



**A. CRITERII DE INCLUDERE ÎN TRATAMENT**

1. Declarația de consimțământ pentru tratament semnată de pacient:  DA  NU
2. Vârsta: - adolescenți  DA  NU  
 - adulți  DA  NU
3. Teste genetice moleculare pozitive:  DA  NU
- Prezența unei mutații punctuale la nivelul ADN-ului mitocondrial:
  - în 90% din cazuri → cel puțin una dintre cele trei mutații majore (11778G>A, 3460G>A, 14484T>C) care pot determina apariția semnelor clinice de boală:
  - în 10% din cazuri → alte mutații minore:
4. Prezintă **minim unul din semnele sau simptomele caracteristice maladiei Leber** (*neuropatia optică ereditară*), cu condiția ca debutul simptomatologiei sa fie sub 60 luni la momentul inițierii terapiei:  DA  NU
- a. scăderea acuității vizuale la nivel central/centrocaecal cu apariție nedureroasă, în general subacută/acută:
- b. prezența unui scotom central/centrocaecal:  DA  NU
- fie unilateral (25% dintre pacienți):
  - fie bilateral (afectarea celuilalt ochi instalându-se, în general, într-un interval de 8-12 săptămâni de la afectarea primului ochi):
- c. scăderea acuității vizuale sub logMAR 1.0 (ETDRS), în primele 12 luni de la debutul clinic (la 90% dintre pacienți):
- d. alterarea percepției culorilor (discromatopsie), în special pe axa roșu-verde:
- e. lipsa de răspuns la tratamentul cu glucocorticoizi după 15-30 zile de tratament:
- f. apariția unui pseudoedem la nivelul discului optic și fragilizarea celulelor ganglionare retiniene (RCG) și axonilor lor:

**B. CRITERII DE EXCLUDERE DIN TRATAMENT**

1. Pacienții la care debutul simptomatologiei a avut loc în urmă cu mai mult de 60 luni
2. Pacienții care suferă de:
- alte neuropatii  sau
  - afecțiuni oculare degenerative care determină scăderea severă a acuității vizuale:

- nevrita optică
- glaucom
- atrofia optică dominantă
- neuropatia toxică
- neuropatia nutrițională

### C. CRITERII DE CONTINUARE A TRATAMENTULUI

1. Administrarea Idebanona (maxim 24 de luni) → răspuns terapeutic:  DA  NU
2. Evaluări la fiecare 6 luni pentru a stabili momentul apariției răspunsului CRR (recuperare clinică relevantă):  DA  NU
  - a. Dacă răspunsul nu apare la primele evaluări → continuă tratamentul până la maxim 24 luni când medicul de specialitate oftalmolog va face o nouă evaluare clinică:  DA  NU
    - Dacă la 24 luni nu se observă nici un răspuns privind recuperarea acuității vizuale → terapia se oprește (foarte puțin probabil ca pacientul să mai răspundă)
  - b. Dacă pacientul răspunde (recuperare acuitate vizuală) mai devreme (la 6 luni , 12 luni  sau 18 luni ) → continuă tratamentul până la faza de platou (aceleași valori între două evaluări succesive)  → continuă tratamentul încă 1an (după faza de platou, perioada totală de tratament ≤ 36 de luni), pentru stabilizare .

### D. CRITERII DE ÎNTRERUPERE A TRATAMENTULUI

1. Absența răspunsului clinic: nu există nici un răspuns (lipsă recuperare acuitate vizuală) la primele evaluări  sau până la maxim 24 luni de la inițierea terapiei  → pacient nonrespondent → tratamentul trebuie întrerupt:  DA  NU
2. Lipsă beneficiu (recuperare acuitate vizuală) între doua evaluări succesive → fază de platou: se continua tratamentul încă 1 an → se oprește (perioada totală de tratament ≤ 36 de luni)
3. Hipersensibilitate la idebenona sau la oricare dintre excipienți:  DA  NU

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.