

FORMULAR PENTRU VERIFICAREA RESPECTĂRII CRITERIILOR DE  
ELIGIBILITATE AFERENTE PROTOCOLULUI TERAPEUTIC DCI IDEBENONUM

Indicația - Neuropatia Optica Ereditara Leber

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: C2 secțiunea P6 "Programul National de Diagnostic si Tratament pentru boli Rare si Sepsis Sever", sub programul P6.23 "Neuropatia Optica Ereditara Leber" din data de 5.05.2017.
9. DCI recomandat: 1) ..... DC (după caz)
10. \*)Perioada de administrare a tratamentului:  12 luni  18 luni  24 luni,----- \*) Nu se completează dacă la "tip evaluare" este bifat "întrerupere"! de la: [ ][ ][ ][ ][ ][ ][ ][ ][ ][ ][ ][ ][ ][ ][ ][ ][ ]
11. Data întreruperii tratamentului: [ ][ ][ ][ ][ ][ ]
12. Pacientul a semnat declarația pe propria răspundere conform modelului prevăzut în Ordin:  
 DA  NU

SECȚIUNEA II - DATE MEDICALE

A. CRITERII DE INCLUDERE ÎN TRATAMENT

1. Semne si simptome caracteristice maladiei Leber – Aparitia nedureroasa, in general subacuta/acuta a scaderii acuitatii vizuale la nivel central, materializat prin prezenta unui scotom central/centrocecal, unilateral (25% dintre pacienti), cu afectarea celuilalt ochi intr-un interval de 8-12 saptamani. Scaderea acuitatii vizuale sub logMAR 1.0 (ETDRS), in primele 12 luni de la debutul clinic (la 90% dintre pacienti). Alterarea percepției culorilor (discromatopsie), in special pe axa rosu-verde.
2. Identificarea unei mutatii genetice punctuale, majore, la nivelul ADN-ului mitocondrial (testare genetica pozitiva): in 90% din cazuri mutatiile 11778G>A, 3460G>A, 14484T>C, respectiv, alte mutatii minore, in 10% din cazuri la nivelul ADN-ului mitocondrial (standardul de aur in diagnosticul LHON).
3. Debutul simptomatologiei sub 36-60 luni
4. Lipsa de răspuns la tratamentul cu glucocorticoizi după 15-30 zile de tratament.

B. CRITERII DE EXCLUDERE DIN TRATAMENT

1. Pacientii la care debutul simptomatologiei a fost in urma cu mai mult de 60 luni.
2. Pacientii care sufera de alte neuropatii sau afectiuni oculare degenerative care determina scaderea severa a acuitatii vizuale: nevrita optica, atrofia optica dominanta, neuropatie toxica sau nutritionala, glaucom.

C. CRITERII DE CONTINUARE A TRATAMENTULUI

1. Raspunsul cel mai precoce la terapie se poate observa la cel putin 3 luni, dar este foarte putin probabil sa se intample. La majoritatea pacientilor s-a observat cel mai frecvent un raspuns terapeutic intre 6 si 15 luni, in conditiile de monitorizare periodica la 6 luni. Asadar se poate vorbi de un compromis realizat in jurul perioadei de 12 luni a respondentilor la tratament. Daca exista un raspuns in aceasta perioada, tratamentul trebuie continuat pana la 18luni, cand se face o noua evaluare. Daca pacientul s-a stabilizat si este intr-o stare de platou de la evaluarea anterioara, se opreste tratamentul, dar daca continua sa obtina rezultate in termeni de recuperare a acuitatii vizuale la aceasta evaluare se continua tratamentul inca 6 luni, fara a se depasi insa perioada de 24 luni.

#### D. CRITERII DE ÎNTRERUPERE A TRATAMENTULUI

1. Absența beneficiului clinic - Dacă nu există nici un răspuns în primele 12 luni de la debutul terapiei, pacientul poate fi declarat non respondent în termeni de recuperare a acuității vizuale, iar tratamentul ar trebui întrerupt.
2. Stabilizarea acuității vizuale, sub forma unui platou, fără continuarea obținerii de rezultate în termeni de recuperare a acuității vizuale pe o perioadă de 6 luni (interval între două evaluări), tratamentul trebuie oprit.
3. Manifestarea unei hipersensibilități la idebenona sau la oricare dintre excipienți.

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. +