

**Formulaire de demande de remboursement de la spécialité ALDURAZYME
(§ 312 du chapitre IV de l'A.R. du 21 décembre 2001)**

I – Identification du bénéficiaire (nom, prénom, N° d'affiliation) :

□□□□□□□□□□□□ □□□□□□□□□□□□ □□□□□□□□□□□□

II – Eléments à attester par un médecin spécialiste attaché à un Centre reconnu dans le cadre des Conventions de rééducation de bénéficiaires souffrant d'une maladie métabolique monogénique héréditaire rare :

Je soussigné, docteur en médecine, spécialiste reconnu en (mentionnez la spécialité) certifie que le patient mentionné ci-dessus est atteint de mucopolysaccharidose de type I, et qu'il remplit, ou qu'il remplissait, préalablement à l'initiation d'un traitement avec une laronidase, toutes les conditions figurant au point a) du § 312 du chapitre IV de l'A.R. du 21 décembre 2001 :

- Conditions relatives à l'établissement du diagnostic sur base d'une analyse de l'activité enzymatique de l'α-L-iduronidase et/ou d'une analyse génétique d'ADN pour recherche de mutation du gène de l'α-L-iduronidase;
- Conditions relatives à l'absence des critères d'exclusion ;

En outre,

1. (si le bénéficiaire a déjà obtenu au moins une période de remboursement de la spécialité ALDURAZYME sur base des conditions du § 312 du chapitre IV de l'A.R. du 21 décembre 2001, passer directement au point 2 ci-dessous)

En ce qui concerne le diagnostic précis et la situation clinique de ce patient préalablement à l'initiation d'un traitement à la laronidase, j'atteste les éléments suivants :

1.1. Etablissement du diagnostic :

- Positivité d'une analyse de l'activité enzymatique de l'α-L-iduronidase (*);
- Positivité d'une analyse génétique d'ADN pour recherche de mutation du gène de l'α-L-iduronidase (*);

1.2. Absence des critères d'exclusion suivants:

- 1.2.1. Sur le plan neuro-psychomoteur, en tenant compte du niveau attendu pour l'âge, un retard de développement, ou une régression, entraînant un déficit incompatible avec une vie autonome, tel qu'il serait démontré par l'obtention d'un score supérieur à 11 points sur 21 lorsque l'on globalise l'évaluation du patient sur base des 7 items représentant le 2ème et 3ème piliers de l'Echelle Médico-Sociale figurant à l'annexe 1 de l'A.R. du 28 mars 2003 portant exécution des Lois coordonnées relatives aux allocations familiales;
- 1.2.2. Espérance de vie < 6 mois.

2. En ce qui concerne l'évolution clinique ultérieure de mon patient tout au long de l'administration du traitement remboursé avec la spécialité ALDURAZYME, je m'engage à assurer le suivi de l'évaluation au moins semestrielle des éléments suivants :

- 2.1. Bilan neuro-psychomoteur de la capacité de vie autonome, en utilisant notamment l'Echelle Globale de Fonctionnement ;
- 2.2. Bilan ophtalmologique avec une mesure de l'acuité visuelle, ainsi qu'un examen du segment antérieur et du fond d'oeil ;
- 2.3. Capacité fonctionnelle pulmonaire via la réalisation des EFR ;
- 2.4. Capacité fonctionnelle cardiaque via la réalisation d'une échographie bidimensionnelle, ou d'une ventriculographie isotopique, ou d'une ventriculographie de contraste ;
- 2.5. Quantification paramétrée du volume hépatosplénique via une imagerie démonstrative ;
- 2.6. Quantification paramétrée de l'amplitude des mouvements des petites et des grandes articulations des membres ;
- 2.7. Données longitudinales anthropométriques: taille et poids, ainsi que le périmètre crânien ;
- 2.8. Paramètres biochimiques : MPS urinaire (qualitatif et quantitatif), ainsi que les tests rénaux et hépatiques;
- 2.9. Bilan auditif via un audiogramme ;

3. En ce qui concerne ma pratique et l'identification d'un pharmacien hospitalier de référence :

3.1. Je suis attaché depuis le □□ / □□ / □□□□ au Centre mentionné ci-après, qui est reconnu dans le cadre des Conventions de rééducation de bénéficiaires souffrant d'une maladie métabolique monogénique héréditaire rare :

Le nom et l'adresse exacte de ce Centre sont les suivants:

Numéro d'identification de convention INAMI de ce Centre: 7.89 - □□□ - □□

(je joins en annexe une attestation du médecin responsable de ce Centre, confirmant cette affectation)

3.2. Identification d'un pharmacien hospitalier de référence, collaborant avec notre Centre:

Nom et Prénom :

Numéro INAMI de l'hôpital auquel ce pharmacien hospitalier est attaché:

7.10 - □□□ - □□ - □□□

Adresse :

4. Je m'engage à tenir à la disposition du médecin-conseil les éléments de preuve établissant que mon patient se trouve dans la situation attestée.
5. Je m'engage également, lorsque mon patient aura reçu le remboursement de la spécialité ALDURAZYME, à communiquer au collègue de médecins, désigné par la Commission de Remboursement des Médicaments, les données codées relatives à l'évolution et au devenir du patient concerné, suivant les modalités fixées par le Ministre, comme décrites au point h) du § 312 du chapitre IV de l'A.R. du 21 décembre 2001

Sur base des éléments mentionnés ci-dessus et sur base du fait que :

- il s'agit d'une première demande (*) d'autorisation de remboursement pour la spécialité ALDURAZYME, visant un patient non encore traité avec une laronidase,
- il s'agit d'une première demande (*) d'autorisation de remboursement pour la spécialité ALDURAZYME, visant un patient déjà traité depuis le / / avec une laronidase, et que ce traitement par laronidase doit être poursuivi via l'administration de la spécialité ALDURAZYME (je joins en annexe un rapport d'évolution, notamment en ce qui concerne les manifestations cliniques, comprenant également la motivation de la poursuite du traitement de ce patient via l'administration de la spécialité ALDURAZYME);
- il s'agit d'une demande de prolongation de remboursement pour la spécialité ALDURAZYME, car ce patient a déjà obtenu au moins une période de remboursement de la spécialité ALDURAZYME sur base des conditions du § 312 du chapitre IV de l'A.R. du 21 décembre 2001, que la période précédemment autorisée est arrivée à échéance, et que j'estime que ce traitement avec la spécialité ALDURAZYME doit être poursuivi (je joins en annexe un rapport d'évolution, notamment en ce qui concerne les manifestations cliniques, comprenant également la motivation de la poursuite du traitement) ;

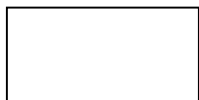
, j'atteste que ce patient nécessite de recevoir le remboursement d'un traitement de 12 mois avec la spécialité ALDURAZYME avec une posologie de mg /kg (maximum 100 U par kg) par perfusion, administrée une fois par semaine

III - Identification du médecin spécialiste visé au point II ci-dessus :

(nom)
 (prénom)
 1--- (N° INAMI)

(*) En annexe au présent formulaire de demande, je joins le protocole de l'analyse de l'activité enzymatique de l'α-L-iduronidase et/ou de l'analyse génétique d'ADN pour recherche de mutation du gène de l'α-L-iduronidase (uniquement pour une première demande d'autorisation, c'est à dire lorsque le bénéficiaire n'a encore jamais obtenu un remboursement de la spécialité ALDURAZYME sur base des conditions du § 312 du chapitre IV de l'A.R. du 21 décembre 2001).

/ / (DATE)



(CACHET)

.....

(SIGNATURE DU MEDECIN)