**Cod formular specific: A008E**

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

**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**: **d 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) ……………………………...

În doza de ............................U/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**”!

**SECŢIUNEA II - DATE MEDICALE** *Cod formular specific* ***A008E***

1. **CRITERII DE INCLUDERE ÎN TRATAMENT**
2. **Diagnostic**: Boala Gaucher tip ..............................

**- diagnostic specific:**

a) enzimatic[[1]](#footnote-1).............................................. data DA NU

b) molecular[[2]](#footnote-2) ............................................. data DA NU

1. **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

1. **Retard de creştere**: DA NU
2. talia ..................... cm/SDS .........................
3. greutatea .............. kg/IMC .........................
4. **Organomegalie simptomatică sau disconfort mecanic**: DA NU
5. splenectomie: DA NU

dacă NU:

1. volumul splenic (cmc ........... mN[[3]](#footnote-3)...................)
2. volumul hepatic (cmc ........... mN[[4]](#footnote-4)...................)
3. **Citopenie severă**: DA NU
4. Hb.......g/dl............................< 10g/dl

(datorată bolii Gaucher)?

1. trombocite.............../mmc ; < 60.000/mmc

sau:

1. neutropenie............../mmc; < 500/mmc

sau:

1. leucopenie simptomatică cu infecţii
2. **Boală osoasă simptomatică (dureri osoase, crize osoase, fracturi patologice)**

DA NU

1. **Prezenţa formei neuronopate cronice (tipul 3) sau existenţa în fratrie a unui pacient cu această formă de boală** DA NU

**I. *Pacienți cu vârsta peste 18 ani*** DA NU

1. **Somatimetrie:** DA NU
2. talia ..................... cm/SDS .........................
3. greutatea .............. kg/IMC .........................
4. **Creştere viscerală masivă care conduce la disconfort mecanic sau infarcte:**

DA NU

1. splenectomie: DA NU

dacă NU:

1. volumul splenic (cmc ........... mN3...................)
2. volumul hepatic (cmc ........... mN4...................)
3. **Citopenie severă:** DA NU
4. Hb.......g/dl............................< 10g/dl

(datorată bolii Gaucher)?

1. trombocite.............../mmc ; < 60.000/mmc

sau:

1. neutropenie............../mmc; < 500/mmc

sau:

1. leucopenie simptomatică cu infecţii
2. **Boală osoasă activă definită prin episoade osoase recurente: fracturipatologice, crize osoase, necroză avasculară** DA NU
3. **CRITERII DE CONTINUARE A TRATAMENTULUI (*Tratamentul se continuă toata viața!)***
4. **Perioada de administrare a terapiei de substituție enzimatică:**

**Data inițierii**: **până la**:

1. **Evoluția manifestărilor clinice sub tratament**:
2. **Retardul de creștere (pentru pacienții cu vârsta sub 18 ani):** DA NU
3. talia ..................... cm/SDS .........................

**evoluție**: - staţionar

* + ameliorare
  + normalizare

1. greutatea .............. kg/IMC .........................

**evoluție**: - staţionar

* + ameliorare
  + normalizare

1. **Organomegalia:** DA NU
2. splenectomie: DA NU

dacă NU:

1. volumul splenic (cmc ........... mN3...................)

**evoluție**: - agravare - ameliorare

* + staţionară - normalizare

1. volumul hepatic (cmc ........... mN4...................)

**evoluție**: - agravare - ameliorare

* + staţionară - normalizare

1. **Citopenie:** DA NU
2. Hb..................g/dl

**evoluție**: - agravare - ameliorare

* + staţionară - normalizare

1. trombocite............./mmc

**evoluție**: - agravare - ameliorare

* + staţionară - normalizare

1. neutrofile............../mmc

**evoluție**: - agravare - ameliorare

* + staţionară - normalizare

1. **Boală osoasă** DA NU
2. clinic (in ultimele 6 luni): **evoluție**: - agravare
   * dureri - staţionară
   * crize osoase - ameliorare
   * fracturi patologice - normalizare
3. IRM femur bilateral (se efectueaza la 12-24 luni):
   * infiltrare medulară **evoluție**: - agravare
   * leziuni litice - staţionară
   * infarcte osoase - ameliorare
   * necroză vasculară
4. **Efecte adverse:** DA NU
   * absente
   * prezente (enumerare): ...............................................................................

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

1. **Comorbidităţi importante pentru evoluția pacientului:**

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

1. **CRITERII DE ÎNTRERUPERE A TRATAMENTULUI**
2. Lipsa de complianță a pacientului

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.

1. Efecte adverse severe:dispnee, tahicardie, dureri precordiale, angioedem (excepţionale de altfel în experiența raportată la acești pacienți) necontrolabile terapeutic
2. Decesul pacientului

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

Data: Semnătura şi parafa medicului curant

1. valoare scăzută a β glucocerebrozidazei <15-20% din valoarea martorilor [↑](#footnote-ref-1)
2. prezenţa unor mutaţii specifice bolii, in stare de homozigot sau heterozigot compus la nivelul genei β

   glucocerebrozidazei (localizata 1q21) [↑](#footnote-ref-2)
3. multiplu vs normal (raportare la valoarea normală; valoarea normală = [Gr. pacientului (gr)x0,2]/100 [↑](#footnote-ref-3)
4. multiplu vs normal (raportare la valoarea normală; valoarea normală = [Gr. pacientului (gr)x2,5]/100 [↑](#footnote-ref-4)