

**FORMULAR PENTRU VERIFICAREA RESPECTĂRII CRITERIILOR DE ELIGIBILITATE
AFERENTE PROTOCOLULUI TERAPEUTIC PENTRU DCI: CERLIPONASUM 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)

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: **ceroidlipofuscinoză neuronală de tip 2 (CLN2)** denumită și **deficit de tripeptidil peptidază-1 (TPP1)**, boală de stocare lizozomală (LSD), confirmat în urma evaluării activității enzimei TPP1:

- diagnostic specific:

a) enzimatic¹ data DA NU

b) molecular²data DA NU

2. Evaluarea clinică a pacientului cf. *Scalei de evaluare clinică a CLN2*, din protocolul terapeutic, cu obținerea următoarelor informații: DA NU

- scorul funcției motorii și

- scorul funcției de limbaj

3. Consimțământul scris al părintelui sau tutorelui legal și acordul acestuia, dacă este cazul: DA NU

4. Părintele sau aparținătorul legal au capacitatea de a respecta cerințele protocolului, în opinia medicului curant: DA NU

5. Respectarea recomandărilor privind administrarea perfuziei intracerebroventriculare, conform protocolului terapeutic: DA NU

6. Vârsta pacientului:

B. CRITERII DE CONTINUARE A TRATAMENTULUI

a. Monitorizarea periodică a stării clinice, cf. protocolului terapeutic: DA NU

b. Calcularea beneficiilor și riscurilor pentru fiecare pacient, decizia de continuare a tratamentului aparținând medicului: DA NU

- Starea clinică a pacientului permite administrarea terapiei în condiții de siguranță:

DA NU

- Probele biologice permit continuarea administrării terapiei în condiții de siguranță:

DA NU

c. Perioada de administrare a terapiei de substituție enzimatică:

Data inițierii:

până la:

¹ valoare serologică redusă a tripeptidil peptidazei-1/alterare calitativă a enzimei

² prezența unor mutații specifice bolii la nivelul genei TPP1 de pe cromozomul 11, în stare homozigotă sau heterozigotă compusă

- d. Efecte adverse ale terapiei:
(raportate prin intermediul sistemului național de raportare)

C. CRITERII DE EXCLUDERE DIN TRATAMENT

- a) Pacientul are o altă boală neurologică moștenită (de exemplu alte forme de LCN sau convulsii fără legătură cu LCN2): DA NU
- b) Pacientul are o altă boală neurologică care poate fi cauza declinului cognitiv (de exemplu, traume, meningită, hemoragie):..... DA NU
- c) Necesită suport de ventilație, cu excepția suportului neinvaziv noaptea: DA NU
- d) Are contraindicații pentru neurochirurgie (de exemplu boli cardiace congenitale, insuficiență respiratorie severă sau anomalii de coagulare):..... DA NU
- e) Are contraindicații pentru RMN (de exemplu stimulator cardiac, fragment de metal sau cip în ochi, anevrism în creier): DA NU
- f) Pacientul are infecții severe (de exemplu, pneumonie, pielonefrită sau meningită), administrarea tratamentului poate fi amânată:..... DA NU
- g) Pacientul este predispus la complicații după administrarea de medicamente intraventriculare, inclusiv la pacienții cu hidrocefalie sau șunturi ventriculare: DA NU
- h) Are hipersensibilitate la oricare dintre componentele Cerliponasum alfa: DA NU
- i) Are o afecțiune medicală sau o circumstanță care, în opinia medicului curant, ar putea compromite capacitatea subiectului de a respecta protocolul terapeutic: DA NU
- j) Refuzul pacientului sau reprezentantului legal de a primi tratamentul cu Cerliponasum alfa: DA NU

D. CRITERII DE ÎNTRERUPERE A TRATAMENTULUI

1. Reacții alergice care pot pune viața în pericol, la cerliponază alfa sau la oricare dintre celelalte componente ale acestui medicament, iar reacțiile continuă să apară atunci când se administrează din nou cerliponază alfa.
2. Pacientul dezvoltă **hidrocefalie care necesită drenaj** (dispozitiv implantat pentru drenarea lichidului acumulat în exces în ventriculii cerebrali).
3. Pacientul prezintă la momentul administrării semne ale unei infecții asociate cu dispozitivul sau probleme cu dispozitivul. Se poate decide continuarea tratamentului după rezolvarea infecției sau problemelor asociate cu dispozitivul:
4. Pacientul asociază pe parcursul tratamentului o **afecțiune progresivă**, cu speranță de viață limitată, cancer sau scleroză multiplă, unde tratamentul cu cerliponază alfa nu ar aduce beneficii pe termen lung.

5. Pacienți **noncomplianți** (nu se prezintă la 2 evaluări programate într-un interval de 1 an, excluzând motivele medicale care au dus la omiterea tratamentului)
6. Pacienți cu **tratament nou inițiat** care pierd mai mult de 2 puncte (**3** puncte sau mai mult) pe scala de evaluare clinică față de scorul de bază în primele 12 luni de la inițierea tratamentului și au un scor total mai mic de 2 puncte.
- * în cazul unei afecțiuni medicale temporare asociate, pacientul trebuie retestat de 2 ori într-un interval de 12 săptămâni pentru a se asigura că declinul nu este datorat acestei afecțiuni.
7. Pacienți **aflați în tratament de cel puțin 12 luni** care pierd mai mult de 1 punct (**2** puncte sau mai mult) pe scala de evaluare clinică față de scorul de bază în primele 12 luni de la inițierea tratamentului și au un scor total mai mic de 2
- * în cazul unei afecțiuni medicale temporare asociate, pacientul trebuie retestat de 2 ori într-un interval de 12 săptămâni pentru a se asigura că declinul nu este datorat acestei afecțiuni.
8. Pacienți care progresează către un scor 0 (zero) și rămân la acest scor.
- * în cazul unei afecțiuni medicale temporare asociate, pacientul trebuie retestat de 2 ori într-un interval de 12 săptămâni pentru a se asigura că declinul nu este datorat acestei afecțiuni

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.