOGIA



Criteri di eleggibilità per patologie ematologiche:

- Anemia aplastica
- Trapianto di midollo osseo
- Linfoblastosi emofagocitica (HLH)
- Disturbi della coagulazione congeniti o acquisiti gravi, con:
 - Emorragie in organi vitali che comportano ad uno stato patologico (Ad esempio, emorragie intracraniche con deficit neurologici, danno d'organo che richiede cure intensive, etc.)
 - Alto titolo di anticorpi inibitori dei fattori della coagulazione che causano ripetuti episodi di sanguinamento pericolosi per la vita
- Immunodeficienza combinata grave (SCID)
- Trapianto di cellule staminali (entro il primo anno)
- Disturbi ematopoietici congeniti o acquisiti gravi, con:
- Trattamento chemioterapico infusivo
- Complicanze gravi conseguenti trasfusioni ripetute (ad esempio, sovraccarico di ferro)
- Anemia falciforme (Hb-SS, Hb-SC) o talassemia con complicanze gravi o croniche come:
 - Acute chest syndrome (ACS)
 - Sequestro splenico
 - Infarto o malattia cerebrovascolare
 - Necessità di trasfusioni regolari
 - Ipertensione polmonare
 - Gravi crisi di dolore (entro il primo anno)
 - Insufficienza d'organo che richiede cure intensive

Altre condizioni che possono rientrare nei criteri di eleggibilità sono:

- Complicanze da immunodeficienza o da terapia immunosoppressiva
- Disordini della coagulazione
- Altre condizioni non elencate

GENETICA



Criteri di eleggibilità per patologie Genetiche:

- Sindrome di Barth
- Anomalie congenite, cromosomiche, o malattie monogeniche con complicanze che mettono in pericolo la vita, come:
 - Epilessia refrattaria al trattamento
 - Anomalie strutturali delle vie aeree superiori o sintomi polmonari cronici
 - Anomalie cardiache (confronta criteri di inclusione per patologie cardiologiche)
 - Insufficienza renale cronica
 - Alterazioni della funzionalità gastroenterica
- Displasie ossee o disostosi con patologie polmonari croniche o degenerative
- Trisomia 13 e 18

Altre condizioni che possono rientrare nei criteri di eleggibilità sono:

- Complicanze dovute a terapia immunosoppressiva cronica
- Altre condizioni non elencate

GASTROENTEROLOGIA



Criteri di eleggibilità per patologie Gastroenteriche:

- Trapianto intestinale
- Epatopatie croniche progressive non compensate
- Sindrome epatopolmonare
- Malattie infiammatorie intestinali con conseguente sindrome dell'intestino corto con:
 - Necessità di nutrizione parenterale prolungata
 - Complicanze dovute a terapia immunosoppressiva o a chirurgia
- Insufficienza epatica
- Trapianto di fegato
- Neoplasie o condizioni preneoplastiche ereditarie
- Ipertensione portale
- Sindrome dell'intestino corto o insufficienza intestinale che necessitano di nutrizione parenterale prolungata
- Status di paziente trapiantato di fegato (con complicanze attuali che mettono in pericolo la vita)

Altre condizioni che possono rientrare nei criteri di eleggibilità sono:

- Atresia dei dotti biliari
- Complicanze da terapia immunosoppressiva
- Malattia di Crohn
- Malattia di Hirschsprung
- Pancreatite
- Rettocolite ulcerosa
- Altre condizioni non elencate

ENDOCRINOLOGIA E MALATTIE METABOLICHE



Criteri di eleggibilità per patologie endocrinologiche:

- Disordini del metabolismo dei glicosaminoglicani
- Disordini del ciclo dell'urea
- Malattia di Fabry (Anderson)
- Malattia di Gaucher
- Iperinsulinismo con ipoglicemia persistente in seguito a pancreatectomia
- Malattia di Krabbe
- Sindrome di Lesch-Nyhan
- Malattia delle urine a sciroppo d'acero
- Leucodistrofia metacromatica
- Sindrome da neoplasie endocrine multiple con evidenza di cancro
- Malattia di Niemann-Pick
- Panipopituitarismo che richiede terapia ormonale sostitutiva con idrocortisone e/o desmopressina
- Disordini dei perossisomi
- Sindrome di Prader-Willi con comorbidità
- Sfigolipidosi
- Malattia di Tay-Sachs
- Tumore della tiroide
Che richiede infusioni chemioterapiche o radioterapia e che viene segnalato entro un anno dal completamento del trattamento
- Adrenoleucodistrofia X-linked
tutte le altre forme verranno considerate caso per caso)

CARDIOLOGIA



Criteri di eleggibilità per patologie Cardiologiche:

- Anomalie cardiache congenite complesse, come:
 - Ventricolo singolo
 - Ventricolo sinistro della doppia entrata (DILV)
 - Atresia della valvola tricuspidale
 - Atresia della valvola aortica
 - Atresia della valvola mitralica
 - Sindrome del cuore ipoplastico di sinistra
- Insufficienza cardiaca congestizia
- Cardiopatia ipertrofica o restrittiva, e/o cardiomiopatia aritmogena del ventricolo destro (ARVC)
- Defibrillatore automatico impiantabile
- Dispositivo di assistenza ventricolare
- Insufficienza ventricolare sinistra
- Sindrome del QT lungo
- Ripetute ospedalizzazioni in seguito a trattamento dei difetti cardiaci congeniti (follow-up con ricovero programmato non incluso)
- Inclusione nella lista dei trapianti cardiaci
- Ipertensione dell'arteria polmonare
- Paziente trapiantato di cuore o di cuore-polmoni
- Paziente post intervento di Fontan
- Tetralogia di Fallot con atresia polmonare e circoli aortopolmonari
- Fibrillazione ventricolare

Altre condizioni che possono rientrare nei criteri di eleggibilità sono:

- | | |
|--|---------------------------------|
| • Tronco arterioso comune | • Insufficienza cardiaca |
| • Complicanze da terapia immunosoppressiva | • Impianto di Pacemaker |
| • Doppio ventricolo destro dello sbocco | • Stenosi sottoaortica |
| • Trasposizione dei grossi vasi | • Tetralogia di Fallot |
| | • Altre condizioni non elencate |