

Szanowni Państwo,

Niniejszy dokument powstał, aby wspierać tych, którzy wraz z Fundacją Mam Marzenie chcieliby pomóc dzieciom cierpiącym na choroby zagrażające życiu, odkryć i spełnić ich pragnienie. Ma za zadanie doprecyzować i ujednoczyć kryteria włączenia do programu, a co za tym idzie – ułatwić kwalifikację lekarzom prowadzącym i konsultantom medycznym.

Istotne jest także, by zarówno rodzice, jak i darczyńcy, sponsorzy i wolontariusze mogli zaufać transparentnym i powtarzalnym wytycznym, które będą drogowskazem w podjęciu decyzji o kwalifikacji do programu fundacji i spełnieniu marzenia konkretnego dziecka. Jest to tym bardziej ważne, że choroba dziecka wzbudza zwykle wiele emocji: jest sytuacją trudną, a jednocześnie uruchamia pokłady współczucia i chęci pomocy, które nierzadko mogą utrudnić podjęcie obiektywnej, racjonalnej i opartej na faktach decyzji.

Podobnie jak każde wytyczne, nasze opracowanie nie jest zakończoną instrukcją, lecz raczej zbiorem wskazówek. Nie zwalnia z konieczności wnikliwej i indywidualnej oceny sytuacji w każdym przypadku, z uwzględnieniem stopnia zaawansowania choroby, uszkodzeń narządowych i powikłań, które mogą się znacznie różnić mimo tego samego rozpoznania.

Dr n med. Teresa Weber – Ogólnopolski Konsultant Medyczny Fundacji Mam Marzenie;

Prof. dr hab med. Walentyna Balwierz – kierownik Kliniki Onkologii i Hematologii Dziecięcej w Krakowie, członek Rady Ekspertów Fundacji Mam Marzenie;

Lek. med. Dagmara Stoły-Truszyńska – lekarz kardiolog, internista;

Lek. med. Ewa Niespodziańska-Kramarz – lekarz anestezjolog;

Lek. med. Sebastian Woźniak – lekarz pediatra, hematoonkolog dziecięcy.

## Kryteria kwalifikacyjne

Zostały podzielone na grupy, zależnie od wiodącego rozpoznania. W każdej z części znajdują się zarówno choroby i sytuacje kliniczne, które umożliwiają kwalifikację, jak i te, które do niej nie upoważniają. Wiodącą kwestią jest rozstrzygnięcie, czy mamy do czynienia z chorobą zagrażającą życiu dziecka. Przewlekłe, dobrze kontrolowane schorzenia co do zasady nie są kryterium włączenia, chyba, że inne okoliczności mają wpływ na ich przebieg i rokowanie.

### 1. Oparzenia

#### TAK:

- oparzenia trzeciego stopnia, obejmujące powyżej 50% powierzchni ciała,
- oparzenia trzeciego stopnia, zajmujące od 10 do 50% powierzchni ciała z zajęciem twarzy i/lub dłoni.

#### NIE:

- oparzenia trzeciego stopnia z zajęciem mniej niż 10% powierzchni ciała.

### 2. Choroby układu krążenia

#### TAK:

- pierwotne choroby mięśnia sercowego (kardiomiopatie)
- zastoinowa niewydolność serca
- samoistne tętnicze nadciśnienie płucne
- przewlekłe nadciśnienie płucne (niezależnie od etiologii), jeśli może prowadzić do skrócenia oczekiwanej długości życia
- wrodzone wady serca z sinicą lub niewydolnością serca
- serce jednokomorowe (spektrum wad serca przebiegających z hipoplazją lewego lub prawego serca, na każdym etapie leczenia)
- tetralogia Fallota
- zagrażające życiu zaburzenia rytmu serca (także w przebiegu genetycznych zespołów arytmogennych), leczone wszczepieniem implantowanego kardiowertera- defibrylatora (ICD) lub w inny sposób
- przewlekłe mechaniczne wspomaganie lewej komory
- przeszczepienie serca (preferowane zgłoszenie przed transplantacją, ale po przeszczepie także możliwe)
- rozwarstwienie aorty, także w przebiegu chorób genetycznych (np. zespół Marfana)

- choroby prowadzące do niedokrwienia narządów i układów na skutek malformacji naczyń, procesów zapalnych bądź zakrzepowo- zatorowych (np. choroba Moyamoya, choroba Takayasu).

**NIE:**

- przewlekłe choroby układu krążenia niepowodujące zagrożenia życia i nieprowadzące do skrócenia oczekiwanej długości życia
- proste wady wrodzone lub nabyte, leczone operacyjnie lub niewymagające takiego leczenia, bez objawów niewydolności serca, sinicy ani nadciśnienia płucnego.

### **3. Choroby skóry**

**TAK:**

- twardzina układowa
- EB (epidermolysis bullosa, pęcherzowe oddzielanie naskórka) - ciężka postać prowadząca do skrócenia oczekiwanej długości życia.

**NIE:**

- twardzina miejscowa
- przewlekłe choroby skóry nie powodujące zagrożenia życia ani skrócenia jego oczekiwanej długości.

### **4. Choroby przewodu pokarmowego**

**TAK:**

- wrodzona atrezja dróg żółciowych
- zespół krótkiego jelita
- marskość wątroby o dowolnej etiologii/schyłkowa niewydolność wątroby
- stan po transplantacji wątroby
- stan po transplantacji trzustki
- całkowite żywienie pozajelitowe, niezależnie od przyczyny
- nieswoiste zapalenia jelit (choroba Crohna, wrzodziejące zapalenie jelita grubego), jeśli związane są z nagłymi stanami, przedłużoną hospitalizacją i niestabilnym przebiegiem choroby.

**NIE:**

- przewlekłe choroby przewodu pokarmowego niepowodujące skrócenia oczekiwanej długości życia.

### **5. Nienowotworowe choroby układu krwiotwórczego.**

**TAK:**

- postępujące choroby układu krwi, stwarzające istotne zagrożenie dla życia, w tym ze wskazaniami do przeszczepienia macierzystych komórek krwiotwórczych;
- niedokrwistość sierpowatokrwinkowa – pełnoobjawowa;
- niedokrwistość aplastyczna;
- niedokrwistość hipoplastyczna;
- ciężka postać przewlekłej neutropenii;
- ciężkie zaburzenia krzepnięcia, powodujące zagrażające życiu krwawienia
- stan po przeszczepieniu szpiku kostnego bez względu na wskazania

**NIE:**

- cecha talasemii
- krótkotrwała ciężka neutropenia

## **6. Niedobory odporności i choroby autoimmunologiczne**

**TAK:**

- wrodzone lub nabyte, ciężkie niedobory odporności, w tym AIDS (zespół nabytego niedoboru odporności) – aktywna postać
- zapalenie skórno- mięśniowe, mieszana choroba tkanki łącznej (MCTD), toczeń układowy (SLE), twardzina układowa - jeśli prowadzą do powikłań narządowych i skrócenia oczekiwanej długości życia
- autoimmunologiczne zapalenia naczyń o ciężkim przebiegu
- inne choroby autoimmunologiczne, prowadzące do niewydolności narządów i układów

**NIE:**

- choroby autoimmunologiczne o stabilnym przebiegu, dobrze odpowiadające na leczenie
- przemijające i ostre zapalenia naczyń, nieprowadzące do trwałych uszkodzeń narządowych (np. plamica Schonleina- Henocha)

## **7. Choroby genetyczne**

**TAK:**

- choroba Alexandra
- zespół Di George
- zespół Pradera- Williiego
- zespół Bartha
- trisomia 13 (zespół Patau)
- trisomia 18 (zespół Edwardsa)

- choroba Recklinghausena ze złośliwym przebiegiem
- wszelkie anomalie genetyczne, niezależnie od sposobu dziedziczenia, przebiegające z wielonarządowymi dysfunkcjami, mogące powodować stany zagrożenia życia, takie jak utraty przytomności i napady drgawkowe, niewydolność oddechową, niewydolność nerek, wątroby, krążenia.

**NIE:**

- zespół Downa (trisomia 21 lub rzadziej występujące: postać mozaikowata trisomii 21 lub translokacja Robertsonowska chromosomu 21), jeśli nie jest związana ze stanem zagrożenia życia.

## **8. Choroby nerek i układu moczowego**

**TAK:**

- schyłkowa przewlekła niewydolność nerek
- przewlekła dializoterapia (hemodializa, dializa otrzewnowa)
- zespół nerczycowy – ciężka i oporna postać (brak kwalifikacji przy submikroskopowym kłębuszkowym zapaleniu nerek)
- przeszczep nerki

**NIE:**

- czasowa dializoterapia jako pomost do wyzdrowienia
- przewlekłe schorzenia niezagrażające życiu i nieprowadzące do skrócenia oczekiwanej długości życia.

## **9. Nienowotworowe choroby neurologiczne**

**TAK:**

- postępujące i degeneracyjne choroby ośrodkowego i obwodowego układu nerwowego oraz miopatie, w szczególności:
  - dystrofia mięśniowa Duchenne (DMD) i inne wrodzone dystrofie
  - rdzeniowy zanik mięśni, typ 1 i 2
  - padaczka lekooporna / wymagająca leczenia zabiegowego
  - zespół Lennox- Gastaut
  - zespół Draveta
  - encefalopatia miokloniczna
  - zespół Retta
  - zespół ataksja- teleangiektazja
  - ataksja Friedreicha (FRDA)
  - zespół Aicardi
  - choroba Werdniga- Hoffmanna

- choroba Battena
- zwyrodnienie istoty szarej
- mózgowe porażenie dziecięce, o ile przebiega z zaburzeniami połykania, zachłyśnięciami, wymaga żywienia przez gastrostomię
- miastenia (ciężka postać z niewydolnością oddechową i przełomami miastenicznymi).

**NIE:**

- rozszczep kręgosłupa (bez powikłań mogących skrócić oczekiwaną długość życia)
- autyzm, w tym Zespół Aspergera
- opóźnienie rozwoju psychoruchowego
- niepełnosprawność intelektualna
- choroby psychiczne
- rdzeniowy zanik mięśni typ 3
- inne choroby układu nerwowego niezagrożające życiu.

## **10. Choroby nowotworowe**

**TAK:**

- wszystkie nowotwory złośliwe, jeśli kwalifikację przeprowadzono w trakcie leczenia w tym:
  - złośliwe nowotwory kości i tkanek miękkich
  - chłoniaki (Chłoniak Hodgkina (dawniej zwany ziarnicą złośliwą) i chłoniaki nieziarnicze)
  - białaczki (ostre białaczki: limfoblastyczna, szpikowa oraz z niezidentyfikowanej linii i przewlekłe białaczki: przewlekła białaczka szpikowa oraz młodzieńcza białaczka mielomonocytozą)
  - inne niż białaczki nowotwory układu krwiotwórczego, w tym inne nowotwory mieloproliferacyjne i zespoły mielodysplastyczne
- wszystkie guzy ośrodkowego układu nerwowego i rdzenia kręgowego, niezależnie od rodzaju, charakterystyki histologicznej i stopnia złośliwości
- guz Wilmsa (nerczak zarodkowy)
- nerwiak zarodkowy współczulny (neuroblastoma)
- siatkówczak (retinoblastoma)
- guzy zarodkowe z pierwotnych komórek płciowych (germinoma)
- wątrobiak zarodkowy (hepatoblastoma) i rak wątrobowokomórkowy
- nowotwory z komórek nabłonkowych (raki)

- nowotwory złośliwe narządów wewnętrznych i gruczołów wydzielania wewnętrznego

**NIE:**

- choroby nowotworowe po zakończeniu leczenia oraz nowotwory łagodne

### 11. Choroby płuc i układu oddechowego

**TAK:**

- mukowiscydoza (CF)

- ciężka postać rozstrzeni oskrzeli z powikłaniami

- przewlekłe choroby płuc, powodujące niewydolność oddechową, sinicę lub nadciśnienie płucne

- stan po przeszczepieniu płuc

**NIE:**

- astma oskrzelowa bez powikłań

### 12. Choroby metaboliczne

**TAK:**

- postępujące choroby metaboliczne lub spichrzeniowe, związane z defektami enzymatycznymi lub innymi przyczynami, prowadzące do zajęcia wielu narządów i układów, ze skróceniem oczekiwanej długości życia, w szczególności:

- cystynoza
- zespół Hunter
- zespół Hurler
- zespół Leigha
- zespół Sanfilippo
- choroba Niemann- Picka
- choroba Gauchera
- inne choroby, przebiegające z ciężkim i postępującym zajęciem układu nerwowego i deficytami neurologicznymi.

**NIE:**

- cukrzyca typu 1, jeśli nie powoduje trwałych uszkodzeń narządowych lub zagrażających życiu.

### 13. Inne wskazania

**TAK: Przeszczepienia**

Fundacja Mam Marzenie

ul. św. Krzyża 7, 31-028 Kraków

tel./faks: 12 426 31 11, [www.mammarzenie.org](http://www.mammarzenie.org)

KRS: 0000177137, NIP: 676 225 12 70, REGON: 356763452

Nr konta: 26 1050 1445 1000 0022 7647 0461



- stany po przeszczepieniu narządów (wątroba, nerki, płuca, serce, trzustka) - preferowana kwalifikacja przed przeszczepieniem, ale możliwa także po tej procedurze.

- stany po przeszczepieniu macierzystych komórek krwiotwórczych - zgłoszenie przed przeszczepieniem;

**NIE:**

- przeszczepienie skóry lub rogówki

**TAK: INNE**

- przewlekle stosowana sztuczna wentylacja/oddech wspomagany, niezależnie od przyczyny niewydolności oddechowej

- całkowite żywienie pozajelitowe

- implantowany kardiowerter- defibrylator.

**NIE:**

- alergia