

DCI: DEFEROXAMINUM

Protocol terapeutic corespunzător poziției nr. 266, cod (V001D): DCI DEFEROXAMINUM

Definiția afecțiunii

Supraîncărcarea cronică cu fier (hemosideroză) secundară transfuziilor repetate de concentrat eritrocitar în:

- β -talasemia majoră și intermedia
- sindroame mielodisplazice
- aplazie medulară
- alte anemii
- boli hemato-oncologice politransfuzate

În absența tratamentului chelator de fier evoluția este progresivă spre deces prin multiple insuficiențe de organ datorate supraîncărcării cu fier.

Criterii de includere

- pacienți cu β -talasemie majoră cu vârste peste 2 ani;
- după transfuzia a aprox. 20 unități concentrat eritrocitar sau la o valoare a feritinei serice în jur de 1000 $\mu\text{g/l}$.

Tratament (doze, condițiile de scădere a dozelor, perioada de tratament)

Dozele standard

- la copii 20 - 40 mg/Kgc (nu se depășește 40 mg/Kgc)
- la adult 50 - 60 mg/Kgc
- în perfuzie subcutanată lentă pe parcursul a 8 - 12 ore/zi, minim 6 nopți/săptămână prin intermediul unei pompițe portabile;
- în funcție de vârsta pacientului, greutate și nivelul feritinei serice cu păstrarea indexului terapeutic (doza medie zilnică de Desferal în mg/Kgc/valoarea feritinei serice în $\mu\text{g/l}$) sub 0,025;
- se asociază vitamina C în doză limitată la 2 - 3 mg/Kgc/zi (oral și numai timpul perfuziei);

Chelarea intensivă cu deferoxamină - infuzie continuă 24 ore intravenos sau subcutanat are următoarele indicații:

- persistența valorilor crescute ale feritinei serice;
- boală cardiacă semnificativă;
- înaintea sarcinii sau transplantului medular.
(doză 50 - 60 mg/Kgc/zi)

Monitorizarea tratamentului

- la fiecare 3 luni:
- feritina serică;
- monitorizarea creșterii longitudinale și greutății corporale la pacienții pediatrici;

- control oftalmologic și audiologic de specialitate înaintea începerii tratamentului și la 3 luni pentru pacienții cu concentrații plasmaticice ale feritinei serice scăzute și anual în rest;
- bianual evaluarea funcției cardiace;
- anual evaluarea funcției endocrine.

Criterii de excludere din tratament

Reacții adverse:

- sistemice cronice:
 - oculare;
 - auditive;
 - displazia cartilaginoasă a oaselor lungi și coloanei vertebrale asociate cu tulburări de creștere la copiii mici;
- sindrom pulmonar acut;
- reacții senzitive generalizate;
- reacții cutanate locale severe;
- hipersensibilitate la deferoxamină (șoc anafilactic, angioedem)

Comorbidități:

- insuficiență renală severă;
- Non-responder:
 - nu este cazul
- Non-compliant:
 - datorită administrării subcutanate zilnice complianța este scăzută la tratament.

Prescriptori: medicul hematolog sau oncolog.