

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

**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: ..... DC .....

În doza de 2x(1 capsula 84 mg)/zi ; 1x(1 capsula 84 mg)/zi

Rețeta 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 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**

**- diagnostic specific:**

- a) enzimatic<sup>1</sup>.....data          DA  NU
- b) molecular<sup>2</sup>.....data          DA  NU

**2. Tipul de metabolizator prin intermediul CYP2D6: rapid (MR)  intermediar (MI)  lent (ML)**

**3. Sunt eligibili pentru tratament pacienții (cu vârsta ≥ 18 ani) care prezintă cel puțin unul dintre criteriile de includere enumerate mai jos:**

**A.1. Pentru pacienții care nu au mai primit tratament specific pentru boală Gaucher:  DA  NU**

**Somatometrie:**

1. talia ..... cm/SDS .....
2. greutatea ..... kg/IMC .....

**a) Creștere viscerală:**

1. splenectomie:  DA  NU
- dacă NU:

2. volumul splenic (cmc ..... mN<sup>3</sup>.....)
- splenomegalie: usoara  moderata  severa
3. volumul hepatic (cmc ..... mN<sup>4</sup>.....)
- hepatomegalie: usoara  moderata  severa

**b) Citopenie:**

1. Hb.....g/dl.....< 10g/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 infecții  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 normala; valoarea normala = [Gr. pacientului (gr.)x0,2]/100

<sup>4</sup> multiplu vs normal(raportare la valoarea normala; valoarea normala = [Gr. pacientului (gr.)x2,5]/100

**c) Boală osoasă activă definită prin:**

- a. episoade osoase recurente: fracturi patologice, dureri, crize osoase  DA  NU
- b. modificari specifice la RMN osos: infiltrare medulara, leziuni osteolitice, infarcte osoase, necroza avasculara;  DA  NU
- c. scaderea densitatii minerale osoase: osteopenie, osteoporoza  DA  NU
- d. agravare progresiva cel puțin a uneia dintre urmatoarele componente ale tabloului clinic al bolii: organomegalia, anemia, trombocitopenia sau boala osoasa (chiar daca parametrii care definesc aceste suferinte nu ating valorile mentionate mai sus).  DA  NU

**A.2. Pentru pacienții care au primit până în acest moment tratament specific de substituție enzimatică (Imiglucerasum sau Velaglucerasum)  DA  NU**

**Somatometrie:**

1. talia ..... cm/SDS .....
2. greutatea ..... kg/IMC .....

**a) Creștere viscerală:**

1. splenectomie:  DA  NU  
dacă NU:
2. volumul splenic (cmc ..... mN<sup>3</sup>.....)  
- splenomegalie: ușoară  moderată  severă
3. volumul hepatic (cmc ..... mN<sup>4</sup>.....)  
- hepatomegalie: ușoară  moderată  severă

**b) Citopenie:**

1. Hb.....g/dl.....< 10g/dl  
(datorată bolii Gaucher)?  DA  NU
2. Trombocite...../mmc  
- trombocitopenie: ușoară  moderată  severă
3. Neutropenie...../mmc; < 500/mmc:  DA  NU  
sau:
4. Leucopenie simptomatică cu infecții:  DA  NU

**c) Boală osoasă activă definită prin:**

- a. episoade osoase recurente: fracturi patologice, dureri, crize osoase;  DA  NU
- b. modificari specifice la RMN osos: infiltrare medulara, leziuni osteolitice, infarcte osoase, necroza avasculara;  DA  NU
- c. scaderea densitatii minerale osoase: osteopenie, osteoporoza  ABSENTA  PREZENTA  
.....  
(precizați elementele prezente la pacient).

## B. CRITERII DE EXCLUDERE:

- **afecțiuni cardiace preexistente** (insuficiența cardiacă congestivă, infarct miocardic acut recent, tulburări de ritm, sindrom de interval QT prelungit)  DA  NU
- **insuficiența hepatică**  DA  NU
- **insuficiența renală**  DA  NU
- **medicamente incompatibile cu Eliglustat** (precizați numele medicamentului):..... DA  NU
- **sarcina și alăptarea**  DA  NU

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

### 1. Perioada de administrare a terapiei:

Data inițierii:  până la:

### 2. Evoluția manifestărilor clinice sub tratament:

#### a) Somatometrie:

1. talia ..... cm/SDS .....
2. greutatea ..... kg/IMC .....
- evoluție:** - staționar
- creștere ponderală
- scădere ponderală

#### b) Organomegalia:

1. splenectomie:

DA  NU  
 DA  NU

dacă NU:

2. volumul splenic (cmc ..... mN<sup>3</sup>.....)

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

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

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

#### c) Citopenie:

DA  NU

1. Hb.....g/dl

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

2. Trombocite...../mmc

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

3. Neutrofile...../mmc

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

**d) Boală osoasă**

DA  NU

1. clinic (in ultimele 6 luni):

- |                       |                          |                               |                          |
|-----------------------|--------------------------|-------------------------------|--------------------------|
| - dureri              | <input type="checkbox"/> | <b>evoluție:</b> - staționară | <input type="checkbox"/> |
| - crize osoase        | <input type="checkbox"/> | - ameliorare                  | <input type="checkbox"/> |
| - fracturi patologice | <input type="checkbox"/> | - normalizare                 | <input type="checkbox"/> |
|                       |                          | - agravare                    | <input type="checkbox"/> |

2. IRM femur bilateral (se efectueaza la 12-24 luni):

- |                       |                          |                               |                          |
|-----------------------|--------------------------|-------------------------------|--------------------------|
| - infiltrare medulară | <input type="checkbox"/> | <b>evoluție:</b> - staționară | <input type="checkbox"/> |
| - leziuni litice      | <input type="checkbox"/> | - ameliorare                  | <input type="checkbox"/> |
| - infarcte osoase     | <input type="checkbox"/> | - normalizare                 | <input type="checkbox"/> |
| - necroză avasculară  | <input type="checkbox"/> | - agravare                    | <input type="checkbox"/> |

3. Osteodensitometrie (L1-L4 si sold bilateral); se efectueaza la 12 luni interval:

- osteopenie  DA  NU  
- osteoporoza  DA  NU

**3. Efecte adverse:**

- absente  DA  NU  
- prezente (enumerare):  DA  NU

.....  
.....

**4. Comorbidații importante pentru evoluția pacientului:**

DA  NU

.....

### C. CRITERII DE ÎNTRERUPERE A TRATAMENTULUI

1. Lipsa de complianță a pacientului
2. Efecte adverse severe: sincopa (excepțională, de altfel, în experiența raportată la acești pacienți în absența unor factori de risc predispozanți); se indica tratament de substituție enzimatică
3. Decesul pacientului
4. Alte cauze: - hipersensibilitate la substanța activă sau la oricare dintre excipienți   
- comorbidități sau medicație incompatibile cu tratamentul cu Eliglustat (conform protocolului DCI Eliglustat)   
- sarcina și alăptarea

În aceste situații se va indica tratament de substituție enzimatică.

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.