Cod formular specific: A16AX18 **Anexa 1**

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

- ***hiperoxaluria primară –***

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 (v*arianta 999 coduri de boală)*, după caz: ☐☐☐

☐ ICD10 (sublista A, B,C secţiunea C3, D, după caz), cod de diagnostic (v*arianta 999 coduri de boală)*: ☐☐☐

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

2)……. **DC** (după caz) ……...

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

de 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[1] *Cod formular specific **A16AX18***

INDICAȚII: LUMASIRAN (face obiectul unui contract cost-volum) este indicat pentru **tratamentul hiperoxaluriei primare tip 1 (HP1) la toate categoriile de vârstă.**

I. CRITERII DE INCLUDERE ÎN TRATAMENT

1. Pacienți din toate categoriile de vârstă, diagnosticați cu hiperoxalurie primară tip 1 (HP1) care au semnat declarația de consimțământ informat pentru tratamentul cu Lumasiran (bolnav (vârsta peste 18 ani) /părinte / tutore legal)
2. Hiperoxaluria primară de tip 1 trebuie suspectată în condițiile existenței următoarelor caracteristici clinice și paraclinice:

A. Caracteristici clinice și modificări imagistice :

a. **Nefrolitiază recurentă.** Examinarea ultrasonografică renală evidențiază adesea mai mulți calculi radioopaci bilaterali (tomografia computerizată și radiografia reno-vezicală pot demonstra aspecte similare)
b. **Nefrocalcinoza.** La copiii mai mari sau la adulți, cele mai afectate sunt regiunile cortico-medulare, în timp ce sugarii este mai probabil să prezinte nefrocalcinoză difuză, cu puțini calculi sau fără calculi observabili
c. **Copil cu un prim calcul renal.**
d. **Copil mai mic de 12 luni cu insuficiență de dezvoltare** și funcție renală alterată
e. **Boală cronică de rinichi sau insuficiență renală în stadiu terminal la orice vârstă, cu antecedente de calculi renali sau nefrocalcinoză**
f. **Litiază renală cu calculi compuși exclusiv din oxalat-monohidrat de calciu**
g. **Prezența cristalelor de oxalat în orice fluid sau țesut biologic.**

B. Modificări de laborator

a. Excreție urinară crescută de oxalat în mod persistent > 0,7 mmol/ 1,73 m2/zi sau peste intervalul/intervalele de referință legate de vârstă.
b. Concentrație crescută de acid glicolic urinar (glicolat) : apare la aproximativ 75% dintre cazurile de HP1.
c. Concentrație plasmatică crescută de oxalat. Persoanele cu HP1 și funcție renală normală au de obicei valori normale sau ușor crescute. Valorile substanțial crescute devin regulă atunci când rata de filtrare glomerulară este < 45 ml/min/1,73 m^2. Concentrațiile de oxalat în plasmă > 50 µmol/L sunt foarte sugestive pentru HP1.

C. Testarea genetică

a. Vine în sprijinul confirmării diagnosticului clinic prin identificarea mutațiilor genetice în **gena AGXT** localizată pe banda cromozomului 2q37.3 (status homozigot, heterozigot compus sau heterozigot simplu, boala fiind prezentă în aceste situații conform datelor din literatura de specialitate).

Notă : vezi Algoritmul de evaluare diagnostică al Hiperoxaluriei primare (adaptat după Edvardsson VO et al. Pediatr. Nephrol. 2013 Pediatr Nephrol. 2013 Oct; 28(10): 1923–1942), din protocolul terapeutic.

II. CRITERII DE EXCLUDERE DIN TRATAMENT (se aplica anterior inițierii Lumasiranului)

1. Lipsa confirmării diagnosticului de HIPEROXALURIA PRIMARĂ de Tip 1 (HP1).
2. Contraindicații: hipersensibilitate severă la substanța activă sau la oricare dintre excipienți.

---

[1] Se încercuiesc criteriile care corespund situaţiei clinico-biologice a pacientului la momentul completării formularului

III. CRITERII DE CONTINUARE A TRATAMENTULUI

1. Menținerea consimțământului și a complianței la tratament a pacientului
2. Starea clinică a pacientului permite administrarea terapiei în condiții de siguranță
3. Probele biologice permit continuarea administrării terapiei în condiții de siguranță.

IV. CRITERII DE ÎNTRERUPERE A TRATAMENTULUI

Se recomanda întreruperea tratamentului când raportul beneficiu clinic/risc este scăzut, (riscul de continuare a tratamentului fiind crescut sau beneficiul terapeutic clinic redus) :

1. Lipsa de răspuns clinic și biochimic la tratament (**concentrația urinară de oxalat pe o perioadă de 24 de ore ajustată în funcție de suprafața corporală, RFGe, creatinina, albumina sau alți biomarkeri disponibili**)
2. Hipersensibilitate severă (de exemplu, anafilaxie) la substanţa activă sau la oricare dintre excipienţi
3. Toxicitate semnificativă
4. Decizia medicului
5. Decizia pacientului.

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 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.