

Cod formular specific: A16AB10

**FORMULAR PENTRU VERIFICAREA RESPECTĂRII CRITERIILOR DE ELIGIBILITATE
AFERENTE PROTOCOLULUI TERAPEUTIC DCI VELAGLUCERASE ALFA**

SECȚIUNEA I - DATE GENERALE

1. Unitatea medicală:

2. CAS / nr. contract:/.....

3. Cod parafă medic:

4. Nume și prenume pacient:

CNP / CID:

5. FO / RC: în data:

6. S-a completat "Secțiunea II- date medicale" din Formularul specific cu codul:

7. Tip evaluare: inițiere continuare întrerupere

8. Încadrare medicament recomandat în Listă:

boala cronică (sublista C secțiunea C1), cod G:

PNS (sublista C secțiunea C2), nr. PNS: , cod de diagnostic (*varianta 999 coduri de boală*), după caz:

ICD10 (sublista A, B, C secțiunea C3, D, după caz), cod de diagnostic (*varianta 999 coduri de boală*):

9. DCI recomandat: 1)..... DC (după caz)

2)..... DC (după caz)

În doza deU/kg.....U/perfuzie, o perfuzie la 2 săptămâni interval.

10.*Perioada de administrare a tratamentului: 3 luni 6 luni 12 luni,

de la: până la:

11. Data întreruperii tratamentului:

12. Pacientul a semnat declarația pe propria răspundere conform modelului prevăzut în Ordin:

DA NU

*Nu se completează dacă la "tip evaluare" este bifat "întrerupere"!

A. CRITERII DE INCLUDERE ÎN TRATAMENT

1. Diagnostic: Boala Gaucher tip 1 DA NU

- diagnostic specific:

a) enzimatic¹..... data DA NU

b) molecular² data DA NU

2. Pacientul a urmat tratament anterior cu Imiglucerasum la care nu a înregistrat răspuns adecvat după 12 luni de tratament cu 60 U /kgc la fiecare 2 săptămâni DA NU

3. Sunt eligibili pentru tratament pacienții care prezintă cel puțin unul dintre criteriile de includere enumerate mai jos:

I. Pacienți cu vârsta sub 18 ani DA NU

a) **Retard de creștere:** DA NU

1) talia cm/SDS

2) greutatea kg/IMC

b) **Organomegalie simptomatică sau disconfort mecanic:** DA NU

1) splenectomie: DA NU

dacă NU:

2) volumul splenic (cmc mN³.....)

3) volumul hepatic (cmc mN⁴.....)

c) **Citopenie severă:** DA NU

1) Hb.....g/dl.....< 10g/dl

(datorată bolii Gaucher)?

2) trombocite...../mmc ; < 60.000/mmc

sau:

3) neutropenie...../mmc; < 500/mmc

sau:

4) leucopenie simptomatică cu infecții

d) Boală osoasă simptomatică (dureri osoase, crize osoase, fracturi patologice) DA NU

¹ valoare scăzută a β glucocerebrozidazei <15-20% din valoarea martorilor

² prezența unor mutații specifice bolii, in stare de homozigot sau heterozigot compus la nivelul genei β glucocerebrozidazei (localizata 1q21)

³ multiplu vs normal (raportare la valoarea normală; valoarea normală = [Gr. pacientului (gr)x0,2]/100

⁴ multiplu vs normal (raportare la valoarea normală; valoarea normală = [Gr. pacientului (gr)x2,5]/100

II. Pacienți cu vârsta peste 18 ani

DA NU

a) Somatimetrie:

DA NU

1) talia cm/SDS

2) greutatea kg/IMC

b) Creștere viscerală masivă care conduce la disconfort mecanic sau infarcte:

DA NU

1) splenectomie: DA NU

dacă NU:

2) volumul splenic (cmc mN³)

3) volumul hepatic (cmc mN⁴)

c) Citopenie severă:

DA NU

1) Hb.....g/dl.....< 10g/dl

(datorată bolii Gaucher)?

2) trombocite...../mmc ; < 60.000/mmc

sau:

3) neutropenie...../mmc; < 500/mmc

sau:

4) leucopenie simptomatică cu infecții

d) Boală osoasă activă definită prin episoade osoase recurente: fracturi patologice, crize osoase, necroză avasculară

DA NU

B. CRITERII DE CONTINUARE A TRATAMENTULUI (Tratamentul se continuă toată viața!)

1. Perioada de administrare a terapiei de substituție enzimatică:

Data inițierii: până la:

2. Evoluția manifestărilor clinice sub tratament:

a) Retardul de creștere (pentru pacienții cu vârsta sub 18 ani):

DA NU

1) talia cm/SDS

evoluție: - staționar

- ameliorare

- normalizare

2) greutatea kg/IMC

evoluție: - staționar

- ameliorare

- normalizare

b) Organomegalia:

DA NU

1) splenectomie:

DA NU

dacă NU:

2) volumul splenic (cmc mN³.....)

evoluție: - agravare - ameliorare
- staționară - normalizare

3) volumul hepatic (cmc mN⁴.....)

evoluție: - agravare - ameliorare
- staționară - normalizare

c) Citopenie:

DA NU

1) Hb.....g/dl

evoluție: - agravare - ameliorare
- staționară - normalizare

2) trombocite...../mmc

evoluție: - agravare - ameliorare
- staționară - normalizare

3) neutrofile...../mmc

evoluție: - agravare - ameliorare
- staționară - normalizare

d) Boală osoasă

DA NU

1) clinic (in ultimele 6 luni):

evoluție: - agravare

- dureri - staționară
- crize osoase - ameliorare
- fracturi patologice - normalizare

2) IRM femur bilateral (se efectueaza la 12-24 luni):

- infiltrare medulară **evoluție:** - agravare
- leziuni litice - staționară
- infarcte osoase - ameliorare
- necroză avasculară

e) Efecte adverse:

DA NU

- absente
- prezente (enumerare):

4. Comorbidități importante pentru evoluția pacientului:

.....

C. CRITERII DE ÎNTRERUPERE A TRATAMENTULUI

1. Lipsa de complianță a pacientului
2. Efecte adverse severe: dispnee, tahicardie, dureri precordiale, angioedem, necontrolabile terapeutic
3. Decesul pacientului

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.