ANEXA 4

 **Cod formular specific: A16AX10**

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

 **SECŢIUNEA I - DATE GENERALE**

 **1. Unitatea medicală: ....................................................**

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

 **\_ \_ \_ \_ \_ \_**

 **3. Cod parafă medic: |\_|\_|\_|\_|\_|\_|**

 **4. Nume şi prenume pacient: ..............................................**

 **\_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_**

 **CNP/CID: |\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|**

 **\_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_**

 **5. FO/RC: |\_|\_|\_|\_|\_|\_| în data: |\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|**

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

 \_ \_ \_

 **7. Tip evaluare:** |\_| iniţiere |\_| continuare |\_| întrerupere

 **8. Încadrare medicament recomandat în Listă:**

 \_ \_ \_ \_

 |\_| boala cronică (sublista C secţiunea C1), cod G: |\_|\_|\_|

 \_ \_ \_ \_ \_

 |\_| PNS (sublista C secţiunea C2), nr. PNS: |\_|\_|\_|\_|, cod de diagnostic

 \_ \_ \_

 (varianta 999 coduri de boală), după caz: |\_|\_|\_|

 \_

 |\_| ICD10 (sublista A, B, C secţiunea C3, D, după caz), cod de diagnostic

 \_ \_ \_

 (varianta 999 coduri de boală): |\_|\_|\_|

 **9. DCI recomandat: ...................... DC ...............**

 \_ \_

 În doză de 2 x (1 capsulă 84 mg) / zi |\_|; 1 x (1 capsulă 84 mg) / zi |\_|

 \_ \_

 Reţeta se eliberează la interval de **4 săptămâni** |\_|; **8 săptămâni** |\_|

 **10. \* Perioada de administrare a tratamentului:**

 \_ \_ \_

 |\_| 3 luni |\_| 6 luni |\_| 12 luni,

 \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_

 **de la:** |\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_| **până la:** |\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|

 \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_

 **11. Data întreruperii tratamentului:** |\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|

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

 \_ \_

 |\_| DA |\_| NU

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

 **SECŢIUNEA II - DATE MEDICALE** Cod formular specific **A16AX10**

 **A. CRITERII DE INCLUDERE ÎN TRATAMENT**

 **1. Diagnostic:** Boala Gaucher tip 1

 **- diagnostic specific:**

 \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_

 a) enzimatic\*1) ..................... data |\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_| |\_| DA |\_| NU

 \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_

 b) molecular\*2) ..................... data |\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_| |\_| DA |\_| NU

 \_

 **2. Tipul de metabolizator prin intermediul CYP2D6: rapid (MR) |\_|**

 **\_ \_**

 **intermediar (MI) |\_| lent (ML) |\_|**

 **3. Sunt eligibili pentru tratament pacienţii (cu vârsta >/= 18) ani care prezintă cel puţin unul dintre criteriile de includere enumerate mai jos:**

 **A.1. Pentru pacienţii care nu au mai primit tratament specific pentru boala Gaucher:**

 \_ \_

 |\_| DA |\_| NU

 **Somatometrie:**

 \_

 1. talia ............... cm/SDS ................... |\_|

 \_

 2. greutatea ........... kg/IMC ................... |\_|

 **a) Creştere viscerală:**

 \_ \_

 1. splenectomie: |\_| DA |\_| NU

 dacă NU:

 \_

 2. volumul splenic (cmc .......... mN\*3) .........) |\_|

 \_ \_ \_

 splenomegalie: uşoară |\_| moderată |\_| severă |\_|

 \_

 3. volumul hepatic (cmc .......... mN\*4) .........) |\_|

 \_ \_ \_

 hepatomegalie: uşoară |\_| moderată |\_| severă |\_|

 **b) Citopenie:**

 \_ \_

 1. Hb .............. g/dl ...................... < 10 g/dl |\_| DA |\_| NU

 \_ \_

 (datorată bolii Gaucher)? |\_| DA |\_| NU

 \_ \_

 2. Trombocite .............../mmc |\_| DA |\_| NU

 \_ \_

 Trombocitopenie < 60.000/mmc |\_| DA |\_| NU

 \_ \_

 3. Neutropenie ............../mmc; < 500/mmc |\_| DA |\_| NU

 sau:

 \_ \_

 4. Leucopenie simptomatică cu infecţii |\_| DA |\_| NU

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

 \_ \_

 |\_| DA |\_| NU

------------

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

 \*2) prezenţa unor mutaţii specifice bolii, în stare de homozigot sau heterozigot compus la nivelul genei β glucocerebrozidazei (localizată lq21)

 \*3) multiplu vs normal (raportare la valoarea normală; valoarea normală = [Gr. pacientului (gr.) x 0,2] / 100

 \*4) multiplu vs normal (raportare la valoarea normală; valoarea normală = [Gr. pacientului (gr.) x 2,5] / 100

 **A.2. Pentru pacienţii care au primit până în acest moment tratament specific de substituţie enzimatică (Imiglucerasum sau Velaglucerasum)**

 **Somatometrie:**

 \_

 1. talia ............... cm/SDS ................... |\_|

 \_

 2. greutatea ........... kg/IMC ................... |\_|

 **a) Creştere viscerală:**

 \_ \_

 1. splenectomie: |\_| DA |\_| NU

 dacă NU:

 2. volumul splenic (cmc .......... mN\*3) .........)

 \_ \_ \_

 - splenomegalie: uşoară |\_| moderată |\_| severă |\_|

 3. volumul hepatic (cmc .......... mN\*4) .........)

 \_ \_ \_

 - hepatomegalie: uşoară |\_| moderată |\_| severă |\_|

 **b) Citopenie:**

 \_ \_

 1. Hb .............. g/dl ...................... < 10 g/dl |\_| DA |\_| NU

 \_ \_

 (datorată bolii Gaucher)? |\_| DA |\_| NU

 \_ \_

 2. Trombocite .............../mmc |\_| DA |\_| NU

 \_ \_ \_

 - trombocitopenie: uşoară |\_| moderată |\_| severă |\_|

 \_ \_

 3. Neutropenie ............../mmc; < 500/mmc |\_| DA |\_| NU

 sau:

 \_ \_

 4. Leucopenie simptomatică cu infecţii: |\_| DA |\_| NU

 **c) Boală osoasă activă definită prin episoade osoase recurente: fracturi patologice, dureri, crize osoase, necroză avasculară** (precizaţi elementele prezente la pacient):

 \_ \_

 ......................................................... |\_| DA |\_| NU

 **B. CRITERII DE EXCLUDERE:**

 **- afecţiuni cardiace preexistente** (insuficienţă cardiacă congestivă, infarct miocardic acut recent, tulburări de ritm, sindrom de interval QT prelungit)

 \_

 |\_|

 \_

 **- insuficienţă hepatică** |\_|

 \_

 **- insuficienţă renală** |\_|

 **- medicamente incompatibile cu Eliglustat** (precizaţi numele medicamentului):

 \_

 .......................................................... |\_|

 \_

 **- sarcina şi alăptarea** |\_|

 **C. CRITERII DE CONTINUARE A TRATAMENTULUI (Tratamentul se continuă toată viaţa!)**

 **1. Perioada de administrare a terapiei:**

 \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_

 **Data iniţierii:** |\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_| **până la:** |\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|

 **2. Evoluţia manifestărilor clinice sub tratament:**

 **a) Somatometrie:**

 \_

 1. talia ............... cm/SDS ................... |\_|

 \_

 2. greutatea ........... kg/IMC ................... |\_|

 \_

 **evoluţie:** - staţionar |\_|

 \_

 - creştere ponderală |\_|

 \_

 - scădere ponderală |\_|

 \_ \_

 **b) Organomegalia:** |\_| DA |\_| NU

 \_ \_

 1. splenectomie: |\_| DA |\_| NU

 dacă NU:

 2. volumul splenic (cmc .......... mN\*3) .........)

 \_

 **evoluţie:** - staţionară |\_|

 \_

 - ameliorare |\_|

 \_

 - normalizare |\_|

 \_

 - agravare |\_|

 3. volumul hepatic (cmc .......... mN\*4) .........)

 \_

 **evoluţie:** - staţionară |\_|

 \_

 - ameliorare |\_|

 \_

 - normalizare |\_|

 \_

 - agravare |\_|

 \_ \_

 **c) Citopenie:** |\_| DA |\_| NU

 1. Hb .................. g/dl

 \_

 **evoluţie:** - staţionară |\_|

 \_

 - ameliorare |\_|

 \_

 - normalizare |\_|

 \_

 - agravare |\_|

 2. Trombocite ............./mmc

 \_

 **evoluţie:** - staţionară |\_|

 \_

 - ameliorare |\_|

 \_

 - normalizare |\_|

 \_

 - agravare |\_|

 3. Neutrofile ............../mmc

 \_

 **evoluţie:** - staţionară |\_|

 \_

 - ameliorare |\_|

 \_

 - normalizare |\_|

 \_

 - agravare |\_|

 \_ \_

 **d) Boală osoasă** |\_| DA |\_| NU

 1. clinic (în ultimele 6 luni):

 \_ \_

 - dureri |\_| **evoluţie:** - staţionară |\_|

 \_ \_

 - crize osoase |\_| - ameliorare |\_|

 \_ \_

 - fracturi patologice |\_| - normalizare |\_|

 \_

 - agravare |\_|

 \_

 2. IRM femur bilateral (se efectuează la 12 - 24 luni): |\_|

 \_ \_

 - infiltrare medulară |\_| **evoluţie:** - staţionară |\_|

 \_ \_

 - leziuni litice |\_| - ameliorare |\_|

 \_ \_

 - infarcte osoase |\_| - normalizare |\_|

 \_ \_

 - necroză avasculară |\_| - agravare |\_|

 **3. Efecte adverse:**

 \_

 - absente |\_|

 \_

 - prezente (enumerare): |\_|

 ...................................................

 ...................................................

 \_ \_

 **4. Comorbidităţi importante pentru evoluţia pacientului:** |\_| DA |\_| NU

 ........................................................

 **C. CRITERII DE ÎNTRERUPERE A TRATAMENTULUI**

 \_

 **1.** Lipsa de complianţă a pacientului |\_|

 **2.** Efecte adverse severe: sincopa (excepţională, de altfel, în experienţa raportată la aceşti pacienţi în absenţa unor factori de risc predispozanţi); se indică tratament de substituţie enzimatică

 \_

 |\_|

 \_

 **3.** Decesul pacientului |\_|

 **4.** Alte cauze: - hipersensibilitate la substanţa activă sau la oricare dintre excipienţi

 \_

 |\_|

 - comorbidităţi sau medicaţie incompatibile cu tratamentul cu Eliglustat (conform protocolului DCI Eliglustat)

 \_

 |\_|

 \_

 - sarcină şi alăptarea |\_|

 În aceste situaţii se va indica tratament de substituţie enzimatică.

 Subsemnatul, dr. ............................., răspund de realitatea şi exactitatea completării prezentului formular.

 \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_

 Data: |\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_| Semnătura şi parafa medicului curant

 Originalul dosarului pacientului, împreună cu toate documentele anexate (evaluări clinice şi buletine de laborator sau imagistice, consimţământul informat, declaraţia pe propria răspundere a pacientului, formularul specific, confirmarea înregistrării formularului etc.), constituie documentul-sursă faţă de care se poate face auditarea/controlul datelor completate în formular.