

**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: . . . . .

\* Nu se completează dacă la "tip evaluare" este bifat "întrerupere"!

11. Data întreruperii tratamentului: . . . . .

12. Pacientul a semnat declarația pe propria răspundere conform modelului prevăzut în Ordin:

DA  NU

**SECȚIUNEA II**

**DATE MEDICALE**

**A. CRITERII DE INCLUDERE ÎN TRATAMENT**

1. Diagnostic: Boala Gaucher tip1  DA  NU

1 valoare scăzută a B glucocerebrozidazei < 15-20% din valoarea martorilor  
- diagnostic specific:

a) enzimaticl . . . . . data . . . . .  DA  NU

b) molecular2 . . . . . data . . . . .  DA  NU

2 prezența unor mutații specifice bolii, în stare de homozigot sau heterozigot compus la nivelul genei B glucocerebrozidazei (localizată 1q21)

2. Pacientul a urmat tratament anterior cu Imiglicerasum 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. . . . .)

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

3) volumul hepatic (cmc . . . . . mN. . . . .)

multiplu vs normal (raportare la valoarea normală; valoarea normală = [Gr. pacientului (gr)x2,5]/100

c) Citopenie severă:  DA  NU

1) Hb . . . . .g/dl . . . . . < 10 g/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

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. . . . .)

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

3) volumul hepatic (cmc . . . . . mN. . . . .)

multiplu vs normal (raportare la valoarea normală; valoarea normală = [Gr. pacientului (gr)x2,5]/100

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 toata 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. . . . .)

evoluție:

- agravare

- ameliorare

- staționară

- normalizare

3) volumul hepatic (cmc . . . . . mN. . . . .)

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):

- evoluție:
- agravare
  - infiltrare medulară
  - 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.