

**Az Egészségügyi Minisztérium szakmai irányelve**  
**Csontvelő (őssejt) transzplantációra való alkalmasság megállapításának szakmai szabályairól**

*Készítette: A Csontvelő Transzplantációs Bizottság*

**Csontvelő (őssejt) transzplantációra való alkalmasság megállapításának szakmai szabályai felnőtt korban**

**Vezérfonal a hemopoetikus őssejt-transzplantációs indikációk felállításához betegségek szerint:**

Acut myeloid leukémia: közepes és magas rizikó esetén első komplett remisszióban allogén/autológ átültetés indikált. Családi donor hiányában magas rizikó esetén idegen donorkeresés indokolt. Relabált betegek esetén az átültetés bármely formája indokolt. Idős betegeknél kis tumor tömeggel redukált intenzitású kezelés mérlegelhető. Rezisztens betegségben is mérlegelhető az őssejt átültetés bármely formája.

Acut lymphoid leukémia: magas rizikójú betegek az első komplett remisszióban, relabált betegek második komplett remisszióban allogén átültetés jelöltjei bármely donortól.

Krónikus myeloid leukémia: A Gratwohl és a Sokal pontrendszerek figyelembe vételével fiatal betegen indokolt a testvér donoros allogén őssejt átültetés. Idős betegen redukált intenzitású kondicionálás is mérlegelhető. Akcelerált és blasztos betegen csak myeloblátív átültetés javallt bármely donortól.

Egyéb myeloproliferatív betegség: egyéni mérlegelés után kuratív céllal mind myeloblátív mind redukált kondicionálás után transzplantálható.

Myelodysplasia: allogén átültetés minden formája lehetőleg kis tumor tömeg mellett az egyetlen kuratív lehetőség.

Krónikus lymphocytás leukémia: magas rizikó esetén elsősorban redukált intenzitású allo-transzplantáció indokolt.

Hodgkin kór: autológ őssejt átültetés a standard kezelési eljárás relabált betegek részére. Primer terápia rezisztens betegek autológ őssejt átültetése szintén javasolható. Autológ őssejt átültetés után relabáló betegek redukált intenzitású allogén átültetése mérlegelendő.

Non Hodgkin Lymphoma: Follicularis lymphomák korán relabáló illetve agresszív klinikai lefolyást mutató eseteiben autológ esetleg redukált intenzitású allogén őssejt átültetés indokolt. Diffúz nagy B sejtés lymphoma kemoszenzitív relapsusának autológ őssejt átültetése ajánlott. Köpenysejtés lymphoma első komplett remissziójában autológ átültetés javallt. Lymphoblastos lymphoma és magas rizikójú Burkitt lymphoma első komplett remisszióban történő autológ/allogén őssejt átültetése ajánlott. T sejtés betegségek gyógyításában a korai intenzifikáció, részeként elsősorban az autológ átültetés javasolt, de szükség lehet redukált intenzitású allogén átültetésre is.

Myeloma multiplex: az autológ őssejt átültetés a standard kezelés része. Fiatal betegeknél az allogén átültetés végleges gyógyulást hozhat.

AL amyloidosis: súlyos szív és vese érintettség nélküli betegségek autológ átültetése javallt.

Súlyos aplastic anaemia: fiatal betegeknél az allogén testvér donoros őssejt átültetés eredményei jobbak, mint az immunszuppresszív kezelésé. Idegen donoros átültetés csak, harmadik vonalban jöhet szóba, ha már két alkalommal történt ATG kezelés eredménytelen volt.

Paroxysmalis nocturnalis haemoglobinuria: súlyos esetekben allogén őssejt átültetés indokolt lehet.

Szolid tumorok: extragonadalis germinális sejtés tumorok, Ewing sarcoma, és neuroblasztoma autológ átültetés indikációjául szolgálhatnak.

Autoimmun betegségek: konzervatív terápiára rezisztens súlyos autoimmun betegségek válogatott esetei (SLE, CIDP, scleroderma, sclerosis multiplex, rheumatoid arthritis, immuncytopeniák, Crohn betegség) autológ/redukált intenzitású allogén átültetés alapjául szolgálhatnak.

## **Az allogén és autológ csonvelő transzplantáció szakmai szabályai gyermekkorban**

### **Össejt átültetés indikációja betegségek szerint:**

Acut myeloid leukémia: amennyiben HLA identikus családi donor rendelkezésre áll, a magas rizikójú betegek első komplett remissziója esetén (M3 kivételével), egyéb esetekben második komplett remisszió esetén allogén össejtátültetés indokolt. Amennyiben HLA identikus családi donor nem áll rendelkezésre idegen donoros, nem identikus családi donoros vagy köldökzsínór össejtes transzplantáció egyedi elbírálás alapján indokolt. Amennyiben HLA identikus családi, idegen donoros, nem identikus családi donoros vagy köldökzsínór össejtes idegen donor nem áll rendelkezésre autológ össejtátültetés egyedi elbírálás alapján indokolt.

Acut lymphoid leukémia: Magas rizikójú betegeknél, illetve t9; 21, illetve t4; 11 transzlokációjú betegség esetében már első komplett remisszió esetén, a többi betegeknél második komplett remisszió esetén allogén össejtátültetés indokolt.

Krónikus myeloid leukémia: allogén össejttranszplantáció egyedi elbírálás alapján HLA identikus családi donorral vagy amennyiben HLA identikus családi donor nem áll rendelkezésre idegen donoros, nem identikus családi donoros vagy köldökzsínór össejtes transzplantáció indokolt.

Non-Hodgkin-lymphoma: amennyiben a primer kezelés eredményeként csak parciális remisszió érhető el, abban az esetben HLA identikus családi donor jelenléte esetén az allogén össejtátültetés javasolt, amennyiben HLA identikus családi donor nem áll rendelkezésre idegen donoros, nem identikus családi donoros vagy köldökzsínór össejtes transzplantáció egyedi elbírálás alapján javasolt. Második komplett remisszió esetén HLA identikus családi donorral vagy idegen donoros, nem identikus családi donoros vagy köldökzsínór össejtes transzplantáció egyedi elbírálás alapján indokolt lehet. Amennyiben allogén donor nem áll rendelkezésre autológ össejtátültetés indokolt.

Hodgkin-kór: komplett remisszió hiánya esetén vagy második, ill. további recidívában autológ össejtátültetés indokolt.

Myelodysplasiás szindróma: allogén össejttranszplantáció HLA identikus családi donorral vagy amennyiben HLA identikus családi donor nem áll rendelkezésre idegen donoros, nem identikus családi donoros vagy köldökzsínór össejtes transzplantáció indokolt.

Súlyos csontvelői elégtelenség: allogén össejttranszplantáció HLA identikus családi donorral vagy amennyiben HLA identikus családi donor nem áll rendelkezésre, ATG + cyclosporin kezelés eredménytelensége esetén idegen donoros, nem identikus családi donoros vagy köldökzsínór össejtes transzplantáció indokolt.

Haemoglobinopathiák súlyos formái: kielégítő szervfunkciók esetén allogén össejttranszplantáció HLA identikus családi donorral indokolt, amennyiben HLA identikus családi donor nem áll rendelkezésre idegen donoros, nem identikus családi donoros vagy köldökzsínór össejtes transzplantáció egyedi elbírálás alapján indokolt lehet.

Súlyos kombinált immundefektus (SCID): allogén össejttranszplantáció HLA identikus családi donorral vagy amennyiben HLA identikus családi donor nem áll rendelkezésre idegen donoros, nem identikus családi donoros vagy köldökzsínór össejtes transzplantáció indokolt.

Wiskott Aldrich szindróma (WAS): kielégítő szervfunkciók esetén allogén össejttranszplantáció HLA identikus családi donorral egyedi elbírálás alapján indokolt lehet, amennyiben HLA identikus családi donor nem áll rendelkezésre idegen donoros, nem identikus családi donoros vagy köldökzsínór össejtes transzplantáció egyedi elbírálás alapján indokolt lehet.

Súlyos leukocita adhéziós deficiencia: kielégítő szervfunkciók esetén allogén őssejttranszplantáció HLA identikus családi donorral indokolt, amennyiben HLA identikus családi donor nem áll rendelkezésre idegen donoros, nem identikus családi donoros vagy köldökzsínór őssejtes transzplantáció egyedi elbírálás alapján indokolt lehet.

Krónikus granulomatosis: allogén őssejttranszplantáció HLA identikus családi donorral egyedi elbírálás alapján indokolt, amennyiben HLA identikus családi donor nem áll rendelkezésre idegen donoros, nem identikus családi donoros vagy köldökzsínór őssejtes transzplantáció egyedi elbírálás alapján indokolt lehet.

X kromoszómához kötött lymphoproliferatív szindróma: allogén őssejttranszplantáció HLA identikus családi donorral egyedi elbírálás esetén indokolt lehet, amennyiben HLA identikus családi donor nem áll rendelkezésre idegen donoros, nem identikus családi donoros vagy köldökzsínór őssejtes transzplantáció egyedi elbírálás alapján indokolt lehet.

Chediak Higashi szindróma: allogén őssejttranszplantáció HLA identikus családi donorral egyedi elbírálás esetén indokolt lehet.

Osteopetrosis: allogén őssejttranszplantáció HLA identikus családi donorral indokolt, amennyiben HLA identikus családi donor nem áll rendelkezésre idegen donoros, nem identikus családi donoros vagy köldökzsínór őssejtes transzplantáció egyedi elbírálás alapján indokolt lehet.

Lizoszomális raktározási betegségek súlyos formái: kielégítő szervfunkciók esetén allogén őssejttranszplantáció HLA identikus családi donorral vagy amennyiben HLA identikus családi donor nem áll rendelkezésre idegen donoros, nem identikus családi donoros vagy köldökzsínór őssejtes transzplantáció indokolt.

Egyéb tárolási betegségek: allogén őssejttranszplantáció HLA identikus családi donorral egyedi elbírálás alapján indokolt lehet. Amennyiben HLA identikus családi donor nem áll rendelkezésre idegen donoros, nem identikus családi donoros vagy köldökzsínór őssejtes transzplantáció egyedi elbírálás alapján indokolt lehet.

High risk medulloblastoma/PNET: egyedi elbírálás alapján autológ átültetés indokolt.

Szolid tumorokban és autoimmun betegségek esetén: egyedi elbírálás alapján autológ átültetés indokolt. Autoimmun betegségek kivételes eseteiben a bizottság mérlegelheti az allogén transzplantáció lehetőségét.

A sürgősséget, a transzplantációt indokoló diagnózis és ezen belül a gyermek egészségi állapota szabja meg.

**A szakmai irányelv érvényessége: 2009. december 31.**