

Aanvraagformulier voor vergoeding van de farmaceutische specialiteit op basis van cipaglucosidase alfa in combinatie met miglustat (§13500000 van hoofdstuk IV van de lijst gevoegd bij het K.B. van 1 februari 2018).

(naam)

(voornaam)

(aansluitingsnummer)

Versie geldig vanaf 01.09.2025

Ik bevestig dat deze rechthebbende een vergoeding dient te verkrijgen van een behandeling met de specialiteit op basis van cipaglucosidase alfa in combinatie met miglustat voor 12 maanden met een posologie van 111 mg/kg lichaamsgewicht per tweewekelijkse perfusie (maximum 20 mg/kg/2 weken). En voor miglustat een posologie van maximaal 3 capsules van 65mg voor rechthebbenden met een gewicht van > of = 40 kg tot < 50 kg en 4 capsules van 65mg voor rechthebbenden met een gewicht > of = 50 kg.

II.2 Voor volwassen rechthebbenden die reeds behandeld worden voor de tardieve vorm van de aandoening (LOPD) :

Ik ondergetekende, arts-specialist erkend in (vermeld de specialisatie) verklaar dat de hierboven vermelde volwassen rechthebbende 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 zesmaandelijks 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 electrocardiogram.
- 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 rechthebbenden 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 rechthebbende :

- ☐ 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 antilichaamtiter 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.

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

Ik bevestig dat deze rechthebbende een vergoeding dient te verkrijgen van een behandeling met de specialiteit op basis van cipaglucosidase alfa in combinatie met miglustat voor 12 maanden met een posologie van 111 mg/kg lichaamsgewicht per tweewekelijkse perfusie (maximum 20 mg/kg/2 weken). En voor miglustat een posologie van maximaal 3 capsules van 65mg voor rechthebbenden met een gewicht van > of = 40 kg tot < 50 kg en 4 capsules van 65mg voor rechthebbenden met een gewicht > of = 50 kg.

III. Type aanvraag :

- ☐ Eerste aanvraag voor toelating van vergoeding voor de rechthebbende, voorheen onbehandeld voor de tardieve vorm van de aandoening (LOPD).
- ☐ Eerste aanvraag voor toelating van vergoeding voor de rechthebbende, reeds behandeld met niet-vergoedbare verpakkingen van de farmaceutische specialiteit op basis van cipaglucosidase alfa in combinatie met miglustat in het kader van een Medical Need Program en de rechthebbende voldoet aan de vergoedingsvoorwaarden zoals vermeld onder punt a') van § 13500000 van hoofdstuk IV van de lijst gevoegd bij het K.B. van 1 februari 2018.
- ☐ Eerste aanvraag voor toelating van vergoeding van de farmaceutische specialiteit op basis van cipaglucosidase alfa in combinatie met miglustat voor de rechthebbende, die reeds de vergoeding van een specialiteit heeft verkregen op basis van de voorwaarden opgenomen §4180000 of van hoofdstuk IV van de lijst gevoegd bij het K.B. van 1 februari 2018.
- ☐ Aanvraag tot verlenging van vergoeding voor de rechthebbende die reeds geniet van de vergoeding op grond van de bepalingen van § 13500000 van hoofdstuk IV van de lijst gevoegd bij het K.B. van 1 februari 2018.

