

# REUMATOLOGIA



## Criteria 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 poliangioita (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



## 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



## 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



## 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 a rischio di vita che richiedono un supporto medico di mantenimento significativo e continuo
- Sindrome di Rett
- Sclerosi tuberosa con coinvolgimento cerebrale o spinale

### Altre condizioni che possono rientrare nei criteri di eleggibilità sono:

- Arinencefaia
- Encefalopatia
- Idrocefalo
- Megaloencefalia
- Miopaite
- Neurofibromatosi
- Spina bifida
- 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 plasmferesi (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



## 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 granulomatosi 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
- Linfoistiocitosi 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



## Criteria 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



## Criteria 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 comorbidity
- Sfingolipidosi
- 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)



## Criteria di eleggibilità per patologie Cardiologiche:

- Anomalie cardiache congenite complesse, come:
  - Ventricolo singolo
  - Ventricolo sinistro della doppia entrata (DILV)
  - Atresia della valvola tricuspide
  - 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
- Complicanze da terapia immunosoppressiva
- Doppio ventricolo destro dello sbocco
- Trasposizione dei grossi vasi
- Insufficienza cardiaca
- Impianto di Pacemaker
- Stenosi sottoaortica
- Tetralogia di Fallot
- Altre condizioni non elencate