

Formulaire de demande de remboursement de la spécialité MYOZYME (§ 4180000 du chapitre IV de l'A.R. du 21 décembre 2001)

1. ☐ Première demande en cas de forme infantile de la maladie de Pompe (IOPD):

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 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 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, 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, je 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):

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.

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):

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.

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,

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 concerne ma pratique et l'identification d'un pharmacien hospitalier de référence:

- 5.1. 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 ou dans le cadre des Conventions de rééducation des patients souffrant de maladies neuromusculaires

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)

5.2. 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 - -

.....

.....

.....

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

| 1 | - | | | | | | - | | | - | | | | (n° INAMI)

| | | / | | / | | | | (date)

--

(cachet)

(signature du médecin)