CONSEIL D'ETAT
LEGISLATION
13 -08- 2018
RAAD VAN STATE
WETGEVING

64162/2/2V

KONINKRIJK BELGIE

FEDERALE OVERHEIDSDIENST
SOCIALE ZEKERHEID

SEPTEMBER 2018. – Ministerieel besluit tot wijziging van de lijst gevoegd bij het koninklijk besluit van 1 februari 2018 tot vaststelling van de procedures, termijnen en voorwaarden inzake de tegemoetkoming van de verplichte verzekering voor geneeskundige verzorging en uitkeringen in de kosten van farmaceutische specialiteiten.

De Minister van Sociale Zaken,

Gelet op de wet betreffende de verplichte verzekering voor geneeskundige verzorging en uitkeringen, gecoördineerd op 14 juli 1994, artikel 35bis, § 1, ingevoegd bij de wet van 10 augustus 2001 en laatstelijk gewijzigd bij de wet van 27 december 2005, § 2, ingevoegd bij de wet van 10 augustus 2001 en laatstelijk gewijzigd bij de wet van 22 juni 2016, en artikel 72bis, § 1bis, eerste lid, derde en laatste zinnen, ingevoegd bij de wet van 22 december 2008 en laatstelijk gewijzigd bij de wet van 22 juni 2016, en § 2, tweede en derde lid, vervangen bij de wet van 22 december 2008;

Gelet op het koninklijk besluit van 21 december 2001 tot vaststelling van de procedures, termijnen en voorwaarden inzake de tegemoetkoming van de verplichte verzekering voor geneeskundige verzorging en uitkeringen in de kosten van farmaceutische specialiteiten, artikel 38, zoals tot op heden gewijzigd;

Gelet op het koninklijk besluit van 1 februari 2018 tot vaststelling van de procedures, termijnen en voorwaarden inzake de tegemoetkoming van de verplichte verzekering voor geneeskundige verzorging en uitkeringen in de kosten van farmaceutische specialiteiten, artikel 59;

Gelet op het advies van de inspecteur van financiën, gegeven op 19 april 2018 en op 03 juli 2018;

Gelet op de akkoordbevinding van Onze Minister van Begroting van 24 april 2018 en van 04 juli 2018;

Gelet op de notificatie aan de aanvrager op 5 en 9 juli 2018;

Gelet op het advies nr. van de Raad van State, gegeven op augustus 2018 met toepassing van artikel 84, § 1, eerste lid, 2°, van de wetten op de Raad van State, gecoördineerd op 12 januari 1973;

Besluit:

ROYAUME DE BELGIQUE

SERVICE PUBLIC FEDERAL
SECURITE SOCIALE

SEPTEMBRE 2018. - Arrêté ministériel modifiant la liste jointe à l'arrêté royal du 1er février 2018 fixant les procédures, délais et conditions en matière d'intervention de l'assurance obligatoire soins de santé et indemnités dans le coût des spécialités pharmaceutiques.

La Ministre des Affaires sociales,

Vu la loi relative à l'assurance obligatoire soins de santé et indemnités, coordonnée le 14 juillet 1994, l'article 35bis, § 1, inséré par la loi du 10 août 2001 et modifié en dernier lieu par la loi de 27 décembre 2005, § 2, inséré par la loi du 10 août 2001 et modifié en dernier lieu par la loi du 22 juin 2016, et l'article 72bis, § 1bis, alinéa 1er, troisième et dernière phrases, inséré par la loi du 22 décembre 2008 et modifié en dernier lieu par la loi du 22 juin 2016, et § 2, deuxième et troisième alinéa, remplacé par la loi du 22 décembre 2008;

Vu l'arrêté royal du 21 décembre 2001 fixant les procédures, délais et conditions en matière d'intervention de l'assurance obligatoire soins de santé et indemnités dans le coût des spécialités pharmaceutiques, l'article 38, tel qu'il a été modifié à ce jour;

Vu l'arrêté royal du 1er février 2018 fixant les procédures, délais et conditions en matière d'intervention de l'assurance obligatoire soins de santé et indemnités dans le coût des spécialités pharmaceutiques, l'article 59;

Vu l'avis émis par l'inspecteur des finances donné le 19 avril 2018 et le 03 juillet 2018 ;

Vu l'accord de Notre Ministre du Budget du 24 avril 2018 et du 04 juillet 2018 ;

Vu la notification au demandeur des 5 et 9 juillet 2018;

Vu l'avis n° du Conseil d'Etat, donné le août 2018, en application de l'article 84, § 1er, alinéa 1er, 2°, des lois sur le Conseil d'Etat, coordonnées le 12 janvier 1973;

Arrête:

Artikel 1. – In de bijlage I van het koninklijk besluit van 1 februari 2018 tot vaststelling van de procedures, termijnen en voorwaarden inzake de tegemoetkoming van de verplichte verzekering voor geneeskundige verzorging en uitkeringen in de kosten van farmaceutische specialiteiten, zoals tot op heden gewijzigd, worden de volgende wijzigingen aangebracht:

Article 1er. - A l'annexe I de l'arrêté royal du 1er février 2018 fixant les procédures, délais et conditions en matière d'intervention de l'assurance obligatoire soins de santé et indemnités dans le coût des spécialités pharmaceutiques, tel qu'il a été modifié à ce jour, sont apportées les modifications suivantes:

1° in hoofdstuk I:

a) worden de volgende specialiteiten geschrapt:

1° au chapitre I:

a) les spécialités suivantes sont supprimées:

Benaming / Dénomination (Aanvrager/Demandeur)					
Cat.	Code	Verpakkingen	Conditionnements	Opm Obs	
PROPOFOL 1 %		FRESENIUS KABI			ATC: N01AX10
	0764-035	***1 injectieflacon 100 ml emulsie voor infusie, 10 g/l***	***1 flacon injectable 100 ml émulsion pour perfusion, 10 g/l***		
A-30 *	0764-035	1 injectieflacon 100 mL emulsie voor infusie, 10 mg/mL	1 flacon injectable 100 mL émulsion pour perfusion, 10 mg/mL	G	
A-30 **	0764-035	1 injectieflacon 100 mL emulsie voor infusie, 10 mg/mL	1 flacon injectable 100 mL émulsion pour perfusion, 10 mg/mL	G	
PROPOFOL 1 %		FRESENIUS KABI			ATC: N01AX10
	0764-019	***1 ampul 20 ml emulsie voor infusie, 10 g/l***	***1 ampoule 20 ml émulsion pour perfusion, 10 g/l***		
A-30 *	0764-019	1 ampul 20 mL emulsie voor infusie, 10 mg/mL	1 ampoule 20 mL émulsion pour perfusion, 10 mg/mL	G	
A-30 **	0764-019	1 ampul 20 mL emulsie voor infusie, 10 mg/mL	1 ampoule 20 mL émulsion pour perfusion, 10 mg/mL	G	
PROPOFOL 1 %		FRESENIUS KABI			ATC: N01AX10
	0764-027	***1 injectieflacon 50 ml emulsie voor infusie, 10 g/l***	***1 flacon injectable 50 ml émulsion pour perfusion, 10 g/l***		
A-30 *	0764-027	1 injectieflacon 50 mL emulsie voor infusie, 10 mg/mL	1 flacon injectable 50 mL émulsion pour perfusion, 10 mg/mL	G	
A-30 **	0764-027	1 injectieflacon 50 mL emulsie voor infusie, 10 mg/mL	1 flacon injectable 50 mL émulsion pour perfusion, 10 mg/mL	G	
VARIQUEL 1 mg		PFIZER			ATC: H01BA04
	0797-035	***5 injectieflacons 1 mg poeder voor oplossing voor injectie, 0,2 mg/ml***	***5 flacons injectables 1 mg poudre pour solution injectable, 0,2 mg/ml***		
B-199 *	0797-035	1 injectieflacon (+ ampul) 1 mg oplossing voor injectie, 0,2 mg/mL	1 flacon injectable (+ ampoule) 1 mg solution injectable, 0,2 mg/mL	G	
B-199 **	0797-035	1 injectieflacon (+ ampul) 1 mg oplossing voor injectie, 0,2 mg/mL	1 flacon injectable (+ ampoule) 1 mg solution injectable, 0,2 mg/mL	G	
ZINACEF 1500 mg		GLAXOSMITHKLINE PHARMACEUTICALS	(zie ook hoofdstuk: IV / voir aussi chapitre: IV)		ATC: J01DC02
	0721-522	***1 injectieflacon 1500 mg poeder voor oplossing voor infusie, 1500 mg***	***1 flacon injectable 1500 mg poudre pour solution pour perfusion, 1500 mg***		
B-111 **	0721-522	1 injectieflacon 1500 mg oplossing voor infusie, 1500 mg	1 flacon injectable 1500 mg solution pour perfusion, 1500 mg	R	

2° in hoofdstuk IV:

a) In § 440201, worden de volgende specialiteiten geschrapt:

2° au chapitre IV:

a) Au § 440201, les spécialités suivantes sont supprimées:

Benaming / Dénomination (Aanvrager/Demandeur)					
Cat.	Code	Verpakkingen	Conditionnements	Opm Obs	
ZINACEF 1500 mg			GLAXOSMITHKLINE PHARMACEUTICALS	(zie ook hoofdstuk: I / voir aussi chapitre: I)	ATC: J01DC02
B-111	0098-764	1 injectieflacon 1500 mg poeder voor oplossing voor infusie, 1500 mg	1 flacon injectable 1500 mg poudre pour solution pour perfusion, 1500 mg	R	
	0098-764				
B-111 *	0721-522	1 injectieflacon 1500 mg oplossing voor infusie, 1500 mg	1 flacon injectable 1500 mg solution pour perfusion, 1500 mg	R	

b) In § 440400, worden de volgende specialiteiten geschrapt:

b) Au § 440400, les spécialités suivantes sont supprimées:

Benaming / Dénomination (Aanvrager/Demandeur)					
Cat.	Code	Verpakkingen	Conditionnements	Opm Obs	
ZINACEF 1500 mg			GLAXOSMITHKLINE PHARMACEUTICALS	(zie ook hoofdstuk: I / voir aussi chapitre: I)	ATC: J01DC02
B-111	0098-764	1 injectieflacon 1500 mg poeder voor oplossing voor infusie, 1500 mg	1 flacon injectable 1500 mg poudre pour solution pour perfusion, 1500 mg	R	
	0098-764				
B-111 *	0721-522	1 injectieflacon 1500 mg oplossing voor infusie, 1500 mg	1 flacon injectable 1500 mg solution pour perfusion, 1500 mg	R	

c) In § 1320101, worden de volgende specialiteiten geschrapt:

c) Au § 1320101, les spécialités suivantes sont supprimées:

Benaming / Dénomination (Aanvrager/Demandeur)					
Cat.	Code	Verpakkingen	Conditionnements	Opm Obs	
EMTRICITABIN/TENOFOVIR DISOPROXIL SANDOZ 200 mg/245 mg			SANDOZ		ATC: J05AR03
A-20	3605-029	30 filmomhulde tabletten, 200 mg/ 245 mg	30 comprimés pelliculés, 200 mg/ 245 mg	G	
	3605-029				
A-20 *	7720-477	1 filmomhulde tablet, 200 mg/ 245 mg	1 comprimé pelliculé, 200 mg/ 245 mg	G	
A-20 **	7720-477	1 filmomhulde tablet, 200 mg/ 245 mg	1 comprimé pelliculé, 200 mg/ 245 mg	G	
A-20 ***	7720-477	1 filmomhulde tablet, 200 mg/ 245 mg	1 comprimé pelliculé, 200 mg/ 245 mg	G	

d) in § 4180000, worden de vergoedingsvoorwaarden

d) au § 4180000, les modalités de remboursement sont

vervangen als volgt:

Paragraphe 4180000

a) De specialiteit wordt terugbetaald als deze gebruikt wordt

1. voor langdurige enzym-substitutietherapie bij rechthebbenden met een bevestigde diagnose van de ziekte van Pompe (zure α-glucosidase-deficiëntie) met aanwezigheid van klinische symptomen.

   De diagnose moet bevestigd worden door:

   - een verminderde activiteit van het zure α-glucosidase (zure maltase) gemeten op cultuur van huid-fibroblasten;
   - en een DNA-analyse met aantonen van 2 pathogene mutaties in het *GAA*-gen. In geval slechts 1 pathogene mutatie wordt gevonden moet een lysosomale glycogeenopstapeling worden aangetoond in een spierbiopsie (vacuolaire myopathie);
   - en een klinisch beeld met expressie van:

     Voor de infantiele vorm van de aandoening (Infantile-Onset Pompe Disease: IOPD):

     - een gedocumenteerde cardiopathie en/of
     - een achterstand in de motorische ontwikkeling op de BAYLEY of PEDI schaal en/of
     - een gedocumenteerde myopathie van de proximale spieren en/of
     - een gedocumenteerde myopathie van de ademhalingsspieren.

     Voor de tardieve vorm van de aandoening (Late-Onset Pompe Disease: LOPD):

     - een gedocumenteerde myopathie van de proximale spieren die de levenskwaliteit negatief beïnvloedt en/of
     - een gedocumenteerde myopathie van de ademhalingsspieren

   Voor deze tardieve vorm van de aandoening worden uitgesloten van de terugbetaling van de behandeling patiënten:

   - bij wie de biochemische of genetische diagnose wordt bevestigd maar die geen symptoom of klinisch teken vertonen van een aantasting van de spier- of ademhalingsfunctie die de levenskwaliteit negatief kan beïnvloeden;

remplacées par les modalités suivantes:

Paragraaf 4180000

a) La spécialité mentionnée est remboursée si elle est utilisée

1. pour le traitement enzymatique substitutif à long terme chez des bénéficiaires avec un 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 (maltase acide) confirmée, sur culture de fibroblastes cutanés;
   - et un test ADN montrant la présence de 2 mutations pathogènes du gène *GAA*. En présence d'une seule mutation pathogène, une surcharge en glycogène lysosomal doit être démontrée dans une biopsie musculaire (myopathie vacuolaire);
   - et une image clinique comprenant:

     Pour la forme infantile de la maladie (Infantile- Onset Pompe Disease: IOPD):

     - une cardiopathie documentée et/ou
     - un retard dans le développement moteur utilisant l'échelle de BEYLEY ou de PEDI et/ou
     - une myopathie documentée des muscles proximaux et/ou
     - une myopathie documentée des muscles respiratoires.

     Pour la forme tardive de la maladie (Late-Onset Pompe Disease: LOPD):

     - une myopathie documentée des muscles proximaux affectant la qualité de vie de façon négative et/ou
     - une myopathie documentée des muscles respiratoires.

   Pour cette forme tardive de l'affection, sont exclus du remboursement du traitement les patients:

   - chez qui le diagnostic biochimique ou génétique est établi mais ne présentant ni symptôme, ni signe clinique d'une atteinte musculaire ou respiratoire pouvant affecter la qualité de vie de façon négative;

- die een resterende skeletspier- en ademhalingsspierfunctie hebben die niet meer als functioneel relevant beschouwd kan worden en/of die klinisch niet meer belangrijk is om te behouden of te verbeteren;

- die een chronische invasieve mechanische ventilatie (tracheostomie of endotracheale tube) vereisen;

- met een ernstige of terminale ziekte (andere dan de ziekte van Pompe) die de levensverwachting significant vermindert.

Het klinische beeld en de voorgeschiedenis van de patiënt dienen gedocumenteerd te worden.

2. voor de verlenging van een behandeling, beschreven in a) 1. voor nieuwe perioden van maximum 12 maanden.

In de aanvraag voor verlenging van de vergoeding

2.1. Bevestigt de arts-specialist, vermeld onder punt c, die verantwoordelijk is voor de behandeling dat de behandeling doeltreffend was, op basis van zesmaandelijkse evaluaties van volgende elementen

Infantiele vorm van de aandoening (IOPD):

- hartgrootte en – functie en

- beademingsbehoeften en longfunctie en

- spierkracht, -verzwakking en –functie.

Tardieve vorm van de aandoening (LOPD):

- hartfunctie en

- beademingsbehoeften en longfunctie en

- spierkracht, -verzwakking en –functie.

Een verlenging van de terugbetaling wordt niet toegestaan in de volgende gevallen:

- Geen therapietrouw aan de behandeling;

- Afwezigheid van antwoord op de behandeling bewezen door afwezigheid van een gunstig effect op de deterioratie van spier- en/of ademhalingsfunctie, in de late vormen van de ziekte, na 12 maanden behandeling;

- De patiënt lijdt aan ernstige infusiegerelateerde bijwerkingen die niet adequaat behandeld kunnen worden;

- qui ont une fonction résiduelle du muscle squelettique et du muscle respiratoire qui ne peut plus être considérée comme fonctionnellement pertinente et/ou qui n'est plus cliniquement importante pour maintenir ou améliorer;

- nécessitant une ventilation assistée invasive chronique (trachéostomie ou tube endotrachéal);

- présentant une maladie sévère ou terminale (autre que la maladie de Pompe) diminuant de façon significative le pronostic vital.

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

2. pour la demande de prolongation du traitement, décrit sous a) 1. pour de nouvelles périodes de maximum 12 mois.

Dans la demande de prolongation du remboursement.

2.1 Le médecin spécialiste, décrit au point c), qui est responsable pour le traitement confirme que le traitement a été efficace, sur base des évaluations semestrielles des éléments suivants:

Forme infantile de la maladie (IOPD):

- taille et fonction cardiaque et

- besoins respiratoires et fonction pulmonaire et

- puissance, affaiblissement et fonction musculaires.

Forme tardive de la maladie (LOPD):

- fonction cardiaque et

- besoins respiratoires et fonction pulmonaire et

- puissance, affaiblissement et fonction musculaires.

Une prolongation du remboursement ne sera pas accordée dans les cas suivants:

- Absence d'adhérence au traitement;

- Absence de réponse au traitement, démontrée par une absence d'effet favorable sur la détérioration de la fonction musculaire et/ou respiratoire, dans les formes tardives de la maladie, après 12 mois de traitement ;

- Le patient souffre d'effets secondaires sérieux liés à la perfusion qui ne peuvent pas être traités de manière adéquate ;

- Er zijn hoge antilichaamtiters gedetecteerd die zorgen voor een significante afname van het effect van de behandeling, ondanks de behandeling met immunomodulerende middelen;

- De patiënt zelf wenst te stoppen met de behandeling.

2.2. Motiveert de behandelende arts de wenselijkheid van het verderzetten van de behandeling.

De terugbetaling kan enkel toegestaan worden indien zowel bij aanvang van de behandeling als bij iedere zesmaandelijkse evaluatie (± 1 maand) een evaluatie van de klinische status van de patiënt uitgevoerd wordt met bepaling van tenminste de volgende parameters:

• Uitsluitend voor de infantiele vorm van de aandoening (IOPD):

- Linkerventrikel-massa-index (Left Ventricular Mass Index: LVMI), uitgedrukt in g/m²;

- Score op de BAYLEY- of PEDI-schaal;

• Voor zowel de infantiele vorm (IOPD) als de tardieve vorm (LOPD) van de aandoening:

- Elektrocardiogram voor de identificatie van ritmestoornissen;

- 6 minuten looptest (6-Minute Walk Test: 6MWT), uitgedrukt in meter;

- Geforceerde vitale capaciteit (Forced Vital Capacity: FVC) in zittende houding en liggende houding, uitgedrukt in liters;

- Manuele spierkrachtmeting op basis van de Medical Research Council (MRC) klassificatie voor de schouderabductoren, de elleboogflexoren, de elleboogextensoren, de knieflexoren, de knijpkracht en de heupflexoren, telkens uitgedrukt op een schaal van 0 – 5;

- Indien 6MWT of manuele spierkracht meting op basis van MRC niet mogelijk of niet betrouwbaar zijn bij jonge patiënten met de tardieve vorm (LOPD), de score op de BAYLEY- of PEDI-schaal;

- Indien nood aan chronische mechanische ventilatie, het gemiddeld aantal uren mechanische ventilatie per etmaal.

Indien bepaalde parameters bij de patiënt niet bepaald kunnen worden moet hiervoor de reden vermeld worden.

b) Het aantal terugbetaalbare verpakkingen zal rekening houden met een maximale posologie van 20 mg/kg lichaamsgewicht per tweewekelijkse infusie.

- Des titres d'anticorps élevés ont été détectés et rendent compte d'une diminution significative de l'effet du traitement malgré un traitement par des agents immunomodulateurs ;

- Le patient lui-même souhaite arrêter le traitement.

2.2. Le médecin traitant motive le souhait de continuer le traitement.

Le remboursement peut seulement être accordé si une évaluation de l'état clinique du patient est effectuée à la fois au début du traitement et à chaque évaluation semestrielle (± 1 mois) avec la détermination d'au moins les paramètres suivants:

• Seulement pour la forme infantile de la maladie (IOPD):

- Indice de masse ventriculaire gauche (Left Ventricular Mass Index: LVMI), exprimé en g/m² ;

- Score sur l'échelle de BAYLEY ou PEDI ;

• Pour la forme infantile (IOPD) et la forme tardive (LOPD) de la maladie :

- Electrocardiogramme pour l'identification des arythmies ;

- Test de marche de 6 minutes (6-Minute Walk Test: 6MWT), exprimé en mètres ;

- Capacité vitale forcée (Forced Vital Capacity: FVC) en position assise et en position couchée, exprimée en litres ;

- 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 ou la mesure manuelle sur la base du MRC ne sont pas possible à réaliser ou ne sont pas fiables chez les jeunes patients atteints de la forme tardive (LOPD), le score sur l'échelle de BAYLEY ou PEDI ;

- Si besoin chronique de ventilation mécanique, le nombre d'heures moyennes de ventilation assistée par 24 heures.

Lorsque certains paramètres ne peuvent pas être déterminés chez le patient, la raison doit être indiquée.

b) Le nombre de conditionnements remboursables tiendra compte d'une posologie maximum de 20 mg/kg de poids corporel par perfusion toutes les deux semaines.

c) De vergoeding hangt af van het voorafgaand ter beschikking stellen aan de adviserend arts van alle protocols van alle uitgevoerde onderzoeken, en, in alle gevallen, van een aanvraagformulier, waarvan het model in bijlage A van de huidige paragraaf is overgenomen. Het model in bijlage A wordt ingevuld en ondertekend door een arts-specialist verbonden aan een erkend Centrum in het kader van de Conventies van revalidatie van begunstigden die lijden aan een zeldzame erfelijke monogenetische metabole aandoening (CEMA) of een erkend Centrum in het kader van de revalidatieovereenkomsten voor patiënten lijdend aan neuromusculaire ziekten (NMRC of Neuromusculair Referentie Centrum)

Door dit formulier in te vullen in de ad hoc rubrieken doet de boven vermelde arts-specialist, gelijktijdig:

1. Hij vermeldt de elementen die betrekking hebben op de diagnosestelling en, indien het een aanvraag tot verlenging van de vergoeding betreft, de elementen die betrekking hebben op de klinische evolutie van de patiënt

2. Hij vermeldt de elementen die toelaten:

2.1. het boven vermeld Centrum te identificeren waaraan hij verbonden is;

2.2. de betrokken ziekenhuisapotheker te identificeren, die samenwerkt met het vermelde Centrum

3. Hij verbindt zich ertoe om de bewijsstukken die de geattesteerde gegevens staven ter beschikking te stellen aan de adviserend arts.

4. Hij verbindt zich ertoe om mee te werken, in toepassing van punt f) hieronder, aan de registratie en verzameling van de gecodeerde gegevens die betrekking hebben op de evolutie en uitkomst van de betrokken patiënt.

d) De vergoeding wordt toegestaan door de adviserend arts voor periodes van 12 maanden, in toepassing van de procedure bedoeld in de artikels 7, 8, 9 van het Koninklijk Besluit van 8 juli 2004 betreffende de terugbetalingsreglementering van weesgeneesmiddelen, die de vergoeding onderwerpt aan een onderzoek door het College van geneesheren voor weesgeneesmiddelen, opgericht door de Koning in toepassing van artikel 35bis, § 10 van de Wet over de verplichte verzekering van de gezondheidszorg en schade gecoördineerd op 14 juli 1994.

Onafgezien van de voorziene beschikkingen door bovenstaande procedure, zorgt de adviserend arts, in geval van positieve beslissing:

1. Hij verleent aan de betrokken begunstigde een specifiek en uniek nummer, dat zodanig gecodeerd is dat de identificatie van de begunstigde door derden onmogelijk is. Dit nummer moet de identificatie van de verzekeringsinstelling bevatten alsook de data van begin en einde van de toegestane periode.

c) Le remboursement est conditionné par la fourniture préalable au médecin-conseil de tous les protocoles de tous les examens établis, et, dans tous les cas, d'un formulaire de demande dont le modèle est repris à l'annexe A du présent paragraphe. Le modèle repris à l'annexe A doit être signé et dûment complété par le 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 (CRNM ou Centre de Référence Neuromusculaire).

En complétant ainsi ce formulaire aux rubriques ad hoc, le médecin spécialiste susvisé, simultanément:

1. Mentionne les éléments relatifs au diagnostic et, s'il s'agit d'une demande de prolongation du remboursement, les éléments relatifs à l'évolution clinique du patient.

2. Mentionne les éléments permettant :

2.1. d'identifier le Centre reconnu susvisé auquel il est attaché;

2.2. d'identifier un pharmacien hospitalier de référence, collaborant avec le Centre concerné.

3. S'engage à tenir à la disposition du médecin-conseil les éléments de preuve confirmant les éléments attestés.

4. S'engage à collaborer, en application du point f) ci-dessous, à l'enregistrement et la collecte des données codées relatives à l'évolution et au devenir du patient concerné.

d) Le remboursement est autorisé par le médecin-conseil par périodes de 12 mois, en application de la procédure visée aux articles 7, 8, et 9 de l'arrêté royal du 8 juillet 2004 relatif au remboursement des médicaments orphelins, lequel soumet le remboursement à un examen du Collège des médecins pour les médicaments orphelins, établie par le Roi dans l'application de l'article 35bis, § 10 de la Loi relative à l'assurance obligatoire soins de santé et indemnités coordonnée le 14 juillet 1994.

Sans préjudice des dispositions prévues par la procédure susvisée, le médecin-conseil, en cas de décision positive:

1. Attribue au bénéficiaire concerné un numéro spécifique, unique, codé de façon à rendre impossible l'identification du bénéficiaire par des tiers. Dans ce numéro doit figurer l'identification de l'organisme assureur ainsi que les dates de début et de fin de période autorisée.

2. Hij deelt bovenvermelde aanvragende arts het unieke nummer mee toegekend aan zijn patiënt, alsook de data van begin en einde van de toegestane periode.

3. Hij bezorgt aan de ziekenhuisapotheker, bedoeld in punt c) 2.3 hierboven, een document die de identificatie van de begunstigde en de aanvragende arts bevat, alsook de data van begin en einde van de toegestane periode.

e) De vergoeding kan slechts toegekend worden indien de betrokken apotheker, voorafgaand aan de aflevering, een kopie van het document bezit bedoeld onder punt d) 3. Met het oog hierop moet de afleverende apotheker dit attest of deze kopie hechten aan de globale individuele factuur van de betrokken patiënt.

f) Teneinde de Commissie Tegemoetkoming Geneesmiddelen toe te laten haar taken uit te voeren zoals bepaald in artikel 29bis en 35bis van de Wet, meer bepaald een verdere wijziging van de inschrijving van de farmaceutische specialiteit, wordt de vergoeding van de specialiteit toegestaan voor zover de gecodeerde gegevens over de evolutie en uitkomst van begunstigden die deze vergoeding ontvangen, geregistreerd worden en voorwerp van een evaluatie kunnen worden. De modaliteiten eigen aan de aard van de gegevens, de registratie, de verzameling en de evaluatie worden vastgelegd door de Minister op voorstel van de Commissie Tegemoetkoming Geneesmiddelen, na advies van de Commissie over de bescherming van de privé-sfeer.

2. Communique au médecin demandeur susvisé le numéro unique attribué à son patient, ainsi que les dates de début et de fin de la période autorisée

3. Communique au pharmacien hospitalier visé au point c) 2.3. ci-dessus, un document sur lequel figure l'identification du bénéficiaire et du médecin demandeur, avec les dates de début et de fin de la période autorisée.

e) Le remboursement ne peut être accordé que si le pharmacien dispensateur dispose, préalablement à la dispensation d'une copie du document visé au point d) 3. A cet effet, le pharmacien dispensateur doit joindre cette attestation ou cette copie à la facture intégrée individuelle du patient concerné.

f) Afin de permettre à la Commission de Remboursement des Médicaments d'exécuter les missions définies à l'article 29bis et 35bis de la Loi, notamment en ce qui concerne une modification ultérieure de l'inscription de la spécialité pharmaceutique, le remboursement de la spécialité est accordé pour autant que des données codées, relatives à l'évolution et au devenir des bénéficiaires recevant ce remboursement, puissent être enregistrées et puissent faire l'objet d'une évaluation. Les modalités relatives à la nature des données, à l'enregistrement, à la collecte et à l'évaluation sont fixées par le Ministre sur la proposition de la Commission de Remboursement des Médicaments après avis de la Commission de la protection de la vie privée.

BIJLAGE A: model van aanvraagformulier:
Aanvraagformulier voor vergoeding van de specialiteit MYOZYME (§ 4180000 van hoofdstuk IV van het K.B. van 1 februari 2018)

<u>I - Identificatie van de begunstigde (naam, voornaam, inschrijvingsnummer bij de verzekeringsinstelling):</u>

|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_| (naam)

|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_| (voornaam)

|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_| (aansluitingsnummer)

<u>II - Elementen te bevestigen door een arts-specialist verbonden aan een Centrum in het kader van de Conventies van revalidatie van begunstigden die lijden aan een zeldzame erfelijke monogenetische metabole aandoening of een Centrum in het kader van de revalidatieovereenkomsten voor patiënten lijdend aan neuromusculaire ziekten:</u>

1. □ Eerste aanvraag in geval van infantiele vorm van de aandoening (IOPD):

Ik ondergetekende, arts-specialist erkend in .... (vermeld de specialisatie) verklaar dat de hierboven vermelde patiënt lijdt aan de infantiele vorm van de ziekte van Pompe (zure α-glucosidase-deficiëntie) met een bevestigde diagnose en met aanwezigheid van klinische symptomen.

Ik bevestig dat de diagnose werd gesteld op basis van:
□ een verminderde activiteit aan zure α-glucosidase op cultuur van huid-fibroblasten ~~en~~

EN

□ een genetische DNA analyse waarbij 2 pathogene mutaties van het *GAA*-gen worden gevonden, OF
□ *een lysosomale glycogeenopstapeling in een spierbiopsie (vacuolaire myopathie)
(* een lysosomale glycogeenopstapeling moet in een spierbiopsie aangetoond worden in geval slechts één pathogene mutatie van het *GAA*-gen gevonden wordt)

EN

☐ een klinisch beeld met :
- een gedocumenteerde cardiopathie en/of
- een achterstand in de motorische ontwikkeling gebruikmakend van de BAYLEY of PEDI schaal en/of
- een gedocumenteerde myopathie van de proximale spieren en/of
- een gedocumenteerde myopathie van de ademhalingsspieren.

☐ Ik verbind mij er toe het klinisch beeld en de voorgeschiedenis van de patiënt te documenteren
☐ Wat de verdere klinische evolutie van mijn patiënt aangaat tijdens de toediening van de vergoede behandeling met de specialiteit MYOZYME, verbind ik er mij toe zesmaandelijkse evaluaties te verschaffen met de documentering van minstens de volgende elementen:
- hartfunctie, geëvalueerd met behulp van een elektrocardiogram;
- hartgrootte, gemeten aan de hand van de Linkerventrikel-massa-index (Left Ventricular Mass Index: LVMI) en uitgedrukt in g/m²;
- spierkracht, -functie en -verval, gedocumenteerd op basis van:
  - ofwel een score op de BAYLEY-schaal of op de PEDI-schaal
  - ofwel indien mogelijk:
    - 6 minuten looptest (6-Minute Walk Test: 6MWT), uitgedrukt in meter, en
    - manuele spierkrachtmeting op basis van de Medical Research Council (MRC) klassificatie voor de schouderabductoren, de elleboogflexoren, de elleboogextensoren, de knieflexoren, de knijpkracht en de heupflexoren, telkens uitgedrukt op een schaal van 0 – 5;
- beademingsbehoeften, met indien van toepassing specificering of de beademing invasief/niet-invasief is en de vermelding van het gemiddeld aantal uren mechanische ventilatie per etmaal;
- longfunctie indien mogelijk, gemeten op basis van geforceerde vitale capaciteit (Forced Vital Capacity: FVC) in zittende houding en liggende houding, uitgedrukt in liters.

Indien bepaalde parameters bij mijn patiënt niet bepaald kunnen worden verbind ik mij er toe hiervoor de reden te vermelden.

Ik bevestig dat deze patiënt een vergoeding dient te verkrijgen van een behandeling met de specialiteit MYOZYME voor 12 maanden met een posologie van ⊔⊔ mg/kg lichaamsgewicht per tweewekelijkse perfusie (maximum 20 mg/kg/2 weken).

2. ☐ Eerste aanvraag in geval van tardieve vorm van de aandoening (LOPD):

Ik ondergetekende, arts-specialist erkend in …… (vermeld de specialisatie) verklaar dat de hierboven vermelde patiënt lijdt aan de tardieve vorm van de ziekte van Pompe (zure α-glucosidase-deficiëntie) met een bevestigde diagnose en met aanwezigheid van klinische symptomen.

Ik bevestig dat de diagnose werd gesteld op basis van:
☐ een verminderde activiteit aan zure α-glucosidase op cultuur van huid-fibroblasten

EN

☐ een genetische DNA analyse waarbij 2 pathogene mutaties van het *GAA*-gen worden gevonden, OF
☐ *een lysosomale glycogeenopstapeling in een spierbiopsie (vacuolaire myopathie)
(* een lysosomale glycogeenopstapeling moet in een spierbiopsie aangetoond worden in geval slechts één pathogene mutatie van het *GAA*-gen gevonden wordt)

EN

☐ een klinisch beeld met :
- een gedocumenteerde myopathie van de proximale spieren die de levenskwaliteit negatief beïnvloedt en/of
- een gedocumenteerde myopathie van de ademhalingsspieren Ik bevestig dat:
  ☐ mijn patiënt symptomen of klinische tekenen vertoont van een aantasting van de spier- en/of ademhalingsfunctie die de levenskwaliteit van mijn patiënt negatief kan beïnvloeden
  ☐ mijn patiënt een resterende skeletspier- en ademhalingsspierfunctie heeft die nog als functioneel relevant beschouwd kan worden en/of die klinisch nog belangrijk is om te behouden of te verbeteren;
  ☐ mijn patiënt geen chronische invasieve ventilatie (tracheostomie of endotracheale tube) vereist;
  ☐ mijn patiënt niet lijdt aan een ernstige of terminale ziekte (andere dan de ziekte van Pompe) die de levensverwachting significant vermindert.

☐ Ik verbind mij er toe het klinisch beeld en de voorgeschiedenis van de patiënt te documenteren

☐ Wat de verdere klinische evolutie van mijn patiënt aangaat tijdens de toediening van de vergoede behandeling met de specialiteit MYOZYME, verbind ik er mij toe zesmaandelijkse evaluaties te verschaffen met de documentering van minstens de volgende elementen:

- hartfunctie, geëvalueerd met behulp van een elektrocardiogram
- spierkracht, -functie en -verval, gedocumenteerd op basis van:
  - 6 minuten looptest (6-Minute Walk Test: 6MWT), uitgedrukt in meter, en
  - manuele spierkrachtmeting op basis van de Medical Research Council (MRC) klassificatie voor de schouderabductoren, de elleboogflexoren, de elleboogextensoren, de knieflexoren, de knijpkracht en de heupflexoren, telkens uitgedrukt op een schaal van 0 – 5;

  indien 6MWT en manuele spierkracht meting op basis van MRC niet mogelijk of niet betrouwbaar zijn bij jonge patiënten met de tardieve vorm van de ziekte (LOPD), moet ter vervanging de score op de BAYLEY- of PEDI-schaal gerapporteerd worden
- longfunctie, gemeten op basis van geforceerde vitale capaciteit (Forced Vital Capacity: FVC) in zittende houding en liggende houding, uitgedrukt in liters;
- beademingsbehoeften, met indien van toepassing de vermelding van het gemiddeld aantal uren mechanische ventilatie per etmaal.

Indien bepaalde parameters bij mijn patiënt niet bepaald kunnen worden verbind ik mij er toe hiervoor de reden te vermelden.

Ik bevestig dat deze patiënt een vergoeding dient te verkrijgen van een behandeling met de specialiteit MYOZYME voor 12 maanden met een posologie van ⊔⊔ mg/kg lichaamsgewicht per tweewekelijkse perfusie (maximum 20 mg/kg/2 weken).

3. ☐ Aanvraag tot verlenging in geval van infantiele vorm van de aandoening (IOPD):

Ik ondergetekende, arts-specialist erkend in ..... (vermeld de specialisatie) verklaar dat de hierboven vermelde patiënt lijdt aan de infantiele vorm van de ziekte van Pompe (zure α-glucosidase-deficiëntie) met een bevestigde diagnose en met aanwezigheid van klinische symptomen.

☐ Ik bevestig dat de behandeling doeltreffend was, op basis van de zesmaandelijkse evaluaties met documentering van minstens de volgende elementen (met vermelding van de reden indien bepaalde parameters niet bepaald kunnen worden):

- hartfunctie, geëvalueerd met behulp van een elektrocardiogram;
- hartgrootte, gemeten aan de hand van de Linkerventrikel-massa-index (Left Ventricular Mass Index: LVMI) en uitgedrukt in $g/m^{2,7}$;
- spierkracht, -functie en -verval, gedocumenteerd op basis van:
  - ofwel een score op de BAYLEY-schaal of op de PEDI-schaal
  - ofwel indien mogelijk:
    - 6 minuten looptest (6-Minute Walk Test: 6MWT), uitgedrukt in meter, en
    - manuele spierkrachtmeting op basis van de Medical Research Council (MRC) klassificatie voor de schouderabductoren, de elleboogflexoren, de elleboogextensoren, de knieflexoren, de knijpkracht en de heupflexoren, telkens uitgedrukt op een schaal van 0 – 5;
- beademingsbehoeften, met indien van toepassing specificering of de beademing invasief/niet-invasief is en de vermelding van het gemiddeld aantal uren mechanische ventilatie per etmaal;
- longfunctie indien mogelijk, gemeten op basis van geforceerde vitale capaciteit (Forced Vital Capacity: FVC) in zittende houding en liggende houding, uitgedrukt in liters;

Ik bevestig dat deze patiënt:

☐ trouw is aan de therapie, en
☐ niet lijdt aan ernstige infusiegerelateerde bijwerkingen die niet adequaat behandeld kunnen worden, en
☐ geen hoge antilichaamtiters heeft die zorgen voor een significante afname van het effect van de behandeling, ondanks de behandeling met immunomodulerende middelen.

In het tegenovergestelde geval, of in het geval de patiënt zelf wenst te stoppen met de behandeling, verbind ik me ertoe om de behandeling stop te zetten.

Ik bevestig dat deze patiënt een vergoeding dient te verkrijgen van een behandeling met de specialiteit MYOZYME voor 12 maanden met een posologie van ⊔⊔mg/kg lichaamsgewicht per tweewekelijkse perfusie (maximum 20 mg/kg/2 weken).

4. ☐ **Aanvraag tot verlenging in geval van tardieve vorm van de aandoening (LOPD):**

Ik ondergetekende, arts-specialist erkend in ..... (vermeld de specialisatie) verklaar dat de hierboven vermelde patiënt lijdt aan de tardieve vorm van de ziekte van Pompe (zure α-glucosidase-deficiëntie) met een bevestigde diagnose en met aanwezigheid van klinische symptomen.

☐ Ik bevestig dat de behandeling doeltreffend was, op basis van de zesmaandelijkse evaluaties met documentering van minstens de volgende elementen (met vermelding van de reden indien bepaalde parameters niet bepaald kunnen worden):
- hartfunctie, geëvalueerd met behulp van een elektrocardiogram;
- spierkracht, -functie en -verval, gedocumenteerd op basis van:
  - 6 minuten looptest (6-Minute Walk Test: 6MWT), uitgedrukt in meter, en
  - manuele spierkrachtmeting op basis van de Medical Research Council (MRC) klassificatie voor de schouderabductoren, de elleboogflexoren, de elleboogextensoren, de knieflexoren, de knijpkracht en de heupflexoren, telkens uitgedrukt op een schaal van 0 – 5;

  indien 6MWT en manuele spierkracht meting op basis van MRC niet mogelijk of niet betrouwbaar zijn bij jonge patiënten met de tardieve vorm (LOPD), moet ter vervanging de score op de BAYLEY- of PEDI-schaal gerapporteerd worden;
- longfunctie, gemeten op basis van geforceerde vitale capaciteit (Forced Vital Capacity: FVC) in zittende houding en liggende houding, uitgedrukt in liters;
- beademingsbehoeften, met indien van toepassing de vermelding van het gemiddeld aantal uren mechanische ventilatie per etmaal;

Ik bevestig dat deze patiënt:
- ☐ trouw is aan de therapie, en
- ☐ op de behandeling heeft geantwoord, bewezen door aanwezigheid van een gunstig effect op de deterioratie van de spier- en/of ademhalingsfunctie na 12 maanden behandeling, en
- ☐ niet lijdt aan ernstige infusiegerelateerde bijwerkingen die niet adequaat behandeld kunnen worden, en
- ☐ geen hoge antilichaamtiters heeft die zorgen voor een significante afname van het effect van de behandeling, ondanks de behandeling met immunomodulerende middelen.

In het tegenovergestelde geval, of in het geval de patiënt zelf wenst te stoppen met de behandeling, verbind ik me ertoe om de behandeling stop te zetten

Ik bevestig dat deze patiënt een vergoeding dient te verkrijgen van een behandeling met de specialiteit MYOZYME voor 12 maanden met een posologie van ⊔⊔ mg/kg lichaamsgewicht per tweewekelijkse perfusie (maximum 20 mg/kg/2 weken).

5. Wat mijn praktijk en de identificatie van de betrokken ziekenhuisapotheker aangaat:

5.1. Ik ben sinds ⊔⊔/⊔⊔/⊔⊔⊔⊔ verbonden aan een Centrum zoals hieronder vermeld, dat erkend is in het kader van de Conventies van revalidatie van begunstigden die lijden aan een zeldzame erfelijke monogenetische metabole aandoening
of
in het kader van de revalidatieovereenkomsten voor patiënten lijdend aan neuromusculaire ziekten.

Naam en volledig adres van het Centrum zijn de volgende:
……
……
……
……
Identificatienummer voor de RIZIV Conventie van dit Centrum: 7.89 - -
(In bijlage voeg ik een attest van de verantwoordelijke arts van dit Centrum, die deze toekenning bevestigt).

5.2. Identificatie van de betrokken ziekenhuisapotheker, die met ons Centrum samenwerkt:

Naam en voornaam:
……
RIZIV nummer van het ziekenhuis waaraan deze ziekenhuisapotheker verbonden is: 7.10---
Adres:
……
……
……

6. Ik verbind me ertoe aan de adviserend arts de bewijsstukken ter beschikking te stellen, die aantonen dat mijn patiënt zich in de geattesteerde situatie bevindt.

7. Ik verbind me er eveneens toe, indien mijn patiënt de vergoeding van de specialiteit MYOZYME zal verkregen hebben, aan het College van geneesheren, aangeduid door de Commissie Tegemoetkoming Geneesmiddelen, de gecodeerde gegevens mee te delen die betrekking hebben op de evolutie en de uitkomst van de betrokken patiënt, volgens de modaliteiten bepaald door de Minister, zoals beschreven onder punt f) van § 4180000 van hoofdstuk IV van het K.B. van 1 februari 2018.

III – Identificatie van de arts-specialist bedoeld onder punt II hierboven:

|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_| (naam)

|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_| (voornaam)

|1| - |_|_|_|_|_| - |_|_| - |_|_|_| (RIZIV nummer)

In bijlage aan het huidig aanvraagformulier, voeg ik de protocols van de analyses waarbij de diagnose werd vastgesteld. (enkel voor de eerste aanvraag van toelating, namelijk wanneer de begunstigde niet eerder een vergoeding van de specialiteit MYOZYME bekomen heeft op basis van § 4180000 van hoofdstuk IV van het K.B. van 1 februari 2018).

|_|_| / |_|_| / |_|_|_|_| (datum)

(stempel) ..... (handtekening van de arts)

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 1er 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 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, médecin spécialiste reconnu en ..... (mentionnez la spécialité) certifie que le patient mentionné ci-dessus est atteint de la forme infantile de la maladie de Pompe (déficit en α-glucosidase acide) avec diagnostic confirmé et présence de symptômes cliniques.

Je confirme que le diagnostic a été fait 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*, OU
☐ *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 pathogène 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 ou de PEDI, et/ou
- une myopathie documentée des muscles proximaux et/ou
- une myopathie documentée des muscles respiratoires

☐ Je m'engage à documenter le tableau clinique et les antécédents du patient.

☐ 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 avec la documentation d'au moins les éléments suivants:
- fonction cardiaque, évaluée à l'aide d'un électrocardiogramme ;
- taille du cœur, mesuré sur la base d'indice de masse ventriculaire gauche (Left Ventricular Mass Index: LVMI) et exprimé en g/m² ;
- puissance, affaiblissement et fonction musculaires, documentées sur la base de :
  - soit un score sur l'échelle de BAYLEY ou PEDI
  - soit si possible :
    - 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 ;
- besoins respiratoires, avec si applicable une spécification si la ventilation mécanique est invasive/non-invasive et la documentation du nombre d'heures moyennes de ventilation mécanique par 24 heures ;
- 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.

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

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

Je confirme que le diagnostic a été fait 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*, OU
☐ *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 pathogène du gène *GAA* est démontrée)

ET

un tableau clinique comprenant:
- une myopathie documentée des muscles proximaux affectant la qualité de vie de façon négative et/ou
- une myopathie documentée des muscles respiratoires

J'atteste que :
- ☐ mon patient présente des symptômes ou des signes cliniques d'une atteinte musculaire ou respiratoire pouvant affecter la qualité de vie de mon patient de façon négative
- ☐ mon patient a une fonction résiduelle du muscle squelettique et du muscle respiratoire qui ne peut plus être considérée comme fonctionnellement pertinente et/ou qui n'est plus cliniquement importante pour maintenir ou améliorer
- ☐ mon patient ne nécessite pas d'assistance respiratoire invasive chronique (trachéostomie ou tube endotrachéal);
- ☐ 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.

☐ Je m'engage à documenter le tableau clinique et les antécédents du patient.

☐ 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 avec la documentation d'au moins les éléments suivants:
- 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 patients 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 méchanique par 24 heures

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

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, médecin spécialiste reconnu en ..... (mentionnez la spécialité) certifie que le patient mentionné ci-dessus est atteint de la forme infantile 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 ;
- taille du cœur, mesuré sur la base d'indice de masse ventriculaire gauche (Left Ventricular Mass Index: LVMI) et exprimé en g/m² ;
- puissance, affaiblissement et fonction musculaires, documentées sur la base de :
  - soit un score sur l'échelle de BAYLEY ou PEDI
  - soit si possible :
    - 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 ;
- besoins respiratoires, avec si applicable une spécification si la ventilation méchanique est invasive/non-invasive et la documentation du nombre d'heures moyennes de ventilation mécanique par 24 heures ;
- 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.

J'atteste que le patient :

☐ montre une adhérence au 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.

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, médecin spécialiste reconnu en ..... (mentionnez la spécialité) certifie que le patient mentionné ci-dessus est 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 patients 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 patient :

☐ 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.

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 ---
Adresse :
……
……
……

6. 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.

7. Je m'engage également, lorsque mon patient aura reçu le remboursement de la spécialité MYOZYME, 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 § 4180000 du chapitre IV de l'A.R. du 1er février 2018.

III – 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 de la spécialité MYOZYME sur base des conditions du § 4180000 du chapitre IV de l'A.R. du 1er février 2018).

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

(cachet) (signature du médecin)

e) In § 4930000, worden de volgende specialiteiten geschrapt:

e) Au § 4930000, les spécialités suivantes sont supprimées:

Benaming / Dénomination (Aanvrager/Demandeur)					
Cat.	Code	Verpakkingen	Conditionnements	Opm Obs	
EMTRICITABIN/TENOFOVIR DISOPROXIL SANDOZ 200 mg/245 mg		SANDOZ			ATC: J05AR03
A-20	3605-029 ***3605-029***	30 filmomhulde tabletten, 200 mg/ 245 mg	30 comprimés pelliculés, 200 mg/ 245 mg	G	
A-20 *	7720-477	1 filmomhulde tablet, 200 mg/ 245 mg	1 comprimé pelliculé, 200 mg/ 245 mg	G	
A-20 **	7720-477	1 filmomhulde tablet, 200 mg/ 245 mg	1 comprimé pelliculé, 200 mg/ 245 mg	G	
A-20 ***	7720-477	1 filmomhulde tablet, 200 mg/ 245 mg	1 comprimé pelliculé, 200 mg/ 245 mg	G	

f) In § 8750000, worden de volgende specialiteiten geschrapt:

f) Au § 8750000, les spécialités suivantes sont supprimées:

Benaming / Dénomination (Aanvrager/Demandeur)					
Cat.	Code	Verpakkingen	Conditionnements	Opm Obs	
EMTRICITABIN/TENOFOVIR DISOPROXIL SANDOZ 200 mg/245 mg		SANDOZ			ATC: J05AR03
B-345	3605-029 ***3605-029***	30 filmomhulde tabletten, 200 mg/ 245 mg	30 comprimés pelliculés, 200 mg/ 245 mg	G	
B-345 *	7720-477	1 filmomhulde tablet, 200 mg/ 245 mg	1 comprimé pelliculé, 200 mg/ 245 mg	G	
B-345 **	7720-477	1 filmomhulde tablet, 200 mg/ 245 mg	1 comprimé pelliculé, 200 mg/ 245 mg	G	
B-345 ***	7720-477	1 filmomhulde tablet, 200 mg/ 245 mg	1 comprimé pelliculé, 200 mg/ 245 mg	G	

g) in § 9010000, worden de vergoedingsvoorwaarden vervangen als volgt:

Paragraaf 9010000

a) De specialiteit wordt vergoed indien ze wordt toegediend als monotherapie voor de onderhoudsbehandeling van volwassen patiënten met nieuw gediagnosticeerd multipel myeloom die een autologe stamceltransplantatie hebben ondergaan.

b) De patiënt komt in aanmerking voor deze onderhoudsbehandeling indien de patiënt na de autologe transplantatie minstens een stabiele ziekte vertoont.

c) De maximale vergoedbare dagelijkse dosis is beperkt tot 15 mg te realiseren met maximaal 1 capsule per dag.

d) De vergoeding van de specialiteit moet aangevraagd worden door een geneesheer-specialist in inwendige geneeskunde met een bijzondere beroepsbekwaamheid in de hematologie op basis van het ministerieel besluit van 18.10.2002 tot vaststelling van de bijzondere criteria voor de erkenning van arts -specialisten, houders van de bijzondere beroepstitel in de klinische hematologie, alsmede van stagemeesters en stagediensten in de klinische hematologie.

e) De vergoeding wordt toegestaan op basis van een elektronische notificatie ingediend door de via het e-Health platform geïdentificeerde en geauthentiseerde arts-specialist vermeld onder punt c), die zich ertoe verbindt

- dat alle voorwaarden in punt a) zijn vervuld;
- om de bewijsstukken aan de adviserend geneesheer van de verzekeringsinstelling te bezorgen op eenvoudig verzoek;
- om de terugbetaalbare behandeling te stoppen wanneer hij vaststelt dat er ziekteprogressie is ondanks de lopende behandeling.

f) De vergoeding wordt slechts toegekend als de betrokken ziekenhuisapotheker, vooraleer hij de specialiteit verstrekt, beschikt over een kopie van het akkoord bedoeld in d).

g) au § 9010000, les modalités de remboursement sont remplacées par les modalités suivantes:

Paragraphe 9010000

a) La spécialité fait l'objet d'un remboursement si elle est administrée en monothérapie pour le traitement d'entretien du myélome multiple non préalablement traité chez les patients adultes ayant reçu une autogreffe de cellules souches.

b) Le patient est éligible pour le traitement d'entretien s'il présente au moins une maladie stable après la greffe autologue.

c) La posologie journalière maximale remboursable est limitée à 15 mg, consistant en un maximum de 1 gélule par jour de traitement.

d) Le remboursement de la spécialité doit être demandé par un médecin spécialiste en médecine interne, possédant la qualification particulière en hématologie selon l'arrêté ministériel du 18.10.2002 fixant les critères spéciaux d'agrément des médecins spécialistes porteurs du titre professionnel particulier en hématologie clinique ainsi que des maitres de stage et des services de stage en hématologie clinique.

e) Le remboursement est accordé sur base d'une notification électronique introduite par le médecin spécialiste, identifié et authentifié par la plateforme eHealth, décrite au point c), qui s'engage

- à ce que toutes les conditions au point a) soient remplies ;
- à envoyer les pièces justificatives au médecin conseil de l'organisme assureur, sur simple demande ;
- à arrêter le traitement remboursé lorsqu'il constate que la maladie progresse malgré le traitement.

f) Le remboursement n'est accordé que si le pharmacien dispensateur dispose, préalablement à la dispensation, d'une copie de l'accord visée au point d).

h) In § 9010000, worden de volgende specialiteiten geschrapt:

h) Au § 9010000, les spécialités suivantes sont supprimées:

Benaming / Dénomination (Aanvrager/Demandeur)					
Cat.	Code	Verpakkingen	Conditionnements	Opm Obs	
REVLIMID 2,5 mg		CELGENE			ATC: L04AX04
	7708-365	***21 capsules, hard, 2,5 mg***	***21 gélules, 2,5 mg***		
A-29 *	7708-365	1 capsule, hard, 2,5 mg	1 gélule, 2,5 mg	T	
A-29 **	7708-365	1 capsule, hard, 2,5 mg	1 gélule, 2,5 mg	T	
REVLIMID 20 mg		CELGENE			ATC: L04AX04
	7714-892	***21 capsules, hard, 20 mg***	***21 gélules, 20 mg***		
A-29 *	7714-892	1 capsule, hard, 20 mg	1 gélule, 20 mg	T	
A-29 **	7714-892	1 capsule, hard, 20 mg	1 gélule, 20 mg	T	
REVLIMID 25 mg		CELGENE			ATC: L04AX04
	0788-281	***21 capsules, hard, 25 mg***	***21 gélules, 25 mg***		
A-29 *	0788-281	1 capsule, hard, 25 mg	1 gélule, 25 mg	T	
A-29 **	0788-281	1 capsule, hard, 25 mg	1 gélule, 25 mg	T	
REVLIMID 7,5 mg		CELGENE			ATC: L04AX04
	7714-884	***21 capsules, hard, 7,5 mg***	***21 gélules, 7,5 mg***		
A-29 *	7714-884	1 capsule, hard, 7,5 mg	1 gélule, 7,5 mg	T	
A-29 **	7714-884	1 capsule, hard, 7,5 mg	1 gélule, 7,5 mg	T	

Art. 2. – Dit besluit treedt in werking op de eerste dag van de maand die volgt op het verstrijken van een termijn van tien dagen die ingaat de dag na de bekendmaking ervan in het Belgisch Staatsblad.

Brussel,.

Art. 2. – Le présent arrêté entre en vigueur le premier jour du mois qui suit l'expiration d'un délai de dix jours prenant cours le jour suivant sa publication au Moniteur Belge.

Bruxelles, le

Maggie DE BLOCK

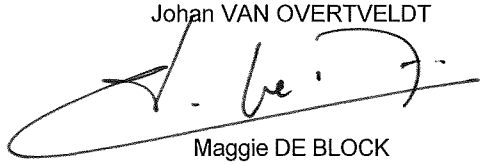
Pour la Ministre des Affaires sociales et de la Santé publique, absente,

Le **Ministre des Finances et de la Lutte contre la Fraude Fiscale**

Voor de Minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid, afwezig,

De **Minister van Financiën en Fiscale Fraudebestrijding**

Johan VAN OVERTVELDT



Maggie DE BLOCK