

- Fonction pulmonaire, documentée sur la base de la capacité vitale forcée (Forced Vital Capacity: FVC) en position assise et en position couchée, exprimée en litres.
- Besoins respiratoires, avec si applicable la documentation du nombre d'heures moyennes de ventilation mécanique par 24 heures.

Lorsque certains paramètres ne peuvent pas être déterminés chez le bénéficiaire, je m'engage à mentionner la raison pourquoi.

J'atteste que ce bénéficiaire nécessite de recevoir le remboursement d'un traitement de 12 mois avec la spécialité à base d'alpha cipaglucosidase en association avec miglustat à une posologie de 100 mg/kg de poids corporel par perfusion toutes les deux semaines (maximum 20 mg/kg/2 semaines). Et pour miglustat une posologie de maximum 3 gélules de 65 mg pour les bénéficiaires pesant > ou = 40 kg à < 50 kg et 4 gélules de 65 mg pour les bénéficiaires pesant > ou = 50 kg.

II.2 Pour les bénéficiaires adultes déjà traités pour la forme tardive de la maladie de Pompe (LOPD) :

Je soussigné, médecin spécialiste reconnu en (mentionnez la spécialité) certifie que le bénéficiaire mentionné ci-dessus est adulte et atteint de la forme tardive de la maladie de Pompe (déficit en α -glucosidase acide) avec diagnostic confirmé et présence de symptômes cliniques.

- Je certifie que le traitement a été efficace, sur la base des évaluations semestrielles avec la documentation d'au moins les éléments suivants (avec indication d'une raison lorsque certains paramètres ne peuvent pas être déterminés):
- Fonction cardiaque, évaluée à l'aide d'un électrocardiogramme.
 - Puissance, affaiblissement et fonction musculaires, documentées sur la base de :
 - Test de marche de 6 minutes (6-Minute Walk Test: 6MWT), exprimé en mètres.
 - Et mesure manuelle de la force musculaire sur la base de la classification du Medical Research Council (MRC) pour les abducteurs des épaules, les fléchisseurs du coude, les extenseurs du coude, les fléchisseurs du genou, la force de préhension et les fléchisseurs de la hanche, chaque fois exprimées sur une échelle de 0 – 5.
 si le 6MWT et la mesure de la force musculaire manuelle sur la base de MRC ne sont pas possible ou ne sont pas fiable chez les jeunes bénéficiaires avec la forme tardive de la maladie (LOPD), le score sur l'échelle de BAYLEY ou de PEDI doit être rapporté.
 - Fonction pulmonaire, documentée sur la base de la capacité vitale forcée (Forced Vital Capacity: FVC) en position assise et en position couchée, exprimée en litres.
 - Besoins respiratoires, avec si applicable la documentation du nombre d'heures moyennes de ventilation mécanique par 24 heures.

J'atteste que le bénéficiaire :

- Montre une adhérence au traitement.
- Et a répondu au traitement, démontré par la présence d'effet favorable sur la détérioration de la fonction musculaire et/ou respiratoire après 12 mois de traitement.
- Et ne souffre pas d'effets secondaires sérieux liés à la perfusion qui ne peuvent pas être traités de manière adéquate.
- Et n'a pas des titres d'anticorps élevés qui rendent compte d'une diminution significative de l'effet du traitement, malgré un traitement par des agents immunomodulateurs.

Dans le cas contraire, ou dans le cas où le patient lui-même souhaite arrêter le traitement, je m'engage à arrêter le traitement.

Lorsque certains paramètres ne peuvent pas être déterminés chez le bénéficiaire, je m'engage à mentionner la raison pourquoi.

J'atteste que ce bénéficiaire nécessite de recevoir le remboursement d'un traitement de 12 mois avec la spécialité à base d'alpha cipaglucosidase en association avec miglustat à une posologie de 100 mg/kg de poids corporel par perfusion toutes les deux semaines (maximum 20 mg/kg/2 semaines). Et pour miglustat une posologie de maximum 3 gélules de 65 mg pour les bénéficiaires pesant > ou = 40 kg à < 50 kg et 4 gélules de 65 mg pour les bénéficiaires pesant > ou = 50 kg.

III. Type de demande :

- Première demande d'autorisation de remboursement pour le bénéficiaire, non traité auparavant pour la forme tardive de la maladie de Pompe (LOPD).
- Première demande d'autorisation de remboursement pour le bénéficiaire, déjà traité avec des conditionnements non remboursables de la spécialité pharmaceutique à base d'alpha cipaglucosidase en association avec miglustat dans le cadre d'une programme de besoin médical et le bénéficiaire remplit les conditions de remboursement telles que mentionnées au point a) du §13500000 du chapitre IV de la liste jointe à l'A.R. du 1er février 2018.
- Première demande d'autorisation de remboursement de la spécialité pharmaceutique à base d'alpha cipaglucosidase en association avec miglustat pour le bénéficiaire qui a déjà obtenu le remboursement d'une spécialité sur base des conditions reprises au §4180000 du chapitre IV de la liste jointe à l'A.R. du 1er février 2018.
- Demande de renouvellement de remboursement pour le bénéficiaire qui bénéficie déjà d'un remboursement sur base des dispositions du §13500000 du chapitre IV de la liste jointe à l'A.R. du 1er février 2018.

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

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 bénéficiaires 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)

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 :

.....
.....
.....

Je m'engage à tenir à la disposition du médecin-conseil les éléments de preuve établissant que le bénéficiaire se trouve dans la situation attestée.

J'atteste savoir que l'utilisation simultanée de la spécialité pharmaceutique à base d'alpha cipaglucosidase en association avec miglustat avec une spécialité pharmaceutique à base d'avalglucosidase alfa ou à base de d'alpha alglucosidase n'est jamais autorisé.

Je m'engage également, lorsque le bénéficiaire aura reçu le remboursement de la spécialité à base d'alpha cipaglucosidase en association avec miglustat, à communiquer au collège de médecins, désigné par la Commission de Remboursement des Médicaments, les données codées relatives à l'évolution et au devenir du bénéficiaire concerné, suivant les modalités fixées par le Ministre, comme décrites au point f) du §13500000 du chapitre IV de la liste jointe à l'A.R. du 1^{er} février 2018.

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

(nom)

(prénom)

1 - - (n° INAMI)

En annexe au présent formulaire de demande, je joins les protocoles des analyses où le diagnostic à été établi (uniquement pour une première demande d'autorisation, c'est à dire lorsque le bénéficiaire n'a encore jamais obtenu un remboursement d'une spécialité à base d'alpha cipaglucosidase en association avec miglustat, sur base des conditions du §13500000 du chapitre IV de la liste jointe à l'A.R. du 1^{er} février 2018).

/ / (date)

(cachet)

(signature du médecin)