

# ECULIZUMAB

## CONDICIONES DE USO Y SEGUIMIENTO

### **Las condiciones de uso serán:**

Pacientes diagnosticados de Hemoglobinuria Paroxística Nocturna (HPN) que cumplan los siguientes criterios:

- mayores de 18 años
- pacientes con al menos 4 transfusiones en los últimos 12 meses por anemia o síntomas relacionados con anemia
- $\geq 10\%$  de eritrocitos HPN tipo III, confirmado por citometría de flujo.
- $\geq 100.000$  plaquetas/ $\text{mm}^3$
- LDH  $\geq 3$  veces el límite superior de normalidad.

### **No serán candidatos a tratamiento los enfermos que cumplan los siguientes requisitos:**

- Enfermos con hipoplasia/aplasia o síndrome mielodisplásico a través de aspirado medular o biopsia medular.
- Pacientes con Hb  $\geq 10.5$  g/dL antes de las transfusiones en los últimos 12 meses
- Pacientes con deficiencia del sistema del complemento
- Pacientes con TMO previo.
- Pacientes con infección bacteriana activa o historial de infección meningocócica o antecedentes de esplenectomía.

### **Estos criterios se basan en los de inclusión-exclusión del estudio pivotal TRIUMPH. Además, se debe cumplir:**

- Haber requerido transfusión de 13 o más concentrados de hematíes en los últimos 12 meses.

### **Por otra parte será necesario cumplir el Plan de Gestión de Riesgos, que incluye:**

- Envío de Eculizumab individualmente por paciente, tras certificación del clínico de vacunación frente a Neisseria meningitidis, al menos dos semanas antes de iniciar el tratamiento; los pacientes deben ser revacunados según las directrices vigentes sobre vacunación.
- Información a todos los profesionales sanitarios relacionados con la administración de eculizumab sobre los siguientes puntos relacionados con la toxicidad del fármaco:
  - Reacciones infusionales
  - Riesgo de infección por Neisseria y en general riesgo de infección.
  - Riesgo de hemólisis tras suspensión del tratamiento
  - En mujeres en edad fértil, evitar la concepción.
  - Inmunogenicidad
- Establecimiento de un sistema de "Tarjetas del Paciente" en el que se le informe de los riesgos asociados al tratamiento y en qué casos debe solicitar atención médica urgente
- Sistema de farmacovigilancia por parte del laboratorio fabricante

El objetivo del tratamiento con eculizumab es:

- evitar trasfusiones relacionadas con la hemólisis que se produce en la HPN
- prevención de hemólisis relacionada con HPN
- prevención de la morbimortalidad relacionada con HPN

Por tanto, se realizará una evaluación semestral de todos los pacientes en tratamiento con eculizumab. Para continuar el tratamiento, se seguirán los siguientes criterios:

- Ausencia de transfusiones
- Reducción de la hemólisis definida como LDH  $< 1.5$  veces el límite superior de la normalidad
- No evolución a aplasia o síndrome mielodisplásico
- No aparición de toxicidad limitante