



Lista chorób leczonych komórkami macierzystymi

Ostre białaczki

- ✓ Ostra białaczka limfoblastyczna (ALL)
- ✓ Ostra białaczka szpikowa (AML)
- ✓ Ostra białaczka bifenotypowa
- ✓ Ostra białaczka małodroźnicowana

Białaczki przewlekłe

- ✓ Przewlekła białaczka szpikowa (CML)
- ✓ Przewlekła białaczka limfatyczna (CLL)
- ✓ Młodzieńcza przewlekła białaczka szpikowa (JCML)
- ✓ Młodzieńcza białaczka mielomonocytoza (białaczka Naegelego) (JMML)

Zespół mielodysplastyczny

- ✓ Niedokrwistość oporna na leczenie (RA)
- ✓ Niedokrwistość oporna na leczenie z obecnością pierścieniowatych syderoblastów (RARS)
- ✓ Niedokrwistość oporna na leczenie z nadmiarem blastów (RAEB)
- ✓ Niedokrwistość oporna na leczenie z nadmiarem blastów w okresie transformacji (RAEB-T)
- ✓ Przewlekła białaczka mielomonocytoza (CMML)

Choroby spowodowane defektem komórki macierzystej

- ✓ Niedokrwistość aplastyczna (ciężka)
- ✓ Niedokrwistość Fanconiego
- ✓ Nocna napadowa hemoglobinuria (PNH)

Zespoły mieloproliferacyjne

- ✓ Ostra mielofibroza
- ✓ Mielofibroza
- ✓ Czerwieńca prawdziwa
- ✓ Samoistna nadpłytkowość
- ✓ Agnogeniczna metaplazja szpikowa

Zespoły rozrostowe układu chłonnego

- ✓ Chłoniak nieziarniczny
- ✓ Ziarnica złośliwa
- ✓ Białaczka prolimfocytowa

Choroby fagocytów

- ✓ Zespół Chediaka-Higashi'ego
- ✓ Przewlekła choroba ziarniniakowa (CGD)
- ✓ Niedobór aktywności neutrofilowej
- ✓ Dysgeneza retikularna

Choroby związane z zaburzeniami lub brakiem funkcji enzymów

- ✓ zespół Hurler (MPS-IH)
- ✓ zespół Scheie'a (MPS-IS)
- ✓ zespół Huntera (MPS-II)
- ✓ zespół Sanfilippo (MPS-III)
- ✓ zespół Morquio (MPS-IV)
- ✓ zespół Maroteaux-Lamy'ego (MPS-VI)
- ✓ zespół podkradania, niedobór beta-glukuronidazy (MPS-VII)
- ✓ adrenoleukodystrofia
- ✓ mukopolisacharydoza (MPS)
- ✓ mukolipidoza II
- ✓ choroba Krabbego
- ✓ choroba Gauchera
- ✓ choroba Niemann-Picka
- ✓ choroba Wolmana
- ✓ metachromatyczna leukodystrofia

Inne choroby dziedziczne

- ✓ zespół Lesch'a-Nyhana
- ✓ hipoplazja chrząstek i włosów
- ✓ trombastenia Glanzmanna
- ✓ osteopetroza (marmurkowatość kości)

Dziedziczne zaburzenia krwinek płytkowych

- ✓ amegakariocytoza (wrodzona małopłytkowość)

Choroby komórek plazmatycznych

- ✓ szpiczak mnogi
- ✓ białaczka plazmocytoza
- ✓ makroglobulinemia Waldenströma

Inne nowotwory złośliwe

- ✓ rak piersi
- ✓ mięsak Ewinga
- ✓ neuroblastoma (zwojak zarodkowy)
- ✓ rak nerki

Dziedziczne anomalie krwinek czerwonych

- ✓ aplazja czysto czerwonekrwinkowa
- ✓ talasemia beta
- ✓ niedokrwistość sierpowatokrwińkowa

Dziedziczne zaburzenia układu odpornościowego

- ✓ ataksja-telangiektazja
- ✓ zespół Kostmanna
- ✓ zaburzenia adhezji leukocytów
- ✓ zespół DiGeorge'a
- ✓ zespół nagich limfocytów
- ✓ zespół Omenna
- ✓ ciężka złożona niewydolność układu odpornościowego (SCID)
- ✓ SCID z niedoborem deaminazy adenozykowej
- ✓ SCID z brakiem limfocytów T i B
- ✓ SCID z brakiem limfocytów T i normalną liczbą limfocytów B
- ✓ zwykła zmienna niewydolność układu odpornościowego
- ✓ zespół Wiskotta Aldricha
- ✓ zaburzenie proliferacji limfocytów sprzężone z chromosomem X

Histiocytozy

- ✓ Hemofagocytoza
- ✓ Histiocytoza-X
- ✓ Rodzinna erytrofagocytarna limfohistiocytoza (FEL)