

ANNEXE A: modèle de formulaire de demande destiné au médecin-conseil pour un angiomyolipome rénal (AML) associé à une sclérose tubéreuse de Bourneville (STB)

Formulaire de demande de remboursement de la spécialité Votubia® (§ 8180000 du chapitre IV de l'A.R. du 21 décembre 2001)

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

_____ (nom)

_____ (prénom)

_____ (numéro d'affiliation)

II – Eléments à attester par le médecin spécialiste (cocher les cases appropriées)

Je soussigné, docteur en médecine

pédiatre (possédant une compétence particulière en néphrologie) (numéro 690)

néphrologue (numéro 580/584)

expérimenté dans le diagnostic et traitement de la STB, déclare que le patient mentionné ci-dessus présente:

- un **angiomyolipome rénal (AML) associé à une TSC avec risque de complications, mais qui ne requiert pas d'intervention chirurgicale immédiate.**

1. **Il s'agit d'une première autorisation de remboursement pour le traitement de AML (l'autorisation de remboursement est valable pour 9 mois après une première demande):**

Je certifie que le bénéficiaire remplit les conditions suivantes:

le diagnostic de STB a été établi sur base de critères cliniques (caractéristiques primaires et secondaires) (Northrup et al, 2013) et/ou une mutation pathogène du gène *TSC1* ou *TSC2* ;

ET

Le patient présente un risque important d'hémorragie rénale due à la grandeur de la tumeur (≥ 3 cm);

ET

Le patient ne requiert pas de chirurgie immédiate (embolisation et/ou néphrectomie partielle).

La demande de remboursement a été discutée en concertation multidisciplinaire STB d'experts pour AML, incluant un néphrologue, un radiologue interventionnel et un urologue.

II.2. **Mesure transitoire**

J'atteste qu'il s'agit d'un patient qui a été traité par le VOTUBIA® non remboursable pour AML associé à une STB dans le cadre d'un Programme Medical Need.

depuis une période > 1 an, et que le patient montre une stabilisation des lésions cibles AML (= absence de progression $\geq 20\%$ versus NADIR) par rapport à l'année précédente; **(pour une période de 15 mois)**

depuis une période de ≤ 6 mois.

Le traitement de Votubia® a débuté le

Je m'engage à effectuer une évaluation de l'effet thérapeutique de Votubia® par imagerie médicale après 6 mois de traitement : autrement dit une diminution de la somme de toutes les lésions cibles AML $\geq 30\%$ par rapport à l'évaluation de base, démontré par imagerie médicale. **(demande pour une période 9 mois depuis le début de traitement avec Votubia®)**

à partir d'une période de >6 mois et ≤ 1 an.

Le traitement de Votubia® a débuté le

Je m'engage à effectuer l'évaluation de l'effet thérapeutique de Votubia® par imagerie médicale après 12 mois de traitement : autrement dit une diminution de la somme de toutes les lésions cibles AML $\geq 50\%$ par rapport à l'évaluation de base, démontré par imagerie médicale **(demande pour une période de 15 mois depuis le début de traitement avec Votubia®)**

3. **Il s'agit d'une demande pour une première prolongation pour le traitement de l'AML (pour une période de 6 mois) :**

J'atteste que ce patient a déjà reçu le remboursement de la spécialité VOTUBIA® sur base de tous les critères du point a) du § 8180000 du chapitre IV de l'A.R. du 21.12.2001, et j'atteste que le traitement a apporté le bénéfice clinique permettant la prolongation chez ce patient.

J'atteste, via imagerie médicale, faite après 6 mois de traitement qu'une diminution $\geq 30\%$ de la somme de toutes les lésions cibles AML a été démontrée en comparaison avec la situation avant traitement.

4. **Il s'agit d'une demande pour une deuxième prolongation (après au moins 12 mois de traitement) pour le traitement de l'AML (pour une période de 12 mois) :**

