

FORMULAR PENTRU VERIFICAREA RESPECTĂRII CRITERIILOR DE ELIGIBILITATE AFERENTE PROTOCOLULUI TERAPEUTIC DCI IMIGLUCERASUM

SECTIUNEA I - DATE GENERALE

1. Unitatea medicală:

2. CAS / nr. contract: /

3.Cod parafă medic:

4.Nume și prenume pacient:

CNP / CID:

5.FO / RC: **in data:**

6.S-a completat "Sectiunea 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 boala*):

--	--	--

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,

11. Data întreruperii tratamentului: / / / / /

12. Pacientul a semnat declaratia 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**- diagnostic specific:**

- a) enzimatic¹ data

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

 DA NU
- b) molecular² data

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

 DA NU

2. Sunt eligibili pentru tratament pacienții care prezintă cel puțin unul dintre criteriile de includere enumerate mai jos:**I. Pacienți cu vârstă sub 18 ani****a) Retard de creștere:**

- 1) talia cm/SDS

--
- 2) greutatea kg/IMC

--

b) Organomegalie simptomatică sau disconfort mechanic:

- 1) splenectomie:

--

 DA

--

 NU

dacă NU:

- 2) volumul splenic (cmc mN³.....)

--
- 3) volumul hepatic (cmc mN⁴.....)

--

c) Citopenie severă:

- 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**e) Prezența formei neuronopate cronice (tipul 3) sau existența în fratrie a unui pacient cu această formă de boală** DA NU¹ valoare scăzută a β glucocerebrozidazei <15-20% din valoarea martorilor² prezența unor mutații specifice bolii, în stare de homozigot sau heterozigot compus la nivelul genei β glucocerebrozidazei (localizată 1q21)³ multiplu vs normal (raportare la valoarea normală; valoarea normală = [Gr. pacientului (gr)x0,2]/100⁴ multiplu vs normal (raportare la valoarea normală; valoarea normală = [Gr. pacientului (gr)x2,5]/100)

I. Pacienți cu vârstă peste 18 ani DA NU**a) Somatimetrie:**

1) talia cm/SDS

2) greutatea kg/IMC

b) Creștere viscerală masivă care conduce la disconfort mecanic sau infarcte: DA NU1) splenectomie: DA NU

dacă NU:

2) volumul splenic (cmc mN³.....) 3) volumul hepatic (cmc mN⁴.....) **c) Citopenie severă:** DA NU1) 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 toata viață!*)****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 vârstă sub 18 ani):** DA NU1) talia cm/SDS evoluție: - staționar - ameliorare - normalizare 2) greutatea kg/IMC evoluție: - staționar - ameliorare - normalizare

b) Organomegalia: DA NU1) 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 NU1) 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) Boala 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 vasculară **3. 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 (excepționale de altfel în experiența raportată la acești pacienți) 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, consumămantul 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 completeate în formular.