BIJLAGE A: model van aanvraagformulier :
Aanvraagformulier voor vergoeding van de farmaceutische specialiteit op basis van olipudase alfa (§ 12940000 van hoofdstuk IV van de lijst gevoegd bij het K.B. van 1 februari 2018).

I - Identificatie van de begunstigde (naam, voornaam, inschrijvingsnummer bij de verzekeringsinstelling) :

|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_| (naam)

|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_| (voornaam)

|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_| (aansluitingsnummer)

II - Elementen te bevestigen door een arts-specialist verbonden aan een erkend Centrum in het kader van de Conventies van revalidatie van begunstigden die lijden aan een zeldzame erfelijke monogenetische metabole aandoening.

Ik ondergetekende, doctor in de geneeskunde, specialist erkend in …… (vermeld de specialiteit)
verklaar dat de hierboven vermelde rechthebbende, lijdt aan niet-centrale zenuwstelsel manifestaties van Zure Sfingomyelinasedeficiënte (ASMD) type A/B of type B, en dat de rechthebbende voldoet of voldeed, voorafgaand aan het begin van een behandeling met olipudase alfa, aan alle voorwaarden van punt a) van § 12940000 van hoofdstuk IV van de lijst gevoegd bij het K.B. van 1 februari 2018 :

- Voorwaarden die betrekking hebben op de diagnosestelling op basis van een genetische analyse en een analyse van de enzymatische activiteit.
- Voorwaarden die betrekking hebben op de aanwezigheid van minstens één klinische gedocumenteerde presentatie.

Bovendien :
Wat de precieze diagnose en klinische situatie van deze patiënt betreft, voorafgaand aan het begin van een behandeling met olipudase alfa, verklaar ik de volgende elementen :

1. Diagnosestelling:
   □ Gedocumenteerde deficiëntie van zure sfingomyelinase (ASM), gemeten in leukocyten of fibroblasten of lymfocyten.
   □ Een genetische diagnose van de ziekte.
   □ Een klinische diagnose consistent met ASMD type A/B zonder ernstige neurologische aantasting of type B.

2. Klinische presentatie(s) eigen aan ASMD, bij minstens één van onderstaande orgaansystemen :

   Voor de rechthebbenden van alle leeftijden :

   □ 2.1. LEVER : □ Tekenen van leverfibrose of levercirrose, vastgesteld met beeldvormingsonderzoeken, op leverbiopsie of d.m.v. elastografie EN verhoging in leverenzymen (> of = 3 ULN).

   □ 2.2. BLOED : □ Bloedplaatjes waarden < 100 x 10^9 /L.

   □ 2.3. MILT : □ Splenectomie.
   Of
   □ Splenomegalie > 5 keer de normale leeftijdsgebonden waarde gemeten door middel van MRI of CT scan.

   Voor de rechthebbenden van 18 jaar of ouder :

   □ 2.4. LONGEN : □ DLco waarde < 70% van de voorspelde waarde EN interstitiële longziekte zichtbaar op hoge resolutie long CT-scan.

   Voor de rechthebbenden jonger dan 18 jaar :

   □ 2.4. LONGEN : □ DLco waarde < 70% van de voorspelde waarde (vanaf 5 jaar).
   Of
   □ Interstitiële longziekte zichtbaar op hoge resolutie long CT-scan.

   □ 2.5. BOT : Groeiachterstand, gedefinieerd als :

□ Een daling in percentielcurve ten opzichte van de vorige curve van de patiënt van ten minste 20% (bv. daling van P75-curve naar P55-curve).

Of

□ RX-skeletleeftijd die minstens 1 jaar achter is op de kalenderleeftijd.

Wat mijn praktijk aangaat :

Ik ben sinds ⊔⊔ / ⊔⊔ / ⊔⊔⊔⊔ verbonden aan een Centrum zoals hieronder vermeld, dat erkend is in het kader van de Conventies van revalidatie van begunstigden die lijden aan een zeldzame erfelijke monogenetische metabole aandoening.
Naam en volledig adres van het Centrum zijn de volgende : …….
……..…….
…….
…….
Identificatienummer voor de RIZIV Conventie van dit Centrum: 7.89 - ⊔⊔⊔-⊔⊔.
(In bijlage voeg ik een attest van de verantwoordelijke arts van dit Centrum, die deze toekenning bevestigt).

Wat betreft de identificatie van de betrokken ziekenhuisapotheker, die met ons Centrum samenwerkt :

Identificatie van de betrokken ziekenhuisapotheker :
Naam en voornaam :
…….....

RIZIV nummer van het ziekenhuis waaraan deze ziekenhuisapotheker verbonden is: 7.10-⊔⊔⊔-⊔⊔-⊔⊔⊔
Adres :
……..……
……..……

Ik verbind me er verder toe de bewijsstukken die de geattesteerde situatie van de rechthebbende ondersteunen, ter beschikking te houden van de adviserend arts.

Ik weet dat het aantal vergoedbare verpakkingen beperkt is tot het aantal flacons dat vereist is voor een periode van 12 maanden, overeenkomstig de dosering vermeld in de Samenvatting van de Productkenmerken (SKP) van de farmaceutische specialiteit.

Ik verbind me er eveneens toe, indien de rechthebbende de vergoeding van deze specialiteit zal verkregen hebben, aan het College van artsen, aangeduid door de Commissie Tegemoetkoming Geneesmiddelen, de gecodeerde gegevens mee te delen die betrekking hebben op de evolutie en de uitkomst van de betrokken rechthebbende, volgens de modaliteiten bepaald door de Minister, zoals beschreven onder punt f) van § 12940000 van hoofdstuk IV van de lijst gevoegd bij het K.B. van 1 februari 2018.

Op basis van de bovenvermelde gegevens, vraag ik voor deze rechthebbende de vergoeding aan van deze specialiteit voor een periode van 12 maanden :

□ Het gaat om een eerste aanvraag.

□ Het gaat om een aanvraag tot vergoeding van een verlenging van een behandeling die gebeurd is met niet-vergoede verpakkingen van deze specialiteit in het kader van een klinische studie of een Medical Need Programma (in bijlage voeg ik een verslag van de evolutie toe. In het bijzonder vermeld ik de klinische presentaties en de motivatie om de behandeling verder te zetten.).

□ Het gaat om een aanvraag tot verlenging van vergoeding van deze specialiteit, want deze rechthebbende heeft reeds minstens één periode van vergoeding van deze specialiteit bekomen op basis van de voorwaarden van § 12940000 van hoofdstuk IV van de lijst gevoegd bij het K.B. van 1 februari 2018, waarbij de vorige toegestane periode afgelopen is en ik van mening ben dat deze behandeling met deze specialiteit verder gezet moet worden. (in bijlage voeg ik een verslag van de evolutie toe. In het bijzonder vermeld ik de klinische presentaties en de motivatie om de behandeling verder te zetten.).

Ik bevestig te weten dat de vergoeding voor deze specialiteit wordt stopgezet indien :

- Er sprake is van slechte therapietrouw te wijten aan de patiënt, gedefinieerd als twee maal de herhaling van het dosisescalatieschema na het niet opdagen van de patiënt voor de infusiesessies.
- De therapie als ondoeltreffend werd ingeschat op basis van de resultaten van de vervolgonderzoeken.

- Het klinisch beeld wijst op psychische en/of mentale retardatie, niet te wijten aan een andere conditie, gedefinieerd als :

  - Bayley mentaal < 50 (van 0 tot 42 maanden).

  Of

  - WIPPSI < 50 (4 tot 7 jaar).

  Of

  - WISC < 50 (vanaf 7 jaar).

  Of

  - WAIS < 50 (vanaf 16 jaar).

  (maar testen is niet nodig bij aanwezigheid van de beschermende p.Arg610del mutatie).

In bijlage van dit aanvraagformulier voeg ik een medisch verslag toe alsook de protocollen en resultaten van de uitgevoerde onderzoeken, zowel enzymatisch als genetisch.

<u>III – Identificatie van de arts-specialist bedoeld onder punt II hierboven :</u>

|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_| (naam)

|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_| (voornaam)

|1| - |_|_|_|_|_| - |_|_| - |_|_|_| (RIZIV nummer)

|_|_| / |_|_| / |_|_|_|_| (datum)

(stempel) ..... (handtekening van de arts)