

INDICAȚII: Lumacaftor/Ivacaftor este indicat pentru tratamentul pacienților cu fibroză chistică (FC), cu vârsta de 1 an și peste cu genotip homozigot pentru mutația F508del la nivelul genei CFTR.

I. CRITERII DE INCLUDERE ÎN TRATAMENT

1. Consimțământ informat: tratamentul va fi început numai după ce pacienții sau părinții, respectiv tutorii legali ai acestora au semnat consimțământul informat privind administrarea medicamentului, acceptarea criteriilor de includere, de excludere și de oprire a tratamentului, precum și acceptul de a se prezenta periodic la evaluările recomandate.

2. Pacienți diagnosticați cu fibroză chistică având genotip homozigot pentru mutația F508 prin test genetic.

3. Testul sudorii la începerea tratamentului (nu este obligatoriu).

4. Vârsta de 1 an și peste.

II. CRITERII DE EXCLUDERE DIN TRATAMENT

1. Vârsta sub 1 an.

2. Pacienți cu fibroză chistică și genotip heterozigot F508.

3. Refuzul semnării consimțământului informat privind administrarea medicamentului, a criteriilor de includere, excludere, respectiv de oprire a tratamentului precum și acceptul de a se prezenta periodic la evaluările recomandate.

4. Pacienții cu intoleranță la galactoză, cu deficit total de lactază sau cei cu sindrom de malabsorbție la glucoză-galactoză (pentru componenta de ivacaftor).

III. CRITERII DE CONTINUARE A TRATAMENTULUI

1. Menținerea consimțământului și a complianței la tratament a pacientului.

2. Starea clinică a pacientului permite administrarea terapiei în condiții de siguranță.

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

IV. CRITERII DE OPRIRE A TRATAMENTULUI

1. Efecte adverse respiratorii severe (bronhospasm, dispnee, scăderea marcată a FEV1 față de valoarea inițială).

2. Pacient necompliant la evaluările periodice.

3. Renunțarea la tratament din partea pacientului.

4. Întreruperea din cauza reacțiilor adverse (altele decât cele respiratorii).

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

5. Creșteri semnificative ale transaminazelor (de exemplu, pacienții cu ALT sau AST ce cresc de mai mult de 5 ori peste limita superioară a normalului [LSN] sau ALT ori AST ce cresc de mai mult de 3 ori peste LSN și sunt asociate cu bilirubină ce crește de mai mult de 2 ori peste LSN). În aceste cazuri, administrarea dozelor trebuie întreruptă până la normalizarea valorilor paraclinice observate. Ulterior, va fi evaluat raportul între beneficiile expectate și riscurile posibile ale reluării tratamentului și se vor lua decizii conforme cu acest raport risc/beneficiu.

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.