

E	Campo obbligatorio ai fini dell'eleggibilità	BYLVAY (odevixibat) Colestasi intraepatica familiare progressiva (<i>progressive familial intrahepatic cholestasis</i> , PFIC)			
O	Campo obbligatorio				
Bylvay è indicato per il trattamento della colestasi intraepatica familiare progressiva (<i>progressive familial intrahepatic</i>)					
1- Scheda Registrazione paziente (RP)					
E	Età	≥ 6 mesi			
2- Scheda Eleggibilità e Dati Clinici (EDC)					
E	Diagnosi	PFIC	selezionabile solo se risposto NO alla domanda "La diagnosi è stata confermata da test genetico"		
		PFIC1			
		PFIC2			
		PFIC3			
		PFIC4			
		PFIC5			
		PFIC associato a difetti di MYO5B			
O	Data della prima diagnosi di patologia	giorno/mese/anno			
O	La diagnosi è stata confermata da test genetico?	Sì			
		No			
E	La diagnosi è stata confermata clinicamente nei pazienti con genetica inconclusiva?	Sì			
		No	blocca		
E	Il paziente manifesta la completa assenza o mancanza di funzionalità della proteina della pompa di efflusso dei sali biliari (Bile Salt Export Pump, BSEP)(ossia i pazienti con sottotipo BSEP3 di PFIC2)	Sì	blocca		Questa domanda compare solo se risposto PFIC2 alla domanda "Diagnosi"
		No			
O	Il paziente presenta:	ittero o sub-ittero	scelta multipla		
		prurito			
		splenomegalia			
		epatomegalia			
		crescita ridotta			
		Altro			
	Se Altro , specificare	...	testo libero		
O	Indicare il valore Albireo ObsRO	valori da 0 a 4			
O	Alanina aminotransferasi (ALT)	...U/L			
O	Aspartato aminotransferasi (AST)	...U/L			
O	Gamma-glutamyl transferasi (GGT)	...U/L			
O	Fosfatasi alcalina	...U/L			
O	Bilirubina totale	...µmol/L			
O	Concentrazione acidi biliari nel siero	...µmol/L			
E	E' stata effettuata la valutazione dei valori delle vitamine liposolubili (vitamine	Sì			
		No	blocca		
O	Altri trattamenti farmacologici in corso per PFIC	Acido ursodesossilico (UDCA)	scelta multipla tranne che se scelto "nessun trattamento"		
		Rifampicina			
		Idroxizina			
		Antistaminici			
		Naltrexone			
		Nessun trattamento			
		Altro			
O	Se Altro , specificare	...	testo libero		
O	Il paziente ha eseguito trattamenti chirurgici specifici per PFIC	Diversione biliare	scelta multipla tranne che se scelto "nessun trattamento"		
		Trapianto di fegato			
		Nessun trattamento			
		Altro			
	Se Altro , specificare	...	testo libero		

Per paziente donna				
E	La paziente è stata informata della necessità di usare un metodo	Sì		
		No	blocca	
E	Presa visione delle indicazioni riportate nell'RCP (paragrafo 4.6) per fertilità,	Sì		
		No	blocca	
Paziente già in trattamento				
Sezione relativa al 'Paziente già in trattamento' secondo: - DM 07/09/2017 - Legge 648/96 (senza monitoraggio tramite i registri AIFA) - Legge 326/2003 Art. 48 - Studi clinici. NOTA: L'eleggibilità per questi pazienti (risposta 'Sì' alla domanda 'Paziente già in trattamento') è riferita all'inizio reale del trattamento con il medicinale. La raccolta delle informazioni è necessaria ai fini del proseguimento del trattamento e follow up (inserimento delle Rivalutazioni-stato di malattia obbligatorie) a carico del SSN. Il trattamento effettuato (RFn/DFn) nel periodo precedente alla rimborsabilità SSN non rientra nei calcoli dell'applicazione dell'eventuale MEA.				
O	Paziente già in trattamento con odevixibat per questa indicazione?	Sì		
		No		
Se Sì alla riga sopra, indicare:				
O	Data di inizio trattamento con odevixibat	.../.../....		
O	Numero di cicli già effettuati	...		
4- Scheda Richiesta Farmaco (RF)				
La dose raccomandata di odevixibat è di 40 µg/kg somministrata per via orale una volta al giorno al mattino. <u>Aumento della dose</u> In alcuni pazienti, dopo l'inizio della terapia con odevixibat possono verificarsi gradualmente il miglioramento del prurito e la riduzione dei valori degli acidi biliari nel siero. Se dopo 3 mesi di terapia continua non vi è ancora stata una risposta clinica adeguata, la dose può essere aumentata a 120 µg/kg/die (vedere paragrafo 4.4 dell'RCP). <u>Dosi saltate</u> Se si dimentica di assumere una dose di odevixibat, il paziente deve assumere la dose dimenticata non appena possibile, senza superare una dose al giorno.			testo fisso	

O	Numero di cicli per RF	1	da RF4 a RF12	
		2		
		3		
		4		
		5	da RF 13	
		6		
O	Dose/die	...µg	Calcolo automatico max 7200 µg	
O	Dose totale per ciclo	...µg	Dose/die *30*numero di cicli per RF	
Dalla RF2 in poi:				
O	Il paziente ha avuto una reazione nociva e non voluta al medicinale nel ciclo	Si		
		No		
E	E' stata effettuata la valutazione delle analisi della funzionalità epatica (alanina)	Si		
		No	blocca	
E	E' stata effettuata la valutazione dei valori delle vitamine liposolubili (vitamine	Si		
		No	blocca	
4- Scheda Dispensazione Farmaco (DF)				
<p>ATTENERSI ALLE UNITA' POSOLOGICHE RIPORTATE NELLE SEGUENTI TABELLE. COME ESPRESSAMENTE RIPORTATO NELL'RCP DI BYLVAY NON E' POSSIBILE UTILIZZARE DUE AIC DIFFERENTI PER RAGGIUNGERE LA DOSE DIE RICHIESTA IN FASE DI PRESCRIZIONE.</p> <p>TABELLA 1 DELL'RCP: Numero di capsule di Bylvay necessarie per raggiungere la dose nominale di 40 µg/kg/die</p> <p>Peso corporeo da 4 a < 7,5 (kg) 1 capsula da 200 µg o n.d. Peso corporeo da 7,5 a < 12,5 (kg) 2 capsule da 200 µg o 1 capsula da 400 µg Peso corporeo da 12,5 a < 17,5 (kg) 3 capsule da 200 µg o n.d. Peso corporeo da 17,5 a < 25,5 (kg) 4 capsule da 200 µg o 2 capsule da 400 µg Peso corporeo da 25,5 a < 35,5 (kg) 6 capsule da 200 µg o 3 capsule da 400 µg Peso corporeo da 35,5 a < 45,5 (kg) 8 capsule da 200 µg o 4 capsule da 400 µg Peso corporeo da 45,5 a < 55,5 (kg) 10 capsule da 200 µg o 5 capsule da 400 µg Peso corporeo ≥ 55,5 (kg) 12 capsule da 200 µg o 6 capsule da 400 µg</p> <p>TABELLA 2 DELL'RCP: Numero di capsule di Bylvay necessarie per raggiungere la dose nominale di 120 µg/kg/die</p> <p>Peso corporeo da 4 a < 7,5 (kg) 1 capsula da 600 µg o n.d. Peso corporeo da 7,5 a < 12,5 (kg) 2 capsule da 600 µg o 1 capsula da 1200 µg Peso corporeo da 12,5 a < 17,5 (kg) 3 capsule da 600 µg o n.d. Peso corporeo da 17,5 a < 25,5 (kg) 4 capsule da 600 µg o 2 capsule da 1200 µg Peso corporeo da 25,5 a < 35,5 (kg) 6 capsule da 600 µg o 3 capsule da 1200 µg Peso corporeo da 35,5 a < 45,5 (kg) 8 capsule da 600 µg o 4 capsule da 1200 µg Peso corporeo da 45,5 a < 55,5 (kg) 10 capsule da 600 µg o 5 capsule da 1200 µg Peso corporeo ≥ 55,5 (kg) 12 capsule da 600 µg o 6 capsule da 1200 µg</p>				
	Lista AIC "principio attivo"	Numero di confezioni/partizionamento		
O	049571019 - 200 microgrammi capsule rigide, 30 capsule	0, 1, n	Selezionabili solo se posologia in RF= 40 µg/kg/die	
	049571021 - 400 microgrammi capsule rigide, 30 capsule	0, 1, n		
	049571033 - 600 microgrammi capsule rigide, 30 capsule	0, 1, n	Selezionabili solo se posologia in RF= 120 µg/kg/die	
	049571045 - 1200 microgrammi capsule rigide, 30 capsule	0, 1, n		

5- Scheda Rivalutazione (RV)			
Rivalutazione obbligatoria: Riv1 dopo RF3; Riv 2 dopo RF6; Riv successive ogni 6 cicli			
O	Data di RV	.../.../....	
O	Il paziente ha avuto una reazione nociva e non voluta al medicinale nel ciclo	<input type="checkbox"/> Sì <input type="checkbox"/> No	<i>link RNfV</i>
O	Il paziente presenta:	<input type="checkbox"/> ittero o sub-ittero	scelta multipla
		<input type="checkbox"/> prurito	
		<input type="checkbox"/> splenomegalia	
		<input type="checkbox"/> epatomegalia	
		<input type="checkbox"/> crescita ridotta	
		<input type="checkbox"/> Altro	
O	Alanina aminotransferasi (ALT)	...U/L	
O	Aspartato aminotransferasi (AST)	...U/L	
O	Gamma-glutamyl transferasi (GGT)	...U/L	
O	Fosfatasi alcalina	...U/L	
O	Bilirubina totale	...µmol/L	
O/E	Concentrazione acidi biliari nel siero (A)	...µmol/L	
O/E	Variazione concentrazione sierica di acidi biliari (B)	...%	Variazione = (-) [(concentrazione in Riv - concentrazione in EDC)/concentrazione in EDC] x 100
O	Indicare il valore Albireo ObsRO		valori da 0 a 4
E	Δ valore Albireo ObsRO (C)		Valore in Riv - Valore in EDC

Dopo 6 mesi di trattamento (da Riv 2 obbligatoria) blocca:

1) A> 70 µmol/L AND B < 70%

O

2) (A> 70 µmol/L OR B < 70%) AND (C <1 OR D è una delle risposte negative in neretto ("Lieve peggioramento"/"Moderato peggioramento"/"Deciso peggioramento"))

O	Indicare il valore PGIC-itch (D)	Deciso miglioramento		
		Moderato miglioramento		
		Lieve miglioramento		
		Nessun cambiamento		
		Lieve peggioramento		
		Moderato peggioramento		
		Deciso peggioramento		
O	Il paziente:	prosegue il trattamento farmacologico concomitante		
		sospende il trattamento farmacologico concomitante		
		modifica il trattamento farmacologico concomitante		
O	Se "Modifica il trattamento farmacologico concomitante", specificare il trattamento	Acido ursodesossilico (UDCA)	scelta multipla	
		Rifampicina		
		Idroxizina		
		Antistaminici		
		Naltrexone		
	Altro			
	Se Altro , specificare	...	testo libero	
O	Il paziente prosegue il trattamento?	Si		
		No	blocca e compila FT	
6- Scheda Fine Trattamento (FT)				
O	Data di FT	.././....		
O	Causa del FT	Progressione di malattia	link RNfV	
		Tossicità al medicinale	link RNfV	
		Perso al follow up		
		Decisione Clinica		
		Decisione Paziente		
		Chiusura monitoraggio		
		Gravidanza		
		Causa non dipendente dal farmaco		
	Decesso			
O	Se decesso indicare se il motivo del FT è:	Progressione di malattia	link RNfV	
		Tossicità al medicinale	link RNfV	
		Altro		
O	Se decesso indicare la data del decesso:	.././....		
O	Concentrazione acidi biliari nel siero	...µmol/L		
O	Variazione concentrazione sierica di acidi biliari	...%	Variazione = - [(concentrazione in Riv - concentrazione in EDC)/concentrazione in EDC] x 100 numero intero	
O	E' disponibile il valore Albireo ObsRO	Si		
		No		
O	Se Si, indicare il valore Albireo ObsRO			
O	Alanina aminotransferasi (ALT)	...U/L		
O	Aspartato aminotransferasi (AST)	...U/L		
O	Gamma-glutamyl transferasi (GGT)	...U/L		
O	Fosfatasi alcalina	...U/L		
O	Bilirubina totale	...µmol/L		