ANNEXE A: Modèle du formulaire de demande: Formulaire de demande de remboursement de la spécialité MYOZYME (§ 4180000 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 ou un Centre reconnu dans le cadre des Conventions de rééducation des patients souffrant de maladies neuromusculaires:
1. □ Première demande en cas de forme infantile de la maladie de Pompe (IOPD):
Je soussigné, docteur en médecine, spécialiste reconnu en
Le diagnostic doit être confirmé par:
 une activité réduite en α-glucosidase acide sur culture de fibroblastes cutanés et un test ADN montrant la présence de 2 mutations pathogènes du gène GAA; □* une surcharge en glycogène lysosomal dans une biopsie musculaire (myopathie vacuolaire);
(* une surcharge en glycogène lysosomal dans une biopsie musculaire doit être démontrée au cas où une seule mutation pathologique du gène GAA est démontrée)
□ et un tableau clinique comprenant:
 - une cardiopathie documentée et/ou - un retard dans le développement moteur utilisant l'échelle de Bayley, et/ou - une myopathie documentée des muscles proximaux et/ou - une myopathie documentée des muscles respiratoires avec comme conséquence une insuffisance respiratoire.
J'atteste que : - la qualité de vie de mon patient est influencée de façon négative par les signes musculaires et respiratoires de la maladie; - mon patient ne nécessite pas d'assistance respiratoire invasive chronique; - mon patient ne souffre pas d'une affection sévère ou terminale (autre que la maladie de Pompe) et réduisant de façon important son pronostic vital.
Le tableau clinique et les antécédents du patient doivent être documentés.
En ce qui concerne l'évaluation clinique de mon patient pendant l'administration du traitement remboursé avec la spécialité MYOZYME, je m'engage à fournir des évaluations semestrielles concernant les éléments suivants: - mesure de la taille et de la fonction du cœur et - besoins respiratoires et fonction pulmonaire et - puissance, affaiblissement et fonction musculaires documentés sur base de l'échelle de Bayley ou échelle de PEDI, du 'test de marche de 6 minutes' - analyses sanguines.
J'atteste que ce patient nécessite de recevoir le remboursement d'un traitement de 12 mois avec la spécialité MYOZYME à une posologie de □□ mg/kg de poids corporel par perfusion toutes les deux semaines (maximum 20 mg/kg/2 semaines).
2. □ Première demande en cas de forme tardive de la maladie de Pompe (LOPD):

Je soussigné, docteur en médecine, spécialiste reconnu en (mentionnez la spécialité) certifie que le patient mentionné ci-dessus est atteint de la maladie de Pompe : diagnostic confirmé de la maladie de Pompe (déficit en α-glucosidase acide) et présence de symptômes cliniques.

Le diagnostic doit être confirmé par :

- □ une activité réduite en α-glucosidase acide sur culture de fibroblastes cutanés et
- un test ADN montrant la présence de 2 mutations pathogènes du gène GAA;
- □* une surcharge en glycogène lysosomal dans une biopsie musculaire (myopathie vacuolaire);

(* une surcharge en glycogène lysosomal dans une biopsie musculaire doit être démontrée au cas où une seule mutation pathologique du gène GAA est démontrée)

□ et un tableau clinique comprenant:

- une myopathie documentée des muscles proximaux et/ou
- une myopathie documentée des muscles respiratoires avec comme conséquence une insuffisance respiratoire.

J'atteste que :

- la qualité de vie de mon patient est influencée de façon négative par les signes musculaires et respiratoires de la maladie;
- mon patient ne nécessite pas d'assistance respiratoire invasive chronique;

- mon patient ne souffre pas d'une affection sévère ou terminale (autre que la maladie de Pompe) et réduisant de façon importante son pronostic vital.

Le tableau clinique et les antécédents du patient doivent être documentés.

En ce qui concerne l'évaluation clinique de mon patient pendant l'administration du traitement remboursé avec la spécialité MYOZYME, le m'engage à fournir des évaluations semestrielles concernant les éléments suivants:

- besoins respiratoires et fonction pulmonaire et
- puissance, affaiblissement et fonction musculaires documentés sur base de l'échelle de Bayley ou échelle de PEDI, du test de marche de 6 minutes et
- analyses sanguines.

J'atteste que ce patient nécessite de recevoir le remboursement d'un traitement de 12 mois avec la spécialité MYOZYME à une posologie de □□ mg/kg de poids corporel par perfusion toutes les deux semaines (maximum 20 mg/kg/2 semaines).

3. Demande de prolongation en cas de forme infantile de la maladie de Pompe (IOPD):

Sur base des évaluations semestrielles concernant les éléments suivants:

mesure de la taille et de la fonction du cœur et

- besoins respiratoires et fonction pulmonaire et
- puissance, affaiblissement et fonction musculaires documentés sur base de l'échelle de Bayley ou échelle de PEDI et du 'test de marche de 6 minutes et
- analyses sanguines,

je certifie que le traitement a été efficace.

J'atteste que ce patient nécessite de recevoir le remboursement d'un traitement de 12 mois avec la spécialité MYOZYME à une posologie de □□ mg/kg de poids corporel par perfusion toutes les deux semaines (maximum 20 mg/kg/2 semaines).

4. Demande de prolongation en cas de forme tardive de la maladie de Pompe (LOPD):

Sur base des évaluations semestrielles concernant les éléments suivants:

- besoins respiratoires et fonction pulmonaire et
- puissance, affaiblissement et fonction musculaires documentés sur base de l'échelle de Bayley ou échelle de PEDI et du 'test de marche de 6 minutes et
- analyses sanguines,

Nom et Prénom :

je certifie que le traitement a été efficace.

J'atteste que ce patient, atteint d'une forme tardive de maladie de Pompe, a répondu au traitement. Ceci est démontré par une stabilisation et/ ou une amélioration de la fonction respiratoire ou musculaire après 12 mois de traitement.

Je m'engage à interrompre le traitement dans le cas contraire.

J'atteste que ce patient nécessite de recevoir le remboursement d'un traitement de 12 mois avec la spécialité MYOZYME à une posologie de □□ mg/kg de poids corporel par perfusion toutes les deux semaines (maximum 20 mg/kg/2 semaines).

5.	En ce qui	i concerne ma	oratique e	et l'identification	ı d'un	pharmacien	hospitalier	de référ	rence:

Numéro INAMI de l'hôpital auquel ce pharmacien hospitalier est attaché: 7.10 - u u - u u u

oo qa. oooo	The first production of the fi
	aché depuis le un/unu au Centre mentionné ci-après, qui est reconnu dans le cadre des Conventions de bénéficiaires souffrant d'une maladie métabolique monogénique héréditaire rare
dans le cad	re des Conventions de rééducation des patients souffrant de maladies neuromusculaires
Le nom et l'	adresse exacte de ce Centre sont les suivants:
	lentification <u>de convention</u> INAMI de ce Centre: 7.89 - □ □ □ □ □ □ □ □ □ □ □ □ □ □ □ □ □ □
5.2. Identification	d'un pharmacien hospitalier de référence, collaborant avec notre Centre:

	Adresse:
	n'engage à tenir à la disposition du médecin-conseil les éléments de preuve établissant que mon patient se trouve dans la ation attestée.
de r deve	n'engage également, lorsque mon patient aura reçu le remboursement de la spécialité MYOZYME, à communiquer au collège médecins, désigné par la Commission de Remboursement des Médicaments, les données codées relatives à l'évolution et au enir du patient concerné, suivant les modalités fixées par le Ministre, comme décrites au point f) du § 4180000 du chapitre IV de R. du 21 décembre 2001.
III – Ide	entification du médecin spécialiste visé au point Il ci-dessus:
	(nom)
1	
une pre	annexe au présent formulaire de demande, je joins les protocoles des analyses où le diagnostic à été établi (uniquement pour emière demande d'autorisation, c'est à dire lorsque le bénéficiaire n'a encore jamais obtenu un remboursement de la spécialité YME sur base des conditions du § 4180000 du chapitre IV de l'A.R. du 21 décembre 2001).
/	/ (date)
	(cachet) (signature du médecin)