

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

- *Rahitism hipofosfatic X-linkat* -

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)

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"

I. CRITERII DE INCLUDERE ÎN TRATAMENT (punctele 1-6 trebuie îndeplinite concomitent):

1. Copii cu vârsta de minim 1 an/ Adolescenți al căror schelet este încă în creștere*: DA NU

2. Care îndeplinesc următoarele criterii din protocolul terapeutic:

■ criterii clinice de diagnostic RHF (*rahitism hipofosfatic X-linkat*, Anexa 1): DA NU

■ criterii biologice de diagnostic RHF (Anexa 2): DA NU

■ criterii radiologice de diagnostic RHF (Anexa 3): DA NU

*Notă: - "schelet încă în creștere" este definit ca
viteza de creștere de minim 2 cm/an și/sau
- vârsta osoasă de maxim 14 ani la sexul feminin
- vârsta osoasă de maxim 16 ani la sexul masculin*

3. a. **Istoric familial de RHF X-linkat:** DA NU
și/sau

b. **Confirmare genetică (identificarea mutațiilor genei PHEX):** DA NU
și/sau

c. **Dacă analiza moleculară nu este disponibilă: valoare crescută a FGF23 (factorul 23 de creștere a fibroblaștilor) concomitent cu excluderea altor cauze dobândite de hipofosfaticie (ex. urină)**

DA NU

4. **Răspunsul nesatisfăcător la terapia convențională** (analogi activi de vitamina D și suplimentare cu săruri de fosfor), definit ca (*alternativ sau concomitent*): DA NU

- a) - Viteză de creștere staturală < -2 DS/an pentru vârstă și sex sau
- viteză de creștere < 4 cm/an la copiii cu vârste între 4-8 ani după un an de terapie convențională sau
- menținerea unei viteze de creștere similare cu cea pretratament după un an de terapie convențională

și/sau

b) Persistența modificărilor radiologice de rahitism – definită ca persistența unui RSS de minim 2 după un an de terapie convențională (anexa 3)

și/sau

c) Necesitatea corecției chirurgicale a deformărilor membrelor inferioare
și/sau

d) Hiperparatiroidismul secundar persistent concomitent cu valori persistent crescute ale fosfatazei alcaline (la minim două evaluări biologice succesive la interval de 6 luni)

Sau

4') **Intoleranța/reacțiile adverse ale terapiei convenționale:** DA NU

- Simptomatologie digestivă (dureri abdominale, greață, vărsături) și/sau
- Apariția nefrocalcinozei

Sau

4') Lipsa de aderență la terapia convențională în condițiile asigurării unei monitorizări adecvate:

DA NU

5. Valori ale fosfatemiei sub limitele normale pentru vârstă la momentul initerii terapiei: DA NU

6. Declarație de consimțământ pentru tratament semnată de pacient/apartinători: DA NU

II. PARAMETRII DE EVALUARE MINIMĂ ȘI OBLIGATORIE PENTRU INIȚIEREA TRATAMENTULUI CU BUROSUMAB

NOTĂ: * evaluări nu mai vechi de 1 săptămână,

** evaluări nu mai vechi de 3 luni

1. ** a. criterii antropometrice: - greutate
- înălțime

- talie șezândă sau raport vertex-pube/pube-sol

- perimetru cranian

- formă particulară a capului

b. semne clinice de rahitism (*genu varum/genu valgum etc*)
c. măsurarea distanței (cf.ref. bibliografice): - intercondilare în genu varum
- intermaleolare în genu valgum
d. evaluare clinică generală (inclusiv tensiunea arterială)

NOTĂ: standardele antropometrice recomandate pentru înălțime sunt curbele sintetice pentru România (Pascanu I și colab).

2. Scorul de severitate a rahitismului (RSS - calculat pe baza următoarelor radiografii, conform anexei 3):

- ** radiografie pumn comparativ și
- ** radiografie membre inferioare (ortoleg: bazin, femur, genunchi, gambă, gleznă)

3. Probe sangvine* (investigații efectuate a jeun sau la minim 4 ore de la ultima masă - *se vor nota și valorile normale ale laboratorului*)

Calcemie =

Albuminemie =

Fosfatemie =

fosfatază alcalină =

4. Probe urinare*

Calciurie =

Fosfaturie =

Creatinină =



în urina pe 24 ore= la copii > 3 ani

respectiv

calciu =
fosfor =
creatinină =



în spotul de urină la copii < 3 ani

5. Investigații hormonale (în cazuri selecționate); *se vor nota și valorile normale ale laboratorului*

PTH =

25 OH vitamina D =

1,25 (OH)₂ vitamina D =

7. Dovezi ale etiologiei genetice X-linkate (*documente anexate*)

- Mutație genă PHEX documentată
- sau
- Valori crescute ale FGF23 concomitent cu excluderea altor cauze de hipofosfatemie

III. PARAMETRII DE MONITORIZARE

III.1. CLINICI (la 6 luni)

Data.....

- a. Date antropometrice: - greutate
- înălțime
- talie șezândă sau raport vertex-pube/pube-sol
- perimetru cranian
- formă particulară a capului
- b. semne clinice de rahitism (*genu varum/genu valgum etc*)
- c. măsurarea distanței (cf.ref. bibliografice): - intercondilare în genu varum
- intermaleolare în genu valgum
- d. evaluare clinică generală (inclusiv tensiunea arterială)

III.2. BIOLOGICI ȘI EXPLORĂRI COMPLEMENTARE

	Data/valoarea	Data/valoarea	Data/valoarea
Fosfatemia <i>la 14 zile după inițiere și la fiecare modificare a dozei; la 4 săptămâni în lunile 2-3 de tratament; la interval de 3 luni după atingerea unor doze constante de burosumab (doze nemodificate timp de 3 luni succesive)</i>			

Calcemie <i>La 3 luni</i>			
Calciurie Fosfaturie creatinină urinară RFG (urina pe 24 ore) raport calciu/creatinină în spotul de urină <i>la 3 luni</i>			
Fosfatază alcalină <i>La 3 luni</i>			
PTH <i>La 3 luni</i>			
1,25 (OH)₂ D <i>La 6 luni</i>			
25OHD <i>Anual</i>			
Radiografie pumn comparativ și radiografie membre inferioare (ortoleg sau radiografie genunchi) <i>Anual</i>			
Ecografie renală <i>În primul an de tratament și anual</i>			
Consult stomatologic <i>În primul an de tratament și anual</i>			
Consult ortopedic <i>În primul an de tratament și anual</i>			

Altele (la nevoie, rezultate atașate)

- Ecografie cardiacă -
- Examen FO și RMN cerebral –
- Examen ORL, audiograma -

IV. CRITERII DE EXCLUDERE DIN TRATAMENT

- Vârsta osoasă 14 ani la fete și 15,5 ani la băieți sau
- Viteza de creștere sub 2 cm pe an sau
- Refuzul părinților, al susținătorilor legali sau al copilului peste 12 ani sau
- Complanță inadecvată sau
- Apariția de reacții adverse grave sau
- Contraindicații ale tratamentului – pe parcursul terapiei

V. CRITERII DE CONTINUARE A TRATAMENTULUI

1. Menținerea consimțământului și a complianței la tratament a pacientului: DA NU

2. Starea clinică a pacientului permite continuarea administrării terapiei în condiții de siguranță:

DA NU

- vezi criteriile clinice de evaluare și monitorizare a tratamentului, cf. protocolului terapeutic

3. Probele biologice permit continuarea administrării terapiei în condiții de siguranță: DA NU

- vezi criteriile paraclinice și explorările complementare, cf. protocolului terapeutic

4. Criterii de apreciere a eficienței terapiei (în cursul primului an de terapie):

- îmbunătățirea vitezei de creștere staturală (cu minim 2 cm/an): DA NU

- Normalizarea valorilor fosfatemiei: DA NU

- Normalizarea valorilor fosfatazei alcaline: DA NU

- Îmbunătățirea scorului radiologic pt.rahitism la 40 / 64 săptămâni: DA NU

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.