

Cod formular specific: A16AA04

Anexa nr. 12

**FORMULAR PENTRU VERIFICAREA RESPECTĂRII CRITERIILOR DE ELIGIBILITATE
AFERENTE PROTOCOLULUI TERAPEUTIC DCI CISTEAMINĂ (MERCAPTAMINĂ
BITARTRAT)**

- cistinoză nefropatică confirmată –

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"!

SECȚIUNEA II - DATE MEDICALE¹*Cod formular specific A16AA04*

INDICAȚII: *Cisteamina (Mercaptamină bitartrat) indicată în tratamentul cistinozei nefropatice, boală genetică de stocare lizozomală cauzată de o mutație a genei CTNS.*

A. CRITERII DE INCLUDERE ÎN TRATAMENT

- Declarația de consimțământ pentru tratament semnată de pacient sau de aparținători;

COPIL**1. Diagnostic clinic de cistinoză nefropatică:**

- a. deficit de creștere (înălțime mică față de vârsta biologică):.....cm
- b. deficit de nutriție: - măsurarea pliului cutanat
- apetit capricios (preferință pentru mâncare sărată, condimentată, fierbinte, pentru anumite alimente)
- c. simptomatologie:
 - simptome renale (sindrom Fanconi): poliurie, polidipsie, deshidratare
 - simptome extrarenale: păr blond deschis/brunet, ochi albaștri, hepatosplenomegalie, hipotiroidism, miopatie, diabet zaharat insulino-dependent, rahitism, afectare gastro-intestinală
- d. evaluarea dezvoltării pubertare la pacient cu vârsta > 10 ani (niveluri scăzute ale testosteronului la băieți, pubertate întârziată)
- e. examinare oftalmologică: fotofobie, lăcrimare excesivă, blefarospasm, depigmentări retiniene, orbire
- f. evaluarea statusului neurocognitiv:.....

2. Diagnostic paraclinic:

- a. Ex. serologic: valori crescute ale cistinei leucocitare:..... nmol cistină/mg proteină
- b. analize de biochimie din sânge (dozare glucoză, bicarbonați, fosfați, acid uric, potasiu, sodiu, proteine în sânge)
- c. evaluarea funcției renale (dozare glucoză, bicarbonați, fosfați, acid uric, potasiu, sodiu, proteine în urină)
- d. evaluarea funcției tiroidiene
- e. evaluarea toleranței la glucoză

3. Diagnostic genetic: mutație a genei CTNS cu scăderea marcată a cistinozei**4. Examen histopatologic la nivel renal: leziuni ale tubilor contorți proximali, leziuni ale podocitelor, prezența cristalelor de cistină în celulele interstițiale și podocitare.**

¹ Se încercuiesc criteriile care corespund situației clinico-biologice a pacientului la momentul completării formularului

ADULT**1. Diagnostic clinic de cistinoză nefropatică:**

- a. deficit de creștere (talie = 124-136 cm):.....cm
- b. deficit de nutriție:.....
- c. simptomatologie: poliurie, polidipsie, deshidratare, rahitism
- d. examinare oftalmologică: fotofobie, lăcrimare excesivă, blefarospasm, depigmentări retiniene, orbire
- e. evaluarea statusului neurocognitiv (afectări ale SNC după vârsta de 20 de ani): calcificări, atrofie cerebrală, dificultăți de mers, dificultăți de înghițire, pierdere progresivă a vorbirii, diminuarea funcțiilor intelectuale

2. Diagnostic paraclinic:

- a. măsurarea valorilor cistinei leucocitare
- b. analize de biochimie din sânge (evaluarea toleranței la glucoză)
- c. evaluarea funcției renale
- d. evaluarea endocrinologică (tiroidă, pancreas, gonade)
- e. examinare neurologică/musculară
- f. evaluarea funcției pulmonare (spirometrie)

B. CRITERII DE CONTINUARE A TRATAMENTULUI**COPIL+ADULT**

1. Statusul bolii la data evaluării – demonstrează beneficiu terapeutic:
2. Starea clinică a pacientului permite continuarea tratamentului
3. Probele biologice permit continuarea tratamentului în condiții de siguranță
4. Monitorizare bolnavi:

COPIL		ADULT	
Creștere		Examinare oftalmologică	
Nutriție		Măsurarea valorilor cistinei leucocitare și ajustarea dozelor de tratament	
Analize biochimie sânge		Analize biochimie sânge	
Evaluarea funcției renale		Evaluarea funcției renale	
Evaluarea funcției tiroidiene		Evaluare endocrinologică (tiroidă, pancreas, gonade)	
Evaluarea toleranței la glucoză		Examinare neurologică	
Evaluarea dezvoltării pubertare		Examinare musculară	
Măsurarea valorilor cistinei leucocitare și ajustarea dozelor de		Evaluarea funcției pulmonare (spirometrie)	

tratament			
Examinare oftalmologică		Pacienții cu transplant renal trebuie urmăriți de nefrolog	
Status neorocognitiv		Consiliere cu privire la problemele sociale și ocupaționale	

C. CRITERII DE EXCLUDERE DIN TRATAMENT

1. În cazul unei deteriorări clinice semnificative, trebuie avută în vedere evaluarea clinică suplimentară sau întreruperea tratamentului cu CISTEAMINĂ SUB FORMĂ DE MERCAPTAMINĂ BITARTRAT.
2. Eventuale efecte adverse severe ale terapiei: dispnee, tahicardie, dureri precordiale, angioedem sau șoc anafilactic.
3. Sindrom tip Ehlers-Danlos cu afectare tegumentară, de exemplu decolorarea pielii.
4. Colonopatie fibrozantă: modificări în obiceiurile intestinale obișnuite sau alte semne/simptome sugestive pentru colonopatie fibrozantă.
5. Encefalopatie manifestată prin letargie, somnolență, depresie, convulsii
6. Teratogenicitate: dacă pacienta intenționează să rămână gravidă sau rămâne gravidă, se recomandă întreruperea pe perioada sarcinii și alăptării, după consultarea în prealabil a medicului curant și obstetrician.
7. Neprezentarea pacientului la evaluările periodice programate de monitorizare a evoluției.

D. CRITERII DE ÎNTRERUPERE TEMPORARĂ A TRATAMENTULUI

- a) Toleranță scăzută la medicament
- b) Creșterea incidenței reacțiilor adverse
- c) Decizia medicului, cauza fiind.....
- d) Dorința pacientului de a întrerupe tratamentul, cauza fiind.....

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.