

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 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"!

**A. CRITERII DE INCLUDERE ÎN TRATAMENT**

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

**- diagnostic specific:**

a) enzimatic<sup>1</sup>..... data  DA  NU

b) molecular<sup>2</sup> ..... 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 ..... mN<sup>3</sup>.....)

3) volumul hepatic (cmc ..... mN<sup>4</sup>.....)

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

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

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

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

<sup>4</sup> 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 ..... mN<sup>3</sup> ..... )

3) volumul hepatic (cmc ..... mN<sup>4</sup> ..... )

**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 ..... mN<sup>3</sup>.....)

**evoluție:** - agravare  - ameliorare   
- staționară  - normalizare

3) volumul hepatic (cmc ..... mN<sup>4</sup>.....)

**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.