


E	<i>Campo obbligatorio ai fini dell'eleggibilità</i>		VOXZOGO (vosoritide) Acondroplasia	
O	<i>Campo obbligatorio</i>			
<p>Indicazione autorizzata e rimborsata: trattamento dell'acondroplasia in pazienti di età compresa tra i 2 e i 14 anni al momento dell'inizio della terapia e le cui epifisi non siano chiuse. La diagnosi di acondroplasia deve essere confermata mediante opportuna analisi genetica.</p>				
1- Scheda Registrazione paziente (RP)				
E	Età	[2-14] anni		
2- Scheda Eleggibilità e Dati Clinici (EDC)				
E	Diagnosi di acondroplasia supportata da opportuna analisi genetica?	<input type="checkbox"/> Sì <input type="checkbox"/> No	Blocca	
O	Età di esordio della malattia (aa)			
O	Peso corporeo (kg)			
O	Peso corporeo Z-score			http://www.siedp.it/pagina/151/growth+calculator+3
O	Altezza (cm)			
O	Altezza Z-score			http://www.siedp.it/pagina/151/growth+calculator+3
O	Velocità di crescita annuale (AGV o VCA) (anno precedente all'inizio del trattamento)	...(cm/anno)		
O	Rapporto segmento corporeo superiore/segmento inferiore			
E	Il paziente presenta ipocondroplasia o bassa statura, diversa da acondroplasia	<input type="checkbox"/> Sì <input type="checkbox"/> No	Blocca	
E	Sono state escluse cause secondarie di rallentato accrescimento staturale (es. ipotiroidismo, malattie infiammatorie intestinali, etc.)	<input type="checkbox"/> Sì <input type="checkbox"/> No	Blocca	

O	Precedenti trattamenti per acondroplasia a cui è stato sottoposto il paziente	nessuno	selezione multipla
		chirurgia di allungamento degli arti	
		GH	
		altro	
O	Se altro, specificare	...	testo libero
O	Principali comorbidità associate all'acondroplasia	idrocefalo	selezione multipla, eccetto se selezionato "nessuna"
		apnee ostruttive	
		ipoacusia trasmissiva	
		alterazioni del rachide (es. toracocifosi, iperlordosi)	
		obesità/insulino-resistenza	
		stenosi del canale vertebrale	
		nessuna	
		altro	
O	Se altro, specificare	...	testo libero
E	Il clinico ha preso visione di quanto riportato in RCP al paragrafo 4 [Controindicazioni, Avvertenze speciali e Precauzioni d'impiego, Interazioni con altri medicinali ed altre forme d'interazione]?	Si	
		No	Blocca
<p><i>Sezione relativa al 'Paziente già in trattamento' secondo:</i></p> <ul style="list-style-type: none"> - uso compassionevole - Legge 648/96 (senza monitoraggio tramite i registri AIFA) - Legge 326/2003 Art. 48 - Studi clinici <p>NOTA: L'eleggibilità per questi pazienti (risposta 'Si' 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 a carico SSN. Il trattamento effettuato (RFn/DFn) nel periodo precedente alla rimborsabilità SSN non rientra nei calcoli dell'applicazione dell'eventuale MEA.</p>			
O	Paziente già in trattamento con vosoritide secondo i criteri di monitoraggio richiesti dalla scheda AIFA?	Si	
		No	
Se risposto "SI" alla domanda precedente, indicare:			
O	Data della prima somministrazione di vosoritide?	.././....	
O	Numero RF/DF già somministrate al paziente		

3- Scheda Richiesta Farmaco (RF)	
Esclusivo uso sottocutaneo.	
<p>Il trattamento con vosoritide deve essere iniziato e supervisionato da un medico opportunamente qualificato nella gestione dei disturbi della crescita o delle displasie scheletriche.</p> <p><u>Posologia</u> È importante iniziare il trattamento nei bambini il prima possibile. Il volume di vosoritide da somministrare alla dose raccomandata è basato sul peso del paziente e sulla concentrazione di vosoritide (vedere Tabella 1 dell'RCP). La dose abituale è di 15 µg/kg di peso corporeo.</p> <p><u>Durata del trattamento</u> I pazienti devono essere monitorati e valutati regolarmente ogni 3-6 mesi per verificare il peso corporeo, la crescita e lo sviluppo fisico. Il trattamento con questo medicinale deve essere interrotto dopo la conferma dell'assenza di ulteriore potenziale di crescita, indicata da una velocità di crescita < 1,5 cm/anno e dalla chiusura delle epifisi.</p> <p><u>Dose saltata</u> Se una dose di vosoritide viene saltata, può essere somministrata entro 12 ore. Se sono trascorse più di 12 ore dalla programmazione originale della somministrazione, la dose saltata NON deve essere somministrata. I pazienti/caregiver devono essere istruiti a continuare con la prossima dose programmata nel giorno successivo.</p> <p>Al momento dell'iniezione, i pazienti devono essere ben idratati. Si raccomanda che i pazienti consumino uno spuntino leggero e bevano un bicchiere di liquidi (ad es. acqua, latte, succo, ecc.) circa 30 minuti prima dell'iniezione. Questo accorgimento serve a diminuire la comparsa di segni e sintomi di potenziale riduzione della pressione arteriosa (capogiro, stanchezza e/o nausea) (vedere paragrafo 4.4, Effetti sulla pressione arteriosa).</p>	testo fisso

ATTENZIONE: Il registro non fornisce indicazioni sul volume di vosoritide da somministrare al paziente ma si limita a gestire la scelta della concentrazione e la quantità di farmaco necessari a soddisfare correttamente la prescrizione. Si invita pertanto il prescrittore a fornire tutte le adeguate informazioni ai genitori/caregiver in merito alla dose effettiva da somministrare

Volumi delle singole dosi in base al peso corporeo

Peso corporeo (kg)	Vosoritide 0,4 mg Solvente (acqua per preparazioni iniettabili): 0,5 mL concentrazione: 0,8 mg/mL	Vosoritide 0,56 mg Solvente (acqua per preparazioni iniettabili): 0,7 mL concentrazione: 0,8 mg/mL	Vosoritide 1,2 mg Solvente (acqua per preparazioni iniettabili): 0,6 mL concentrazione: 2 mg/mL
Volume giornaliero di preparazione iniettabile (mL)			
10-11	0,30 mL		
12-16		0,35 mL	
17-21		0,40 mL	
22-32		0,50 mL	
33-43			0,25 mL
44-59			0,30 mL
60-89			0,35 mL
≥ 90			0,40 mL

La durata di una RF è 30 gg.

E	Data richiesta farmaco	.././....	
O	Peso corporeo (kg)		valore numerico
O	Posologia	15 mcg/kg al giorno	combobox

<input type="radio"/>	Dose die (mcg)		In automatico dal sistema: se peso tra [10-11] dose die = 0.24 mg =240 mcg se peso tra [12-16] dose die = 0.28 mg= 280 mcg se peso tra [17-21] dose die = 0.32 mg= 320 mcg se peso tra [22-32] dose die = 0.40 mg= 400 mcg se peso tra [33-43] dose die = 0.5 mg= 500 mcg se peso tra [44-59] dose die = 0,6 mg= 600 mcg se peso tra [60-89] dose die = 0.7 mg= 700 mcg se peso > 90 dose die = 0.8 mg = 800 mcg
<input type="radio"/>	Dose totale (mcg)		<i>valore numerico, calcolo in automatico.</i> <i>Dose/die * 30 giorni * numero RF cumulative</i>
<input type="radio"/>	Numero di RF cumulative (1 RF= 30 giorni)	1 2 3 4 5 6	<i>max 3 per le prime 2 RF</i>
Dalla RF2 si aprono anche le seguenti domande:			
<input type="radio"/>	Ci sono state reazioni avverse al medicinale nel ciclo precedente?	Si No	Link RNFV
<input type="radio"/>	Indicare le reazioni avverse	Ipotensione o sintomi associati (cefalea, stanchezza e/o nausea) Reazioni in sede di iniezione Immonogenicità Altro, specificare	

4- Scheda Dispensazione Farmaco (DF)			
Volumi delle singole dosi in base al peso corporeo			
Peso corporeo (kg)	Vosoritide 0,4 mg Solvente (acqua per preparazioni iniettabili): 0,5 mL concentrazione: 0,8 mg/mL	Vosoritide 0,56 mg Solvente (acqua per preparazioni iniettabili): 0,7 mL concentrazione: 0,8 mg/mL	Vosoritide 1,2 mg Solvente (acqua per preparazioni iniettabili): 0,6 mL concentrazione: 2 mg/mL
Volume giornaliero di preparazione iniettabile (mL)			
10-11	0,30 mL		
12-16		0,35 mL	
17-21		0,40 mL	
22-32		0,50 mL	
33-43			0,25 mL
44-59			0,30 mL
60-89			0,35 mL
≥ 90			0,40 mL
<input type="radio"/>	Data dispensazione farmaco	.././....	
	Lista AIC	Numero di confezioni	
<input type="radio"/>	AIC 049692015: 0,4 mg polvere e solvente per soluzione iniettabile – 10 flaconcini	0,...n	<i>se peso in RF compreso 10-11 kg selezionabile solo questo AIC</i>
	AIC 049692027: 0,56 mg polvere e solvente per soluzione iniettabile – 10 flaconcini	0,...n	<i>se peso in RF compreso 12-32 kg selezionabile solo questo AIC</i>
	AIC 049692039: 1,2 mg polvere e solvente per soluzione iniettabile – 10 flaconcini	0,...n	<i>se peso in RF maggiore di 33 kg selezionabile solo questo AIC</i>
<input type="radio"/>	Dose da dispensare	...mcg	<i>in automatico da RF</i>
<input type="radio"/>	Dose dispensata	...mcg	<i>in automatico</i>

5- Scheda Rivalutazione (RIV)		
Rivalutazioni obbligatorie: Riv1 dopo RF3; Riv 2 dopo RF6; RIV 3 dopo RF12; Riv successive ogni 12 RF.		
O	Data Rivalutazione	.././....
O	Peso corporeo (kg)	
O	Peso corporeo Z-score	http://www.siedp.it/pagina/151/growth+calculator+3
O	Altezza (cm)	
O	Altezza Z-score	http://www.siedp.it/pagina/151/growth+calculator+3
O	Variazione di crescita dall'inizio del trattamento con vosoritide	Domanda presente da Riv2 in poi (differenza altezza in RIV-altezza in EDC)
E	Velocità di crescita annualizzata (AGV o VCA) (cm/anno) rispetto alla precedente valutazione	Domanda presente da Riv2 in poi calcolo automatico: $AGV = (altezza\ alla\ RIV - Altezza\ in\ EDC / data\ Riv - data\ EDC) \times 365.25$ Dalla Riv3 in poi, il calcolo si effettua rispetto alla rivalutazione precedente blocca se < 1.5 cm/anno AND "chiusura delle epifisi=Si"
O	Rapporto segmento corporeo superiore/segmento inferiore	
Per pz di sesso femminile dopo i 13 aa e per pz di sesso maschile dopo i 15 aa, si apre la domanda sottostante		
E	Il paziente ha completato la chiusura delle epifisi?	Si No
		blocca se Sì AND AGV o VCA < 1.5 cm/anno
O	Principali comorbidità associate all'acondroplasia	idrocefalo apnee ostruttive ipoacusia trasmissiva alterazioni del rachide (es. toracocifosi, iperlordosi) obesità/insulino-resistenza stenosi del canale vertebrale nessuna altro
		selezione multipla, eccetto se selezionato "nessuna"

O	Ci sono state reazioni avverse al medicinale?	Si	Link RNFV
		No	
E	Il paziente prosegue il trattamento?	Si	
		No	Blocca la prosecuzione del trattamento e manda alla compilazione della scheda di FT
6- Scheda Fine Trattamento (FT)			
O	Data di FT	.././....	
O	Ci sono state reazioni avverse al medicinale?	Si	Link RNFV
		No	
O	Indicare le reazioni avverse	Ipotensione o sintomi associati (cefalea, stanchezza e/o nausea)	
		Reazioni in sede di iniezione	
		Immunogenicità	
		Altro, specificare	
O	Causa di Fine Trattamento	Fine regolare del trattamento	=raggiunta chiusura epifisi
		Inefficacia	
		Tossicità	
		Perso al follow up	
		Decisione Clinica	
		Decisione Paziente/Genitore	
		Causa non dipendente dal farmaco	
		Decesso	
O	Se Decesso , indicare se il motivo del FT è:	Tossicità al medicinale	
		Altro	
O	Se Decesso , indicare la data del decesso:	.././....	