

Indications patient suisse – Regulatory issues

1. Introduction

Ce document fixe les indications médicales autorisées pour une transplantation de cellules souches hématopoïétiques de donneur non apparenté pour un patient suisse.

2. Définitions

Indication «Oui» :

Indication à une greffe allogénique de cellules souches hématopoïétiques d'un donneur non apparenté, dans le cadre de traitements éprouvés.

Indication «D» («Decision by the KAT») :

Cette indication à une greffe allogénique de cellules souches hématopoïétiques nécessite une **demande écrite**, qui explique la constellation particulière de ce patient (diagnostic, évolution de la maladie et traitement prévu). Cette demande est alors soumise à la Commission transplantation allogénique (KAT), qui motive sa décision par écrit (fax, e-mail etc).

Indication NR («not recommended») :

Cette indication à une greffe allogénique de cellules souches hématopoïétiques nécessite une **demande écrite**, qui explique la constellation particulière de ce patient (diagnostic, évolution de la maladie et traitement prévu) avec éventuellement copie d'avis autorisés d'experts suisses ou internationaux. En plus **l'accord de la commission d'éthique**, dont dépend le centre de transplantation qui fait la demande, est exigé. Cette demande est alors soumise à la Commission transplantation allogénique (KAT), qui motive sa décision par écrit (fax, e-mail etc).

Enfants : ≤ 18 ans

Adultes : > 18 ans

3. Indications médicales

1. Affections malignes	Adultes	Enfants
Leucémie myéloblastique aiguë (LMA) <ul style="list-style-type: none"> • ≥ RC1 • Maladie résiduelle minimale (MRD positive) • Récidive réfractaire • M3 en 1^{ère} rémission moléculaire • Primairement réfractaire 	oui oui NR NR oui	oui oui NR NR oui
Leucémie lymphoblastique aiguë (LLA) <ul style="list-style-type: none"> • Risque élevé, en RC1 • Tout risque, > RC1 • Maladie résiduelle minimale (MRD positive) • Récidive réfractaire • Primairement réfractaire 	oui oui oui NR oui	oui oui oui NR oui
Leucémie myéloïde chronique (LMC) <ul style="list-style-type: none"> • Première phase chronique : après échec d'un TKI deuxième ligne • Phase accélérée • Poussée blastique • Autres 	oui oui NR D	oui oui NR D

Myélobiose primaire ou secondaire	oui	oui
Syndrome myélodysplasique (SMD) <ul style="list-style-type: none"> • intermédiaire ou haut risque • risque faible 	oui D	oui D
Leucémie lymphatique chronique (LLC) <ul style="list-style-type: none"> • Haut risque, réfractaire ou en rechute après une ligne de traitement • Transformation (syndrome de Richter) • Risque faible 	oui oui D	— — D
Lymphomes <ul style="list-style-type: none"> • Lymphoblastique (comme LLA) • Lymphome du manteau <ul style="list-style-type: none"> • RC1 • RC/RP > 1 • NHL agressif (DLBCL): <ul style="list-style-type: none"> • RC1 • ≥ RC2 • récurrence sensible • réfractaire • ≥ RP1 • Lymphome indolent (LF) <ul style="list-style-type: none"> • RC1 • récurrence sensible • ≥ RC2 • ≥ RP1 • Waldenström • Maladie de Hodgkin <ul style="list-style-type: none"> • RC1 • récurrence sensible après autogreffe • récurrence sensible sans autogreffe précédente • ≥ RC2 • stade réfractaire • Dyscrasies plasmocellulaires • Lymphomes à cellules T <ul style="list-style-type: none"> • PTCL • Lymphomes cutanés primaires <ul style="list-style-type: none"> • stade avancé (EORTC IIB-IV) • stades précoces 	oui D oui D oui oui NR oui D oui oui oui D NR oui D oui NR oui oui oui D	oui D oui D oui oui NR oui D D oui oui — NR oui D oui NR oui oui oui D
2. Anémie aplastique sévère	Adultes	Enfants
<ul style="list-style-type: none"> • ≤ 40 ans • > 40 ans 	oui D	oui —
3. Maladies congénitales	Adultes	Enfants

Déficits immunitaires congénitaux <ul style="list-style-type: none"> • Déficit immunitaire sévère combiné (SCID) • Déficit immunitaire combiné (CID) • Syndrome d'Omenn (OS) • Déficit en purine nucléoside phosphorylase (PNP) • Déficit en MHC Classe II (MHC II) • Syndrome de Griscelli • Syndrome de Wiskott-Aldrich (WAS) • Syndrome de Di George • Ataxia teleangiectasia (AT) 	oui oui oui oui oui oui oui NR NR	oui oui oui oui oui oui oui NR NR
Troubles de la fonction des granulocytes <ul style="list-style-type: none"> • Syndrome de Kostmann • Déficits de l'adhésivité leucocytaire (LAD) • Syndrome de Chediak-Higashi (CHS) • Granulomatose septique (CGD) 	D oui oui oui	D oui oui oui
Maladies métaboliques <ul style="list-style-type: none"> • Ostéopétrose • Mucopolysaccharidose (MPS) type I (Hurler) • Mucopolysaccharidose (MPS) type III, IV • Mucopolysaccharidose type II, VI et VII • Adrénoleucodystrophie (ADL) cérébrale précoce • Leucodystrophie des cellules globulaires (GLD) • Leucodystrophie métachromatique (MLD) • Maladie de Batten • Aspartylglucosaminurie • Fucosidose • α-mannosidose • Maladie de Gaucher (type I et II) • Niemann-Pick Type A + C 	oui oui NR D oui D D D D D D D D NR	oui oui NR D oui D D D D D oui oui D NR
Maladies histiocytaires <ul style="list-style-type: none"> • Lymphohistiocytose érythrophagocytaire familiale • Histiocytose X 	oui oui	oui oui
Maladies hématologiques congénitales <ul style="list-style-type: none"> • Anémie de Diamond-Blackfan (résistante aux stéroïdes) • Thalassémie • Anémie falciforme • Syndrome de Shwachman • Dyskératose congénitale • Anémie de Fanconi • Amégacaryocytose 	oui oui oui oui oui oui oui	oui oui oui oui oui oui oui
4. Tumeurs solides	Adultes	Enfants
Carcinome à petites cellules du rein avec métastases	D	D
Sarcome des tissus mous	NR	D
Neuroblastome	D	D
Autres	NR	NR



5. Maladies auto-immunes	Adultes	Enfants
Syndrome d'Evans	D	D
Maladie auto-immune / autoinflammatoire incontrôlable	D	D