

INDICAȚIE: *Eculizumab este indicat pentru tratarea adulților și copiilor cu Sindrom hemolitic uremic atipic (SHUa)*

I. CRITERII DE INCLUDERE ÎN TRATAMENT

1. Declarație de consimțământ pentru tratament semnată de pacient sau aparținătorii legali/părinte
2. Pacienți cu microangiopatie trombotică mediată de defecte ale cascadei complementului dovedită prin:
 - a) Anemie hemolitică microangiopatică (scăderea hemoglobinei, a haptoglobinei, creșterea LDH, prezența reticulocitozei și a schistocitelor pe frotiul sanguin periferic). De menționat că sunt cazuri de MAT (microangiopatie trombotică) care nu întrunesc toate criteriile pentru anemia hemolitică microangiopatică (ex: forme limitate renal).
 - b) Trombocitopenie
 - c) Afectare de organ:
 - Rinichi: injurie renală acută, HTA, oligoanurie, proteinurie, hematurie, dovada histologică a microangiopatiei trombotice formă acută/cronică (criteriul nu este obligatoriu)
 - Afectare extrarenală: neurologică, digestivă, pulmonară, cardiacă, cutanată, oculară.
 - d) Excluderea altor cauze de microangiopatie trombotică (Figura 1 din protocolul terapeutic)
 - Dozarea activității proteazei ADAMTS13
 - Excluderea cauzelor infecțioase (sindrom hemolitic uremic secundar infecției cu *Escherichia coli* (E.coli) entero-patogen (SHU-STEC)
 - Excluderea cauzelor medicamentoase, bolilor autoimune/neoplaziilor, sepsis.
 - e) Confirmarea dereglării căii alterne a complementului (Tabel 2, Figura 2 din protocolul terapeutic).

Notă: *Începerea tratamentului cu Eculizumab nu trebuie să fie condiționată de rezultatul acestor teste (greu accesibile, rezultat disponibil după perioade lungi de timp):*

- Dozarea nivelului seric al componentelor complementului (C3 și C4)
- Teste funcționale (CH50 și AP50)
- Cuantificarea produșilor de degradare: C3d, Bb, C5b-C9.
- Determinarea autoanticorpilor anti-factor I sau H.
- Teste genetice (criteriul este recomandat pentru evaluarea prognosticului, dar nu este obligatoriu; mutații vor fi identificate la 60-70% dintre pacienți).

II. CRITERII DE EXCLUDERE DIN TRATAMENT/CONTRAINDICAȚII

1. ADAMTS13 < 10%
2. Test scaun pozitiv pentru *Escherichia coli* (E.coli) enteropatogen
3. Confirmarea unui tip de microangiopatie trombotică secundară (cauze medicamentoase, boli autoimune/neoplazii, transplant medular, sepsis)

¹ Se încercuiesc criteriile care corespund situației clinico-biologice a pacientului la momentul completării formularului

4. Hipersensibilitate la eculizumab, proteine murinice sau la oricare dintre excipienții produsului
5. Tratamentul cu Eculizumab nu trebuie inițiat la pacienții:
 - cu infecție netratată cu *Neisseria meningitidis*.
 - nevaccinați recent împotriva *Neisseria meningitidis*, cu excepția cazului în care li se administrează tratament antibiotic profilactic, adecvat, timp de 2 săptămâni după vaccinare.

III. CRITERII DE CONTINUARE A TRATAMENTULUI

1. Menținerea consimțământului și a complianței la tratament a pacientului
2. Starea clinică a pacientului permite administrarea terapiei în condiții de siguranță
3. Probele biologice permit continuarea administrării terapiei în condiții de siguranță

IV. CRITERII DE ÎNTRERUPERE A TRATAMENTULUI

1. Lipsa de complianță la tratament sau la evaluarea periodică
2. Reacții adverse severe la medicament (complicații infecțioase)
3. Co-morbidități amenințătoare de viață, cu prognostic rezervat
4. Deși nu există criterii clare de oprire a tratamentului cu eculizumab, indicația poate fi personalizată în cazul fiecărui pacient, în funcție de riscul de recădere, numărul de recăderi anterioare, răspunsul la tratament, tipul mutației și în absența oricăror manifestări clinice sau paraclinice ale microangiopatiei trombotice (Tabel 1, 4 și 5 din protocolul terapeutic).

Subsemnatul, dr....., răspund de realitatea și exactitatea completării prezentului formular.

Data:

--	--	--	--	--	--	--	--	--

Semnătura și parafa medicului curant

Originalul dosarului pacientului, împreună cu toate documentele anexate (evaluări clinice și buletine de laborator sau imagistice, consimțământul informat, declarația pe propria răspundere a pacientului, formularul specific, confirmarea înregistrării formularului etc.), constituie documentul-sursă față de care, se poate face auditarea/controlul datelor completate în formular.