

**ANNEXE A : Modèle du formulaire de demande :**

Formulaire de demande de remboursement de la spécialité ELAPRASE (§ 4430000 du chapitre IV de l'A.R. du 1<sup>er</sup> février 2018)

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

\_\_\_\_\_ (nom)

\_\_\_\_\_ (prénom)

\_\_\_\_\_ (numéro 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 d'une mucopolysaccharidose de type II (MPS II ou maladie de Hunter), et qu'il remplit, préalablement à l'initiation d'un traitement avec l'idursulfase, toutes les conditions figurant au point a) du § 4430000 du chapitre IV de l'A.R. du 1<sup>er</sup> février 2018):

- Conditions relatives à l'établissement du diagnostic sur base à la fois d'une analyse de l'activité enzymatique démontrant un déficit en iduronate-2-sulphatase (dans des fibroblastes, via une biopsie de peau, ou dans des leucocytes), et d'un test ADN génétique qui démontre que le gène déposé est muté ;
- Conditions relatives à la présence d'un tableau clinique montrant une atteinte documentée d'au moins deux systèmes d'organes (Cœur ; Squelette et tissu conjonctif ; Respiratoire ; Foie ; Intestinal ; Système nerveux périphérique) ;
- Conditions relatives à l'exclusion du remboursement pour des situations où l'espérance de vie du patient est inférieure à 6 mois, et/ou pour des situations avec un tableau clinique montrant un retard psychique et/ou mental.

En effet,

1. En ce qui concerne le diagnostic de mucopolysaccharidose de type II (MPS II ou maladie de Hunter) et le tableau clinique préalablement à l'initiation d'un traitement à l'idursulfase :

Il s'agit d'une première demande de remboursement :

- i. Je joins en annexe au présent formulaire le protocole de l'analyse de l'activité enzymatique démontrant un déficit en iduronate-2-sulphatase dans des fibroblastes (biopsie de la peau) ou dans des leucocytes et le protocole du test ADN génétique qui démontre que le gène déposé est muté.
- ii. J'atteste que chez ce patient le tableau clinique, préalablement à l'initiation d'un traitement à l'idursulfase, montrait une atteinte (confirmée e.a. par les éléments du bilan actuel visé au point 2.iii ci-dessous) des systèmes d'organes (au moins deux) suivants :
  - Cœur : affection valvulaire avec valves épaissies ;
  - Squelette et tissu conjonctif : contractures ; restrictions de mouvement (entre autres : épaules et doigts) ; dysplasie du squelette de type dysostoses multiplex, retard de croissance ;
  - Respiratoire : infections chroniques des voies respiratoires supérieures, affection pulmonaire restrictive et obstructive ;
  - Foie: hépato(-spléno)mégalie ;
  - Intestinal : diarrhée chronique ;
  - Système nerveux périphérique : surdité neurosensorielle, syndrome du canal carpien ;

Il s'agit d'une demande de prolongation car ce patient a déjà obtenu au moins une période de remboursement de la spécialité ELAPRASE sur base des conditions du § 4430000 du chapitre IV de l'A.R. du 1<sup>er</sup> février 2018), et les éléments confirmant le diagnostic et les systèmes d'organes atteints avant initiation du traitement ont déjà été communiqués.

2. En ce qui concerne le tableau clinique actuel:

- i. J'atteste que chez ce patient l'espérance de vie n'est pas inférieure à 6 mois;
- ii. J'atteste que chez ce patient le tableau clinique ne montre pas un retard psychique et / ou mental sur base du test suivant:
  - Bayley mental < 50 (de 0 à 42 mois) ou
  - WIPPSI < 50 (4 à 7 ans) ou
  - WISC < 50 (à partir de 7 ans) ou
  - WAIS < 50 (à partir de 16 ans).
- iii. Je joins en annexes au présent formulaire les protocoles correspondants à tous les éléments repris ci-après (bilan réalisé au plus tôt dans les 3 mois avant la date à partir de laquelle le remboursement est demandé), et dont je m'engage continuer à assurer le suivi au moins deux fois par an, en vue de pouvoir documenter l'efficacité du traitement enzymatique chez ce patient :
  1. Tests psychométriques (détermination du QI);
  2. Capacité fonctionnelle pulmonaire via la réalisation des EFR (à partir de l'âge de 5 ans);
  3. Capacité fonctionnelle cardiaque via la réalisation d'une échographie bidimensionnelle ;
  4. Quantification paramétrée du volume hépatosplénique via une imagerie démonstrative ;
  5. Quantification paramétrée de l'amplitude des mouvements des petites et des grandes articulations des membres ;

- 6. Données longitudinales anthropométriques: taille et poids, ainsi que périmètre crânien ;
- 7. Paramètres biochimiques : MPS urinaire (qualitatif et quantitatif), ainsi que les tests rénaux et hépatiques;
- 8. Bilan auditif via un audiogramme ;
- 9. Si la présente demande vise un renouvellement de l'autorisation, je joins également en annexe une motivation clinique explicite au souhait de prolonger le traitement, basée entre autres sur l'évolution fonctionnelle des différents systèmes.

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 ELAPRASE, 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 patient concerné, suivant les modalités fixées par le Ministre, comme décrites au point f) du § 4430000 du chapitre IV de l'A.R. du 1<sup>er</sup> février 2018).

6. Je sais que le remboursement du traitement est conditionné par le fait que, par période de traitement de 12 mois, (le ou) les conditionnements nécessaires pour trois des perfusions hebdomadaires soient délivrés gratuitement par le titulaire de l'enregistrement (Shire Human Genetic Therapies AB) à ma demande. Je m'engage à effectuer les démarches nécessaires pour l'exécution de cette disposition :

Il s'agit ici d'une première demande d'autorisation ;

Il s'agit ici d'une demande de renouvellement, et j'atteste que les perfusions concernées par cette disposition ont été réalisées pendant la période d'autorisation précédente en date du  /  /  (et du  /  / .

7. Sur base de tous les éléments attestés ci-dessus et de tous les documents nécessaires fournis en annexes au présent formulaire, j'atteste que ce patient nécessite de recevoir le remboursement d'un traitement de 6 mois avec la spécialité ELAPRASE avec une posologie de 0,5 mg/kg de poids corporel administré une fois par semaine

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

(nom)

(prénom)

-  -  (n° INAMI)

/  /  (date)



(cachet)

.....

(signature du médecin)

