

INDICAȚIE: *Ecilizumab este indicat pentru tratarea adulților cu Hemoglobinurie paroxistică nocturnă (HPN) cu istoric de transfuzii. Nu se indică tratamentul cu ecilizumab pentru componenta aplastică a anemiei la pacienții cu HPN, în absența criteriilor de hemoliză.*

I. CRITERII DE INCLUDERE ÎN TRATAMENT

1. Declarație de consimțământ pentru tratament semnată de pacient
2. Pacienți cu diagnostic de hemoglobinurie paroxistică nocturnă (HPN) cu hemoliză intravasculară mediată de defecte ale cascadei complementului dovedită prin (toate cele trei criterii):
 - a) Hemoliză intravasculară semnificativă (scăderea hemoglobinei, a haptoglobinei, creșterea LDH > 1,5 x nivelul maxim normal, prezența reticulocitozei și a schizocitelor pe frotiul sanguin periferic) cu evidența deficitului de organ (cel puțin un deficit):
 - Anemie semnificativă cu dependență/istoric de transfuzii
 - Tromboză venoasă sau arterială
 - Hipertensiune sau insuficiență pulmonară neexplicată de altă patologie
 - Insuficiență renală neexplicată de altă patologie
 - Durere abdominală recurentă sau disfagie care necesită spitalizare sau analgezie cu opiacee.
 - b) Prezența clonei majore leucocitare HPN $\geq 10\%$ identificată prin imunofenotipare prin citometrie în flux conform ghidurilor internaționale (cel puțin două dintre liniile hematopoietice eritrocitară, granulocitară și monocitară utilizând cel puțin markerii FLAER, CD157 pentru monocite și granulocite (ambii markeri obligatoriu), CD59 (pentru eritrocite).
 - c) Excluderea altor cauze de hemoliză intravasculară.

II. CRITERII DE EXCLUDERE DIN TRATAMENT/CONTRAINDICAȚII

1. Infirmarya HPN ca și cauză pentru hemoliza intravasculară
2. Lipsa criteriilor de anemie semnificativă cu deficit de organ și/sau istoric de transfuzii
3. Clona majoră HPN sub 10% (evaluată prin imunofenotipare prin citometrie în flux, conform ghidurilor internaționale menționate la criteriile de includere)
4. Hipersensibilitate la Ecilizumab, proteine murinice sau la oricare dintre excipienții produsului
5. Refuzul vaccinării împotriva *Neisseria meningitidis*

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

6. 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. Comorbidități amenințătoare de viață, cu prognostic rezervat
4. Decizia medicului curant, împreună cu pacientul, de a opri terapia
5. Decizia unilaterală a pacientului de a opri terapia
6. 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.

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.