Schede prescrittive di medicinali per il trattamento delle mucopolisaccaridosi (MPS)

REGISTRO ELOSULFASE ALFA – VIMIZIM

ELOSULFASE ALFA - VIMIZIM	Elosulfase alfa è indicato per il trattamento della mucopolisaccaridosi di tipo IVA (Sindrome di Morquio A. MPS IVA) in pazienti di tutte le età.

Scheda a cura del Prescrittore

1. SCHEDA REGISTRAZIONE PAZIENTE (RP) (**O**: Obbligatorio l'inserimento; **F**: facoltativo l'inserimento)		
O	Data registrazione paziente	…./…./….
O	Età	*Indicare età del paziente*
O	Sesso	*Indicare sesso del paziente*

Scheda a cura del Prescrittore

2. SCHEDA ELEGGIBILITÀ E DATI CLINICI (EDC) (**O**: Obbligatorio l'inserimento; **F**: facoltativo l'inserimento)			
Diagnosi di Mucopolisaccaridosi di tipo IVA			
O	Dosaggio dell'attività enzimatica N-acetilgalattosamina-6-sulfatase nei linfociti e nei fibroblasti o su Dried Blood Spot (DBS) che identifichi un deficit dell'enzima *[da abbinare al dosaggio di almeno un'altra solfatasi per escludere deficit multiplo di solfatasi]*	… nmol/mg/h	
O	Accumulo di cheratan solfato nelle urine	…. µg/mg creatinina	
O	Accumulo di condroitin-6-solfato nelle urine	…. µg/mg creatinina	
O	Analisi molecolare per la ricerca delle mutazioni del gene codificante GALNS indicando:		Da inserire obbligatoriamente entro 6 mesi dall'inizio del trattamento
	- Mutazione genetica rilevata	…	
	- Centro che ha effettuato la diagnosi		
O	Indicare il fenotipo:	□ Classico □ Attenuato	
O	Diagnosi confermata di Mucopolisaccaridosi di tipo IVA?	Sì	
		No	Blocco
O	Data della diagnosi	…./…./….	

Caratteristiche del paziente e aspetti rilevanti ai fini dell'eleggibilità				
O	Paziente con problemi ereditari di intolleranza al fruttosio?		Sì	I pazienti con questa intolleranza non devono utilizzare elosulfase alfa
			No	
	Se donna in età fertile			
	O	In gravidanza?	Sì	E' preferibile evitare l'uso in elosulfase alfa durante la gravidanza
			No	
	O	Se in allattamento, è intenzionata a sospenderlo?	Sì	
			No	Elosulfase alfa deve essere somministrato solo se il possibile beneficio viene considerato superiore al rischio per il neonato

Alert per il prescrittore:
La somministrazione del farmaco non è raccomandato se il paziente presenta: - un'altra malattia rischiosa per la vita, diversa da MPS IVA, la cui prognosi possa essere difficilmente modificata dalla ERT; - capacità vitale forzata <0,3 mL e che richiede ventilazione assistita

VALORI E CONDIZIONI CLINICHE DA VALUTARE AL BASALE E NELLE RIVALUTAZIONI (O: Obbligatorio l'inserimento; F: facoltativo l'inserimento)							
Valori e condizioni cliniche				**Basale**	**FUP 6 mesi**	**FUP 12 mesi**	**FUP max ogni 12 mesi**
1	Peso		… kg	O	O	O	O
	Se paziente pediatrico:						
	2	Circonferenza cranica	… cm	O	O	O	O
	3	Altezza	… cm	O	O	O	O
	4	Sviluppo puberale	… score Marshall/Tanner	O	O	O	O
5	Dosaggio cheratan solfato [dato compilato in automatico al basale in quanto inserito alla diagnosi]		…. µg/mg creatinina	O	O	O	O
6	Dosaggio condroitin-6-solfato [dato compilato in automatico al basale in quanto inserito alla diagnosi]		…. µg/mg creatinina	O	O	O	O
7	Ematochimica di routine ed esame delle urine		….	O	O	O	O
8	Valutazione funzione renale						
	8.A	Urea	…. mmol/L	O	O	O	O
	8.B	Creatininemia	…. umol/L	O	O	O	O
	8.C	Volume dell'urina	… mL nelle 24 ore	O	O	O	O
	8.D	Velocità di filtrazione glomerurale dosata	…. mL/min	O	O	O	O
	8.E	Albuminuria	…. mg nelle 24 ore	O	O	O	O
	8.F	Proteinuria	…. mg nelle 24 ore	O	O	O	O
	8.G	Stadio malattia renale cronica	…. stadio	O	O	O	O
9	Test del cammino in 6 minuti [nei pazienti con difficoltà di deambulazione "Test per la deambulazione dei 25 piedi"]		… metri [piedi]	O	O	O	O
10	Risonanza magnetica encefalo e/o rachide con flesso estensione			O	O	O	F

11	Test di misurazione delle forze delle prese arti superiori e valutazione di destrezza (es. test *Grip strength*, test *Pinch strength*, test dei nove pioli)			F	F	F	F
Se paziente con età > 5 anni							
	12	Capacità vitale forzata	… mL	O	O	O	O
	13	Volume espiratorio massimo in un secondo	… mL	O	O	O	O
	14	Indice apnea/ipopnea	… AHI	O	F	O	O
	15	Saturazione di ossigeno notturna	…%	O	F	O	O
	16	Alterazione del ciclo sonno/veglia	Sì/No	O	F	O	O
17	Elettrocardiogramma		Normale/Alterato	O	F	O	O
18	Ecocardiogramma		Normale/Alterato	O	F	O	O
19	Frequenza cardiaca		… bpm	O	O	O	O
20	Pressione sanguigna (sistolica/diastolica)		…/… mmHg	O	O	O	O
21	Lassità articolare		Sì/No	O	O	O	O
22	Radiografia colonna vertebrale		…	O	F	O	O
23	Risonanza magnetica colonna vertebrale		…	O	F	O	O
24	Funzionalità visiva		Normale/Alterata	O	F	O	O
	Se alterata, indicare:						
	24.A	Acuità visiva	… decimi	O	F	O	O
	24.B	Pressione oculare	… mmHg	O	F	O	O
	24.C	Fondo oculare		O	F	O	O
	24.D	Esame della cornea		O	F	O	O

25	Funzionalità uditiva	□ Normale □ Perdita parziale o completa dell'udito (indicare i valori di perdita uditiva: …. dB)	O	F	O	O
26	Utilizzo di analgesici	Sì/No	O	O	O	O
27	Qualità della vita [usando questionario SF-12]	… score	O	F	O	O
28	Eventi avversi correlati alla terapia da segnalare	Sì/No (indicare quale… menu a tendina disponibile già nel sistema del Registro Malattie Rare e inserimento di un collegamento diretto al sito vigifarmaco.it per invio della segnalazione)	/	O	O	O
29	Reazione allergiche al farmaco da segnalare	Sì/No (inserimento di un collegamento diretto al sito vigifarmaco.it per invio della segnalazione)	/	O	O	O
30	Immunogenicità	Sì/No	/	F	F	F
31	Trapianto di midollo o altre operazioni da segnalare (indicare quale:….)	Sì/No	/	O	O	O
Solo se sì alla domanda precedente:						
	31.A Data dell'intervento:	…/…/…	/	F	F	F
32	**Esito della valutazione**: si ritiene che il paziente debba proseguire la terapia?	Sì/No [Se Sì: compilare la richiesta farmaco; se No: compilare scheda fine terapia]	/	O	O	O

Criteri che il clinico del centro accreditato deve considerare per valutare l'eventuale sospensione del farmaco previo consenso informato del paziente o della sua famiglia/tutore
Indicare se il paziente presenta uno dei criteri sottoelencati: □ mancata *compliance* del paziente a elosulfase o alle visite di follow-up clinico strumentale o mancata risposta al protocollo di desensibilizzazione; □ il paziente sviluppa severe reazioni associate alle infusioni non controllate da appropriata premedicazione e/o aggiustamento della velocità di infusione; □ il paziente sviluppa una complicanza rischiosa per la vita o severa la cui prognosi possa essere difficilmente influenzata da trattamento con elosulfase; □ il paziente sviluppa un'altra condizione clinica che potrebbe ragionevolmente compromettere la risposta a elosulfase.

Scheda a cura del Prescrittore

3A. SCHEDA RICHIESTA FARMACO (RF) – PRIMA RIVALUTAZIONE (**O**: Obbligatorio l'inserimento; **F**: facoltativo l'inserimento)		
Posologia raccomandata: 2 mg/kg ev, una volta a settimana		
O	Data richiesta farmaco	…/…/….
O	Posologia	
O	N. flaconi da dispensare	

3B. SCHEDA RICHIESTA FARMACO (RF) – PRESCRIZIONE SUCCESSIVA ALLA PRIMA (**O**: Obbligatorio l'inserimento; **F**: facoltativo l'inserimento)			
Posologia raccomandata: 2 mg/kg ev, una volta a settimana			
O	Data richiesta farmaco		…/…/….
O	Prevista modifica del dosaggio?		Sì
			No
	Se no, il sistema riporta in automatico la posologia indicata nelle prescrizioni precedenti, se sì indicare la nuova posologia:		
	O	Posologia	
O	N. flaconi da dispensare		

Scheda a cura del Farmacista

4. SCHEDA DISPENSAZIONE FARMACO (DF)	
L'erogazione da parte del Farmacista può avvenire solo a fronte della presentazione di una richiesta farmaco in corso di validità	
Descrizione del farmaco erogato	
AIC	
Numero di confezioni erogate	
Data dispensazione farmaco	…/…/….

Compilazione a cura del Prescrittore

5. SCHEDA FINE TRATTAMENTO (FT) (**O**: Obbligatorio l'inserimento; **F**: facoltativo l'inserimento)			
O	Data fine trattamento		../../..
O	Indicare la causa fine trattamento		Fallimento terapia
			Non aderenza alla terapia
			Passaggio ad altra alternativa terapeutica
			Trapianto di midollo
			Altra motivazione clinica (specificare quale): ……
			Comparsa di eventi avversi [inserire collegamento diretto con il sito vigifarmaco.it]
			Decisione del paziente (motivare): ……
			Decesso
	O	Se *Decesso* indicare se il motivo del decesso è:	Malattia (per il quale il paziente è in trattamento)
			Tossicità correlata al farmaco
			Altro (specificare quale):
	O	Se *Decesso* indicare la data del decesso	../../..

REGISTRO GALSULFASE–NAGLAZYME

GALSULFASE - NAGLAZYME	Galsulfase è indicato per la terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine in pazienti con una diagnosi confermata di Mucopolisaccaridosi VI (MPS VI; deficit di N-acetilgalattosammina-4-solfatasi; sindrome di Maroteaux-Lamy). È un punto chiave trattare i pazienti giovani, di età <5 anni affetti da una forma grave della malattia, sebbene i bambini di questa fascia di età non siano stati compresi nello studio principale di fase III. Sono disponibili dati limitati riguardo a pazienti < 1 anno di età.

Scheda a cura del Prescrittore

2. SCHEDA REGISTRAZIONE PAZIENTE (RP) (**O**: Obbligatorio l'inserimento; **F**: facoltativo l'inserimento)		
O	Data registrazione paziente	…./…./….
O	Età	*Indicare età del paziente*
O	Sesso	*Indicare sesso del paziente*

Scheda a cura del Prescrittore

3. SCHEDA ELEGGIBILITÀ E DATI CLINICI (EDC) (**O**: Obbligatorio l'inserimento; **F**: facoltativo l'inserimento)			
Diagnosi di Mucopolisaccaridosi di tipo VI			
O	Dosaggio dell'attività enzimatica arilsulfatasi B nei linfociti e nei fibroblasti o su Dried Blood Spot (DBS) che identifichi un deficit dell'enzima *[da abbinare al dosaggio di almeno un'altra solfatasi per escludere deficit multiplo di solfatasi]*	… nmol/mg/h	Il sistema avverte per valori di attività enzimatica residua superiori al valore soglia identificato in letteratura del 10% rispetto al normale. Il *warning* non è né bloccante né limitante
O	Accumulo di dermatan solfato nelle urine	…. µg/mg creatinina	
O	Analisi molecolare per la ricerca delle mutazioni del gene codificante ARSB indicando:		Da inserire entro 6 mesi dall'inizio del trattamento
	- Mutazione genetica rilevata	…	
	- Centro che ha effettuato la diagnosi		
O	Indicare il fenotipo:	□ Rapida progressione □ Lenta progressione	
O	Diagnosi confermata di Mucopolisaccaridosi di tipo VI?	Sì	
		No	Blocco
O	Data della diagnosi	…./…./….	

Caratteristiche del paziente e aspetti rilevanti ai fini dell'eleggibilità			
Se donna in età fertile			
O	In gravidanza?	Sì	Galsulfase non deve essere usato, se non in caso di assoluta necessità
		No	
O	Se in allattamento, è intenzionata a sospenderlo?	Sì	
		No	Non è noto se galsulfase sia eliminato nel latte materno, quindi durante il trattamento con galsulfase è necessario sospendere l'allattamento al seno

Alert per il prescrittore:
La somministrazione del farmaco non è raccomandato se il paziente presenta un'altra malattia rischiosa per la vita, diversa da MPS VI, la cui prognosi possa essere difficilmente modificata dalla ERT

VALORI E CONDIZIONI CLINICHE DA VALUTARE AL BASALE E NELLE RIVALUTAZIONI (O: Obbligatorio l'inserimento; F: facoltativo l'inserimento)							
Valori e condizioni cliniche				**Basale**	**FUP 6 mesi**	**FUP 12 mesi**	**FUP max ogni 12 mesi**
1	Peso		… kg	O	O	O	O
	Se paziente pediatrico:						
	2	Circonferenza cranica	… cm	O	O	O	O
	3	Altezza	… cm	O	O	O	O
	4	Sviluppo puberale	… score Marshall/Tanner	O	O	O	O
5	Dosaggio dermatan solfato [dato compilato in automatico al basale in quanto inserito alla diagnosi]		…. µg/mg creatinina	O	O	O	O
6	Ematochimica di routine ed esame delle urine		….	O	O	O	O
7	Presenza di splenomegalia		Sì/No	O	O	O	O
	7.A	*Solo se sì alla domanda precedente:*					
		Volume della milza (valutato alla RM addome)	…	O	O	O	O
8	Presenza di epatomegalia		Sì/No	O	O	O	O
	8.A	*Solo se sì alla domanda precedente:*					
		Volume del fegato (valutato alla RM addome)	…	O	O	O	O

9	Valutazione funzione renale						
	9.A	Urea	…. mmol/L	O	O	O	O
	9.B	Creatininemia	…. umol/L	O	O	O	O
	9.C	Volume dell'urina	… mL nelle 24 ore	O	O	O	O
	9.D	Velocità di filtrazione glomerurale dosata	…. mL/min	O	O	O	O
	9.E	Albuminuria	…. mg nelle 24 ore	O	O	O	O
	9.F	Proteinuria	…. mg nelle 24 ore	O	O	O	O
	9.G	Stadio malattia renale cronica	…. stadio	O	O	O	O
10	Test del cammino in 12 minuti [nei pazienti che non raggiungono l'obiettivo dei 12 minuti, eseguire "test del cammino in 6 minuti" oppure nei pazienti con difficoltà di deambulazione eseguire "test per la deambulazione dei 25 piedi"]		… metri [piedi]	O	O	O	O
11	Range di movimento delle articolazioni (indicare quali): - … - …		- … ° - … °	O	F	O	O
12	Risonanza magnetica encefalo e/o rachide con flesso estensione			O	F	O	F
Se paziente con età > 5 anni							
	13	Capacità vitale forzata	… mL	O	O	O	O
	14	Volume espiratorio massimo in un secondo	… mL	O	O	O	O
	15	Indice apnea/ipopnea	… AHI	O	F	O	O
	16	Saturazione di ossigeno notturna	…%	O	F	O	O
	17	Alterazione del ciclo sonno/veglia	Sì/No	O	F	O	O
18	Elettrocardiogramma		Normale/Alterato	O	O	O	O
19	Ecocardiogramma		Normale/Alterato	O	O	O	O

20	Frequenza cardiaca		… bpm	O	O	O	O
21	Pressione sanguigna (sistolica/diastolica)		…/… mmHg	O	O	O	O
22	Rigidità articolare		Sì/No	O	O	O	O
23	Radiografia colonna cervicale in flessione/estensione e anche anteroposteriore e laterale in “frog-leg”			O	F	O	O
24	Dentizione attiva		Sì/No (al basale) Ripresa/Non attiva (FU)	O	O	O	O
25	Funzionalità visiva		Normale/Alterata	O	F	O	O
	Se alterata, indicare:						
	25.A	Acuità visiva	… decimi	O	F	O	O
	25.B	Pressione oculare	… mmHg	O	F	O	O
	25.C	Fondo oculare		O	F	O	O
	25.D	Esame della cornea		O	F	O	O
26	Funzionalità uditiva		□ Normale □ Perdita parziale o completa dell’udito (indicare i valori di perdita uditiva: …. dB)	O	F	O	O
27	Utilizzo di analgesici		Sì/No	O	O	O	O
28	Qualità della vita [usando questionario SF-12]		… score	O	F	O	O
29	Eventi avversi correlati alla terapia da segnalare		Sì/No (indicare quale… menu a tendina disponibile già nel sistema del Registro Malattie Rare e inserimento di un collegamento diretto al sito vigifarmaco.it per invio della segnalazione)	/	O	O	O

30	Reazione allergiche al farmaco da segnalare	Sì/No (inserimento di un collegamento diretto al sito vigifarmaco.it per invio della segnalazione)	/	O	O	O
31	Immunogenicità	Sì/No	/	F	F	F
32	Trapianto di midollo o altre operazioni da segnalare (indicare quale:….)	Sì/No	/	O	O	O
	Solo se sì alla domanda precedente:					
	32.A Data dell'intervento:	…/…/…	/	F	F	F
33	**Esito della valutazione**: si ritiene che il paziente debba proseguire la terapia?	Sì/No [Se Sì: compilare la richiesta farmaco; se No: compilare scheda fine terapia]	/	O	O	O

Criteri che il clinico del centro accreditato deve considerare per valutare l'eventuale sospensione del farmaco previo consenso informato del paziente o della sua famiglia/tutore
Indicare se il paziente presenta uno dei criteri sottoelencati: □ mancata *compliance* del paziente a galsulfase o alle visite di follow-up clinico strumentale o mancata risposta a protocollo di desensibilizzazione; □ il paziente sviluppa severe reazioni associate alle infusioni non controllate da appropriata premedicazione e/o aggiustamento della velocità di infusione; □ il paziente sviluppa una complicanza rischiosa per la vita o severa la cui prognosi possa essere difficilmente influenzata da trattamento con galsulfase; □ il paziente sviluppa un'altra condizione clinica che potrebbe ragionevolmente compromettere la risposta a galsulfase.

Scheda a cura del Prescrittore

3A. SCHEDA RICHIESTA FARMACO (RF) – PRIMA RIVALUTAZIONE (**O**: Obbligatorio l'inserimento; **F**: facoltativo l'inserimento)		
Posologia raccomandata: 1 mg/Kg ev, una volta a settimana		
O	Data richiesta farmaco	…/…/….
O	Posologia	
O	N. flaconi da dispensare	

3B. SCHEDA RICHIESTA FARMACO (RF) – PRESCRIZIONE SUCCESSIVA ALLA PRIMA (**O**: Obbligatorio l'inserimento; **F**: facoltativo l'inserimento)			
Posologia raccomandata: 1 mg/Kg ev, una volta a settimana			
O	Data richiesta farmaco		…/…/….
O	Prevista modifica del dosaggio?		Sì
			No
	Se no, il sistema riporta in automatico la posologia indicata nelle prescrizioni precedenti, se sì indicare la nuova posologia:		
	O	Posologia	
O	N. flaconi da dispensare		

Scheda a cura del Farmacista

5. SCHEDA DISPENSAZIONE FARMACO (DF)	
L'erogazione da parte del Farmacista può avvenire solo a fronte della presentazione di una richiesta farmaco in corso di validità	
Descrizione del farmaco erogato	
AIC	
Numero di confezioni erogate	
Data dispensazione farmaco	…/…/….

Compilazione a cura del Prescrittore

6. SCHEDA FINE TRATTAMENTO (FT) (**O**: Obbligatorio l'inserimento; **F**: facoltativo l'inserimento)			
O	Data fine trattamento		../../..
O	Indicare la causa fine trattamento		Fallimento terapia
			Non aderenza alla terapia
			Passaggio ad altra alternativa terapeutica
			Trapianto di midollo
			Altra motivazione clinica (specificare quale): ……
			Comparsa di eventi avversi [inserire collegamento diretto con il sito vigifarmaco.it]
			Decisione del paziente (motivare): ……
			Decesso
	O	Se *Decesso* indicare se il motivo del decesso è:	Malattia (per il quale il paziente è in trattamento)
			Tossicità correlata al farmaco
			Altro (specificare quale):
	O	Se *Decesso* indicare la data del decesso	../../..

REGISTRO LARONIDASI – ALDURAZYME

LARONIDASI - ALDURAZYME	Laronidasi è indicato per la terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine in pazienti con diagnosi confermata di Mucopolisaccaridosi I (MPS I; deficit di α-L-iduronidasi), per il trattamento delle manifestazioni non neurologiche della patologia.

Scheda a cura del Prescrittore

3. SCHEDA REGISTRAZIONE PAZIENTE (RP) (**O**: Obbligatorio l'inserimento; **F**: facoltativo l'inserimento)		
O	Data registrazione paziente	…./…./….
O	Età	*Indicare età del paziente*
O	Sesso	*Indicare sesso del paziente*

Scheda a cura del Prescrittore

4. SCHEDA ELEGGIBILITÀ E DATI CLINICI (EDC) (**O**: Obbligatorio l'inserimento; **F**: facoltativo l'inserimento)			
Diagnosi di Mucopolisaccaridosi di tipo I			
O	Dosaggio dell'attività enzimatica alfa-L-iduronidasi nel plasma, nei linfociti, nei fibroblasti, nelle cellule del trofoblasto o negli amniociti o su Dried Blood Spot (DBS) che identifichi un deficit dell'enzima	… nmol/mg/h	Il sistema avverte per valori di attività enzimatica residua superiori al valore soglia identificato in letteratura del 7% rispetto al normale. Il *warning* non è né bloccante né limitante
O	Accumulo di eparan solfato nelle urine	…. µg/mg creatinina	
O	Accumulo di dermatan solfato nelle urine	…. µg/mg creatinina	
O	Analisi molecolare per la ricerca delle mutazioni del gene codificante IDUA indicando:		Dato da inserire obbligatoriamente entro 6 mesi dall'inizio del trattamento
	- Mutazione genetica rilevata		
	- Centro che ha effettuato la diagnosi		
O	Indicare il fenotipo:	□ Grave (Sindrome di Hurler) □ Intermedio (Sindrome di Hurler-Scheie) □ Lieve (Sindrome di Scheie)	
O	Diagnosi confermata di Mucopolisaccaridosi di tipo I?	Sì	
		No	Blocco
O	Data della diagnosi	…./…./….	

Caratteristiche del paziente e aspetti rilevanti ai fini dell'eleggibilità				
	Se donna in età fertile			
	O	In gravidanza?	Sì	Laronidasi non deve essere usato durante la gravidanza, se non in caso di assoluta necessità
			No	
	O	Se in allattamento, è intenzionata a sospenderlo?	Sì	
			No	A causa dell'assenza di dati circa i neonati esposti alla laronidasi attraverso il latte materno, si consiglia di interrompere l'allattamento durante il trattamento con laronidasi (scheda tecnica dell'EMA, o RCP)
Alert per il prescrittore:				
La somministrazione del farmaco non è raccomandato se il paziente presenta: - un'altra malattia rischiosa per la vita, diversa da MPS I, la cui prognosi possa essere difficilmente modificata dalla ERT; - una disabilità intellettiva con QI <70 con problematiche respiratorie e/o motorie e/o alimentari che richiedono supporto				
Trattamenti concomitanti				
O	Paziente in trattamento con clorochina o procaina?		Sì	Non somministrare laronidasi simultaneamente a uno di questi farmaci per via del potenziale rischio d'interferenza con la captazione intracellulare della laronidasi
			No	

VALORI E CONDIZIONI CLINICHE DA VALUTARE AL BASALE E NELLE RIVALUTAZIONI (O: Obbligatorio l'inserimento; F: facoltativo l'inserimento)							
Valori e condizioni cliniche				**Basale**	**FUP 6 mesi**	**FUP 12 mesi**	**FUP max ogni 12 mesi**
1	Peso		… kg	O	O	O	O
	Se paziente pediatrico:						
	2	Circonferenza cranica	… cm	O	O	O	O
	3	Altezza	… cm	O	O	O	O
	4	Sviluppo puberale	… score Marshall/Tanner	O	O	O	O
5	Dosaggio eparan solfato [dato compilato in automatico al basale in quanto inserito alla diagnosi]		…. µg/mg creatinina	O	O	O	O
6	Dosaggio dermatan solfato [dato compilato in automatico al basale in quanto inserito alla diagnosi]		…. µg/mg creatinina	O	O	O	O
7	Ematochimica di routine ed esame delle urine		….	O	O	O	O
8	Presenza di splenomegalia		Sì/No	O	O	O	O
	8.A	*Solo se sì alla domanda precedente:*					
		Volume della milza (valutato alla RM addome)	…	O	O	O	O
9	Presenza di epatomegalia		Sì/No	O	O	O	O
	9.A	*Solo se sì alla domanda precedente:*					
		Volume del fegato (valutato alla RM addome)	…	O	O	O	O
10	Valutazione funzione renale						
	10.A	Urea	…. mmol/L	O	O	O	O
	10.B	Creatininemia	…. umol/L	O	O	O	O
	10.C	Volume dell'urina	… mL nelle 24 ore	O	O	O	O

	10.D	Velocità di filtrazione glomerurale dosata	…. mL/min	O	O	O	O
	10.E	Albuminuria	…. mg nelle 24 ore	O	O	O	O
	10.F	Proteinuria	…. mg nelle 24 ore	O	O	O	O
	10.G	Stadio malattia renale cronica	…. stadio	O	O	O	O
11	Test del cammino in 6 minuti [nei pazienti con difficoltà di deambulazione "Test per la deambulazione dei 25 piedi"]		… metri [piedi]	O	O	O	O
12	Velocità di conduzione del nervo mediano		…	F	F	F	F
13	Risonanza magnetica encefalo e/o rachide con flesso estensione		…	O	F	O	F
Se paziente con età > 5 anni							
	14	Capacità vitale forzata	… mL	O	O	O	O
	15	Volume espiratorio massimo in un secondo	… mL	O	O	O	O
	16	Indice apnea/ipopnea	… AHI	O	F	O	O
	17	Saturazione di ossigeno notturna	…%	O	F	O	O
	18	Alterazione del ciclo sonno/veglia	Sì/No	O	F	O	O
	19	Ventilazione meccanica a pressione positiva *[solo se necessario]*	Sì/No	F	F	F	F
20	Elettrocardiogramma		Normale/Alterato	O	O	O	O
21	Ecocardiogramma		Normale/Alterato	O	O	O	O
22	Frequenza cardiaca		… bpm	O	O	O	O
23	Pressione sanguigna (sistolica/diastolica)		…/… mmHg	O	O	O	O
24	Rigidità articolare		Sì/No	O	O	O	O
25	Radiografia colonna cervicale in flessione/estensione e bacino		…	O	F	O	O

26	Dentizione attiva		Sì/No (al basale) Ripresa/Non attiva (FU)	O	O	O	O
27	Funzionalità visiva		Normale/Alterata	O	F	O	O
	Se alterata, indicare:						
	27.A	Acuità visiva	… decimi	O	F	O	O
	27.B	Pressione oculare	… mmHg	O	F	O	O
	27.C	Fondo oculare	…	O	F	O	O
	27.D	Esame della cornea	…	O	F	O	O
28	Funzionalità uditiva		□ Normale □ Perdita parziale o completa dell'udito (indicare i valori di perdita uditiva: …. dB)	O	F	O	O
29	Utilizzo di analgesici		Sì/No	O	O	O	O
30	Qualità della vita [usando questionario SF-12]		… score	O	F	O	O
31	Eventi avversi correlati alla terapia da segnalare		Sì/No (indicare quale… menu a tendina disponibile già nel sistema del Registro Malattie Rare e inserimento di un collegamento diretto al sito vigifarmaco.it per invio della segnalazione)	/	O	O	O
32	Reazione allergiche al farmaco da segnalare		Sì/No (inserimento di un collegamento diretto al sito vigifarmaco.it per invio della segnalazione)	/	O	O	O
33	Immunogenicità		Sì/No	/	F	F	F
34	Trapianto di midollo o altre operazioni da segnalare (indicare quale:….)		Sì/No	/	O	O	O
	Solo se sì alla domanda precedente:						

	34.A	Data dell'intervento:	…/…/…	/	F	F	F
35	**Esito della valutazione**: si ritiene che il paziente debba proseguire la terapia?		Sì/No [Se Sì: compilare la richiesta farmaco; se No: compilare scheda fine terapia]	/	O	O	O

Criteri che il clinico del centro accreditato deve considerare ad ogni visita di follow-up, per valutare l'eventuale sospensione del farmaco previo consenso informato del paziente o della sua famiglia/tutore
Indicare se il paziente presenta uno dei criteri sottoelencati: □ mancata *compliance* del paziente a laronidase o alle visite di follow-up clinico strumentale o mancata risposta al protocollo di desensibilizzazione □ il paziente sviluppa severe reazioni associate alle infusioni non controllate da appropriata premedicazione e/o aggiustamento della velocità di infusione e/o mancata risposta al protocollo di desensibilizzazione □ il paziente sviluppa una complicanza rischiosa per la vita o severa la cui prognosi possa essere difficilmente influenzata da trattamento con laronidase

Scheda a cura del Prescrittore

3A. PRIMA SCHEDA RICHIESTA FARMACO (RF) (**O**: Obbligatorio l'inserimento; **F**: facoltativo l'inserimento)		
Posologia raccomandata: 100 U/Kg ev, una volta a settimana		
O	Data richiesta farmaco	…/…/….
O	Posologia	
O	N. flaconi da dispensare	

3B. SCHEDA RICHIESTA FARMACO (RF) – PER PRESCRIZIONI SUCCESSIVE ALLA PRIMA (**O**: Obbligatorio l'inserimento; **F**: facoltativo l'inserimento)		
Posologia raccomandata: 100 U/Kg ev, una volta a settimana		
O	Data richiesta farmaco	…/…/….
O	Prevista modifica del dosaggio?	Sì
		No
	Se no, il sistema riporta in automatico la posologia indicata nelle prescrizioni precedenti, se sì indicare la nuova posologia:	
	O Posologia	
O	N. flaconi da dispensare	

Scheda a cura del Farmacista

6. SCHEDA DI DISPENSAZIONE FARMACO (DF)	
L'erogazione da parte del Farmacista può avvenire solo a fronte della presentazione di una richiesta farmaco in corso di validità	
Descrizione del farmaco erogato	
AIC	
Numero di confezioni erogate	
Data dispensazione farmaco	…/…/….

Compilazione a cura del Prescrittore

7. SCHEDA FINE TRATTAMENTO (FT) (**O**: Obbligatorio l'inserimento; **F**: facoltativo l'inserimento)			
O	Data fine trattamento		../../..
O	Indicare la causa fine trattamento		Fallimento terapia
			Non aderenza alla terapia
			Passaggio ad altra alternativa terapeutica
			Trapianto di midollo
			Altra motivazione clinica (specificare quale): ……
			Comparsa di eventi avversi [inserire collegamento diretto con il sito vigifarmaco.it]
			Decisione del paziente (motivare): ……
			Decesso
	O	Se *Decesso* indicare se il motivo del decesso è:	Malattia (per il quale il paziente è in trattamento)
			Tossicità correlata al farmaco
			Altro (specificare quale):
	O	Se *Decesso* indicare la data del decesso	../../..