

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

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 doză de 3 x (1 capsulă 100 mg)/zi 2x (1 capsula 100 mg)/zi 1 x (1 capsula 100 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

DA NU

- diagnostic specific:

a) enzimatic * data

DA NU

b) molecular **data

DA NU

2. Forma de severitate a bolii ***: ușoară medie

3. Vârsta \geq 18 ani: DA NU

4. Bolnavi care:

Nu pot fi supuși terapiei de substituție enzimatică, cauza:.....

5. Criterii de evaluare:

Somatometrie:

1) talia cm/SDS

2) greutatea kg/IMC

a. Creștere viscerală:

DA NU

1) splenectomie:

DA NU

dacă NU:

2) volumul splenic (cmc MN¹.....)

- splenomegalie: ușoară moderată severă

3) volumul hepatic (cmc MN².....)

- hepatomegalie: ușoară moderată severă

NOTĂ: ¹ multiplu vs normal (raportare la valoarea normală; valoarea normală a splinei = [Gr. pacientului (gr.) x 0,2] / 100

² multiplu vs normal (raportare la valoarea normală; valoarea normală a ficatului = [Gr. pacientului (gr.) x 2,5] / 100

b. Citopenie:

DA NU

1) Hb.....g/dl (anemie datorată bolii Gaucher?)

- anemie: ușoară moderată severă

2) trombocite...../mmc

- trombocitopenie: ușoară moderată severă

* valoarea scăzută a β glucocerebrozidazei sub 15-20% din valoarea martorilor

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

*** se stabilește în funcție de criteriile menționate în protocol.

- c. **Boală osoasă** ușoară sau moderată definită prin: DA NU
- a) clinic: dureri osoase (dacă se exclud alte cauze): DA NU
- b) modificări specifice la RMN osos: infiltrare medulară, +/- leziuni osteolitice DA NU
- c) scăderea densității minerale osoase: osteopenie, osteoporoză: ABSENTĂ PREZENTĂ

.....

(precizați elementele prezente la pacient)

B. CRITERII DE EXCLUDERE DIN TRATAMENT

1. Hipersensibilitate la substanța activă sau la oricare dintre excipienți: DA NU
2. Insuficiență renală severă: DA NU
3. Insuficiență hepatică: DA NU
4. 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) taliacm/SDS

2) greutateakg/IMC

evoluție: - staționar

- creștere ponderală

- scădere ponderală

b) Organomegalia: DA NU

1) splenectomie: DA NU

dacă NU:

2) volumul splenic (cmc MN*)

evoluție: - staționară

- ameliorare

- normalizare

- agravare

3) volumul hepatic (cmc MN**)

evoluție: - staționară

- ameliorare

- normalizare

- agravare

NOTĂ: * a se vedea la pct. A 5: criterii de evaluare, creștere viscerală

**idem*

c) **Citopenie:** DA NU

1) Hb.....g/dl

evoluție: - staționară

- ameliorare

- normalizare

- agravare

2) trombocite...../mmc

evoluție: - staționară

- ameliorare

- normalizare

- agravare

d) **Boală osoasă:** DA NU

1) clinic (în ultimele 6 luni): - dureri: DA NU

evoluție: - staționară

- ameliorare

- normalizare

- agravare

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

- infiltrare medulară

- leziuni litice

evoluție: - staționară

- ameliorare

- agravare

apariția de:

- infarcte osoase

- necroză avasculară

3) Osteodensitometrie (L1-L4 și șold bilateral); se efectuează la 12 luni interval:

- osteopenie: DA NU

- osteoporoză: DA NU

3. Efecte adverse:

- absente: DA NU

- prezente (enumerare): DA NU

(enumerare).....

4. Comorbidități importante pentru evoluția pacientului: DA NU

.....

D. CRITERII DE ÎNTRERUPERE A TRATAMENTULUI

1. Efecte adverse care împiedică pacientul să își continue tratamentul: tremor, diaree, dureri abdominale, flatulență, scădere ponderală
2. Evoluție nefavorabilă a bolii sub tratament
3. Lipsa de complianță a pacientului
4. Sarcina și alăptarea survenite după inițierea tratamentului
5. Alte cauze:.....
6. Decesul pacientului:

NOTĂ: în situația întreruperii tratamentului cu Miglustat se va avea în vedere tratamentul cu Eliglustat.

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.