

(ตัวอย่าง) แบบฟอร์มกำกับการใช้ยา imiglucerase

ข้อบ่งใช้ Gaucher disease Type 1

(รายละเอียดการใช้ยาโปรดอ้างอิงจากแนวทางกำกับการใช้ยา)

กรณีขออนุมัติการใช้ยาเป็นครั้งแรกอนุมัติยา 3 เดือน (ยา 6-7 ครั้ง)

วันเดือนปีที่ส่งข้อมูล...../...../25.....

ส่วนที่ 1 ข้อมูลผู้ป่วย

1. ชื่อ.....สกุล..... 2. เพศ O ชาย O หญิง
3. HN..... 4. AN..... 5. รหัสโรงพยาบาล.....
6. เลขที่ประจำตัวประชาชน ☐ ☐ ☐ ☐ ☐ ☐ ☐ ☐ 7. วันเดือนปีเกิด/...../.....
8. สิทธิการรักษา O สปสช. O ประกันสังคม Oสวัสดิการข้าราชการ O อื่นๆ.....
9. น้ำหนักตัว กิโลกรัม 12. ส่วนสูง เซนติเมตร
13. ชื่อ-นามสกุลผู้ปกครอง/ญาติ.....ความสัมพันธ์.....

ส่วนที่ 2 ข้อมูลประกอบอนุมัติและข้อมูลการใช้ยา

1. การลงทะเบียนผู้ป่วยและเซ็นรับทราบ

1.1 ลงทะเบียนผู้ป่วยแล้วโดยแพทย์ผู้เชี่ยวชาญโลหิตวิทยาและเวชพันธุศาสตร์ทั้งสองท่านต่อผู้ป่วย 1 ราย

นพ./พญ. สาขาโลหิตวิทยา O กุมารแพทย์ O อายุรแพทย์

นพ./พญ. สาขาเวชพันธุศาสตร์ O กุมารแพทย์ O อายุรแพทย์

1.2 ผู้ป่วยลงนามรับทราบแล้วว่าต้องมารับการรักษาต่อเนื่องด้วยยาและการปลูกถ่ายไขกระดูกตามที่แพทย์นัด

ระบุชื่อสถานพยาบาล..... O ลงนาม O ไม่ลงนาม

2. ได้รับการวินิจฉัยโรค Gaucher's disease Type 1 และเข้าเกณฑ์ได้รับอนุมัติยารักษาดังนี้ (ต้องครบทุกข้อ)

2.1 ได้รับการตรวจยืนยันทางห้องปฏิบัติการด้วยวิธีใดวิธีหนึ่งต่อไปนี้

☐ Enzyme analysis แล้วพบว่าเอนไซม์ glucocerebrosidase มีการทำงานที่ลดลงในระดับที่เข้าข่ายการเป็นโรค ระบุ หรือแนบรายงานผลตรวจ

หรือ ☐ พบการกลายพันธุ์ก่อโรคของยีน GBA1 ระบุ หรือแนบรายงานผลตรวจ

2.2 มีภาวะอย่างน้อย 2 อย่าง ในข้อต่อไปนี้ (กาเครื่องหมายทุกช่องที่เข้าได้)

	วันที่ตรวจพบอาการ	เกณฑ์บ่งชี้การรักษา (Indication for therapy)
☐	/...../25.....	เลือดจาง Hbg/dL (<85% ของ lower limit ของค่าปกติ)
☐	/...../25...../...../25.....	เลือดออกผิดปกติ โดยมี O เกล็ดเลือดต่ำ Plt...../mm ³ (<50,000 ไม่มีสาเหตุอื่น) O spontaneous bleeding

	วันที่ตรวจพบอาการ	เกณฑ์บ่งชี้การรักษา (Indication for therapy)
☐	/...../25....	แสดงอาการรุนแรงที่เกิดจาก splenic infarct
☐	/...../25....	Huge splenomegaly (ขอบล่างของม้ามลงมาถึงขอบบนของ iliac crest หรือ ขอบด้านในข้าม midline)
☐	/...../25....	○ acute bone crisis ได้แก่ ปวดกระดูกรุนแรงร่วมกับมีไข้และเม็ดเลือดขาวเพิ่มสูงขึ้น โดยเฉพาะเชื้อจากเลือดไม่ขึ้น
	/...../25....	○ avascular necrosis ระบุตำแหน่ง.....
	/...../25....	○ กระดูกหักเอง ระบุตำแหน่ง
☐	/...../25..../...../25..../...../25....	○ มีอาการทางปอดที่รุนแรง SpO2..... % (ต่ำกว่า 95%) ○ ความดันเลือดในปอดสูง (pulmonary hypertension จากการตรวจโดยวิธีสวนหัวใจ หรือ echocardiogram) ○ มีภาวะแทรกซ้อน hepatopulmonary syndrome
☐	/...../25....	○ การเจริญเติบโตของร่างกายช้ามาก น้ำหนักหรือส่วนสูงต่ำกว่า 3 rd percentile เทียบกับอายุ น้ำหนัก..... kg (P.....) ส่วนสูง..... cm (P.....)

2.3 จากการซักประวัติและตรวจร่างกายทางระบบประสาท (ถ้าพบ จะใช้ยาไม่ได้) ได้แก่

พัฒนาการช้าในเด็ก 2 เดือน-6 ปี (แบบคัดกรอง Denver Developmental Test; >6ปี ตรวจ IQ) ☐ พบ ☐ ไม่พบ

พัฒนาการ/สติปัญญาถดถอยในเด็กและสมองเสื่อมในผู้ใหญ่ ☐ พบ ☐ ไม่พบ

การกลอกตามผิดปกติ ☐ พบ ☐ ไม่พบ

มีอาการกรืนลำปาก อ้าปากไม่ขึ้น (trismus) แขนขาเกร็ง (spasticity) ☐ พบ ☐ ไม่พบ

มีการเคลื่อนไหวผิดปกติ เช่น เกร็งหลังแอ่น (opisthotonos) เดินเซ ☐ พบ ☐ ไม่พบ

ชัก (จากโรค Gaucher) ☐ พบ ☐ ไม่พบ

3. ขนาดยา imiglucerase ที่ใช้..... U/kg คิดเป็นขนาดยาที่ใช้.....U ทุก 2 สัปดาห์

หมายเหตุ 1) ยาขนาดละ 400 U ขนาดยาอยู่ในช่วง 30-60 U/kg ให้ปรับขึ้นหรือลงเพื่อให้ยาผสมแล้วไม่เหลือทิ้ง

2) ขนาดยาที่แนะนำของยา Imiglucerase (CEREZYME®) เริ่มต้นที่ 30-60U/kg โดยให้ทางหลอดเลือดดำทุก 2 สัปดาห์ กรณีผลการตอบสนองเป็นไปอย่างเหมาะสม ให้พิจารณาลดขนาดยาลง 10-15 U/kg

แพทย์ผู้สั่งใช้ยา ว.....

(ร่าง) แบบฟอร์มกำกับการใช้ยา imiglucerase
ข้อบ่งใช้ Gaucher disease Type 1

(รายละเอียดการใช้ยาโปรดอ้างอิงจากแนวทางกำกับการใช้ยาและคู่มือการใช้ยาอย่างสมเหตุสมผลตามบัญชียาหลักแห่งชาติ)

กรณีขออนุมัติการใช้ยาต่อเนื่อง ครั้งที่..... อนุมัติยาครั้งละ 3 เดือน

วันเดือนปีที่ส่งข้อมูล...../...../25.....

ส่วนที่ 1 ข้อมูลผู้ป่วย

1. ชื่อ.....สกุล..... 2. เพศ ☐ ชาย ☐ หญิง
3. HN..... 4. AN..... 5. รหัสโรงพยาบาล.....
6. เลขที่ประจำตัวประชาชน ☐ ☐ ☐ ☐ ☐ ☐ ☐ ☐ 7. วันเดือนปีเกิด/...../.....
8. สิทธิการรักษา ☐ สปสช. ☐ ประกันสังคม ☐สวัสดิการข้าราชการ ☐ อื่นๆ.....
9. น้ำหนักตัว กิโลกรัม 12. ส่วนสูง เซนติเมตร
13. ชื่อ-นามสกุลผู้ปกครอง/ญาติ..... ความสัมพันธ์.....

ส่วนที่ 2 ข้อมูลประกอบอนุมัติและข้อมูลการใช้ยา

1. จากการซักประวัติและตรวจร่างกายทางระบบประสาท (ถ้าพบ จะใช้ยาไม่ได้) ได้แก่

พัฒนาการช้าในเด็ก 2 เดือน-6 ปี (แบบคัดกรอง Denver Developmental Test; >6ปี ตรวจ IQ) ☐ พบ ☐ ไม่พบ
พัฒนาการ/สติปัญญาถดถอยในเด็กและสมองเสื่อมในผู้ใหญ่ ☐ พบ ☐ ไม่พบ
การกลอกตาผิดปกติ ☐ พบ ☐ ไม่พบ
มีอาการกลืนลำบาก อ้าปากไม่ขึ้น (trismus) แขนขาเกร็ง (spasticity) ☐ พบ ☐ ไม่พบ
มีการเคลื่อนไหวผิดปกติ เช่น เกร็งหลังแอ่น (opisthotonos) เดินเซ ☐ พบ ☐ ไม่พบ
ชัก (จากโรค Gaucher) ☐ พบ ☐ ไม่พบ

2. เข้าเกณฑ์การหยุดยา หรือเกณฑ์ที่บ่งชี้ว่าไม่ตอบสนองต่อการรักษา

2.1 พบเกิดปฏิกิริยาการแพ้ยา imiglucerase แบบรุนแรง ☐ พบ ☐ ไม่พบ
2.2 ในช่วง 3 เดือนที่ผ่านมา มารับยาก็ครั้ง(วงกลม) 1 2 3 4 5 6 7 ครั้ง
หากรับยาน้อยกว่า 3 ครั้ง โดยไม่สมเหตุผลถือว่าเข้าเกณฑ์ให้หยุดยา ☐ หยุด ☐ ให้ต่อ
2.3 มีอาการรุนแรงในระบบอื่น เพิ่มขึ้นจากเดิม ☐ มี ☐ ไม่มี
ระบุอาการ/ระบบ (ถ้ามี)
2.4 ผู้ป่วยปฏิเสธการรักษาด้วยยา ☐ ใช่ ☐ ไม่ใช่
2.5 ผู้ป่วยปฏิเสธการรักษาต่อด้วยการทำ bone marrow transplantation ☐ ใช่ ☐ ไม่ใช่

3. ผลการตอบสนองต่อการรักษา โดยมีรายละเอียดผลการตอบสนองต่อการรักษา ดังนี้

วันที่ตรวจประเมิน/...../.....(กาเครื่องหมายทุกช่องที่เข้าได้)

	ครั้งที่เข้าเกณฑ์การรักษา	ผลการรักษาปัจจุบัน	ผลการรักษาคาดหวัง
☐	Hbg/dL	Hb..... g/dL	ผู้ชาย $\geq$ 12 g/dL ; ผู้หญิง $\geq$ 11 g/dL; เด็ก $\geq$ 10 g/dL
☐	Plt count...../mm ³	Plt count..... /mm ³	Plt เพิ่มขึ้นจนถึงระดับที่ไม่เกิดเลือดออกเอง หรือ เป็นปกติในผู้ป่วยที่ตัดม้าม หรือ เพิ่มขึ้น 1.5 เท่า เทียบกับก่อนได้รับการรักษาในผู้ป่วยที่ไม่ได้ตัด ม้าม
☐	spontaneous bleeding	☐ มี ☐ ไม่มี	
☐	splenic infarct	☐ มี ☐ ไม่มี	- ม้ามมีขนาดยุบลงอย่างน้อย 50% - ไม่มีอาการจากม้ามขาดเลือดอีก
☐	Huge splenomegaly	☐ เล็กลง% ☐ เท่าเดิม ☐ ใหญ่ขึ้น	- ม้ามมีขนาดยุบลง 50% เทียบกับก่อนได้รับการรักษาหรือ ม้ามมีขนาดยุบลงและใหญ่ไม่เกิน 8 เท่าของคนปกติ ซึ่งตรวจหรือวัดโดยวิธี ultrasonography หรือ MRI - ตับมีขนาดยุบลง 30% เทียบกับก่อนได้รับการรักษาหรือ ตับมีขนาดยุบลงและใหญ่ไม่เกิน 1.25 เท่าของคนปกติ ซึ่งตรวจหรือวัดโดยวิธี ultrasonography หรือ MRI - หน้าท้องที่ตับที่ผิดปกติมีการเปลี่ยนแปลงดีขึ้น
☐	acute bone crisis	☐ มี ☐ ไม่มี	- ไม่มีอาการวิกฤติฉับพลันเกิดขึ้นอีก - อาการปวดลดลง - เอกซเรย์หรือ MRI กระดูกมีการเปลี่ยนแปลงดีขึ้น(either MRI, QCSI2, or BMD) - ไม่มีกระดูกหักเองเพิ่มใหม่อีก
☐	avascular necrosis	☐ มี ☐ ไม่มี	
☐	กระดูกหักเอง	☐ มี ☐ ไม่มี	
☐	SpO2..... % (room air)	SpO2..... % (room air)	ความอิ่มตัวของออกซิเจนในเลือดไม่ต่ำ
☐	pulmonary hypertension	☐ ความดันลดลง ☐ คงเดิม ☐ เพิ่มขึ้น	ความดันเลือดในปอดสูงมีการเปลี่ยนแปลงดีขึ้น
☐	Hepatopulmonary syndrome	☐ มี ☐ ไม่มี	Hepatopulmonary syndrome ดีขึ้น/ หาย
☐	wt.....kg (P.....)Ht.....cm(P.....)	wt.....kg (P.....)Ht.....cm(P.....)	น้ำหนักส่วนสูงค่อยๆ กลับมาดีขึ้นเข้าสู่เกณฑ์ปกติ

4. ผู้ป่วยยังมีความจำเป็นต้องใช้ imiglucerase ต่อไปตามเกณฑ์ดังต่อไปนี้

- ☐ ระยะเวลาในการรักษายังไม่ถึงเวลาประเมินผลการรักษา (6 เดือน)
- ☐ ผู้ป่วยยังคงตอบสนองดีต่อการรักษาด้วยยา imiglucerase

5. ข้อมูลความก้าวหน้าเกี่ยวกับแผนการทำ bone marrow transplantation

5.1 ผลการค้นหา Donor

- ☐ ยังไม่ได้ดำเนินการหา donor
- ☐ sibling donor
 - ☐ ไม่มี พี่/น้อง
 - ☐ พี่/น้อง คนที่ 1 matching result
 - ☐ พี่/น้อง คนที่ 2 matching result
 - ☐ พี่/น้อง คนที่ 3 matching result
 - ☐ อื่นๆ ระบุ..... matching result
- ☐ แม่ matching result
- ☐ พ่อ matching result
- ☐ unrelated donor; matching result
 - ☐ รายที่ 1 ☐ fully ☐ 1-2 Ag mismatch ☐ Haplo-identical
 - ☐ รายที่ 2 ☐ fully ☐ 1-2 Ag mismatch ☐ Haplo-identical
 - ☐ รายที่ 3 ☐ fully ☐ 1-2 Ag mismatch ☐ Haplo-identical
 - ☐ อื่นๆ ระบุ.....

5.2 มีแผนการทำ bone marrow transplantation ภายใน เดือน ปี 25.....

5.3 ได้ทำ bone marrow transplantation เมื่อ/...../..... พบว่า

☐ engrafted ☐ graft failed ☐ death ระบุสาเหตุ.....

6. ขนาดยา imiglucerase ที่ใช้..... U/kg คิดเป็นขนาดยาที่ใช้..... U ทุก 2 สัปดาห์

หมายเหตุ 1) ยาขนาด 400 U ขนาดยาอยู่ในช่วง 30-60 U/kg ให้ปรับขึ้นหรือลงเพื่อให้ยาผสมแล้วไม่เหลือทิ้ง

2) ขนาดยาที่แนะนำของยา Imiglucerase(CEREZYME®) เริ่มต้นที่ 30-60U/kg โดยให้ทางหลอดเลือดดำทุก 2 สัปดาห์ กรณีผลการตอบสนองเป็นไปอย่างเหมาะสม ให้พิจารณาลดขนาดยาลง 10-15 U/kg

3) ให้ทำการประเมินผลการรักษาทุก 6 เดือนเพื่อพิจารณาปรับขนาดยาตามเกณฑ์ที่แนะนำ

แพทย์ผู้สั่งใช้ยา ว.....