


E	Campo obbligatorio ai fini dell'eleggibilità		AMVUTTRA (vutrisiran) Amiloidosi da TTR	
O	Campo obbligatorio			
Amvuttra è indicato per il trattamento dell'amiloidosi ereditaria mediata dalla transtiretina (amiloidosi hATTR) in pazienti adulti affetti da polineuropatia allo stadio 1 o allo stadio 2.				
1- Scheda Registrazione paziente (RP)				
E	Età	≥18		
2- Scheda Eleggibilità e Dati Clinici (EDC)				
O	Diagnosi	Amiloidosi da TTR		
E	Mutazione TTR	Si		
		No		blocca
O	Indicare Mutazione TTR	...		editabile
O	Biopsia che documenta i depositi di amiloide	Si		
		No		
E	<i>Se No indicare se: Paziente sintomatico con neuropatia sensitivo motoria lunghezza dipendente associata a disautonomia con variante amiloidogenica nota e in assenza di altre cause di neuropatia (ad esempio: diabete, CIPD, amiloidosi AL, etilismo cronico, neuropatia da anticorpi anti-MAG; deficit da vitamina B12)</i>	Si		
		No		blocca
E	Polineuropatia sintomatica di (stadio FAP)	stadio 1		
		stadio 2		
		stadio 3		blocca
O	Norfolk QoL-DN (range da -4 a 136)	..		ammessi valori da -4 a 136 (n. interi positivi)
E	Neuropathy Impairment Score (NIS, range 0 - 244)			ammessi valori da 0 a 244. blocca per valori > 130
O	NIS-W (motor strength/weakness)			ammessi valori da 0 a 192
O	Punteggio totale NCS (SNAP surale + CMAP tibiale + SNAP ulnare + CMAP ulnare + CMAP peroneale)	...		
O	Karnofsky performance status (%)	..		
E	Epatite B o C in fase attiva?	Sì		blocca
		No		
O	Funzionalità epatica	Normale		
		Compromessa		
E	Indicare compromissione epatica	Child Pugh A		
		Child Pugh B		blocca
		Child Pugh C		blocca
O	Funzionalità renale	Normale		
		Compromessa		

E	Indicare compromissione renale	lieve ($50 \leq \text{ClCr} < 90 \text{ ml/min}$)	
		moderata ($30 \leq \text{ClCr} < 50 \text{ ml/min}$)	
		grave ($\text{ClCr} < 30 \text{ ml/min}$, senza dialisi)	blocca
		terminale ($\text{ClCr} < 30 \text{ ml/min}$, con necessità di dialisi)	blocca
O	Il paziente è stato precedentemente trattato con patisiran?	Sì	
		No	
E	Il trattamento con patisiran è stato interrotto per:	Tossicità	Se Sì alla domanda precedente, si apre questa. Se "Inefficacia" blocca
		Inefficacia	
		Scarsa tollerabilità	
		Passaggio a trattamento con vutrisiran per necessità di modificare lo schema di trattamento	
		Altro	
E	Terapie concomitanti per TTR-FAP	Tafamidis	blocca
		Patisiran	blocca
		Nessuna	
		Altro	
O	Specificare altra terapia concomitante	...	testo libero
O	Paziente sottoposto al trapianto del fegato?	Sì	
		No	
O	Il paziente presenta	sintomi gastrointestinali	
		disfunzione erettile	visibile solo se M
		cardiomiopatia	
		alterazioni del ritmo	
		blocco atrioventricolare	
		insufficienza cardiaca	
		ipotensione ortostatica	
		altro...	editabile
O	La paziente è potenzialmente fertile?	Sì	solo se F
		No	se risposto 'Sì' compilare anche i campi seguenti
E	Trattamento con contraccettivi orali di tipo combinato oppure impegno a totale e continua astinenza sessuale	Sì	
		No	blocca
E	Informata del potenziale rischio teratogeno per il feto	Sì	
		No	blocca

E	La paziente è stata informata a della necessità di utilizzare un metodo contraccettivo efficace 4 SETTIMANE prima dell'inizio del trattamento, durante il trattamento e per 4 SETTIMANE dopo la fine del trattamento con patisiran o di impegnarsi alla totale e continua astinenza sessuale?	Si	
		No	blocca
E	La paziente è stata informata che, anche in caso di amenorrea, deve attenersi alle indicazioni sulla contraccezione?	Si	
		No	blocca
E	Conferma che la paziente è in grado di seguire le misure contraccettive?	Si	
		No	blocca
il campo seguente viene visualizzato solo se paziente M			
E	Il paziente è stato informato della necessità di utilizzare il profilattico per tutta la durata del trattamento, durante l'interruzione e fino a 4 SETTIMANE dopo il termine del trattamento se la partner è potenzialmente fertile?	Si	
		No	blocca
<p>Sezione relativa al 'Paziente già in trattamento' secondo:</p> <ul style="list-style-type: none"> - DM 08/05/2003 - 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 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.</p>			testo fisso relativo alla sezione sottostante
O	Il paziente è già in trattamento con vutrisiran in accordo ai criteri di eleggibilità riportati nella scheda di monitoraggio AIFA?	Si	
		No	
O	Se sì, indicare quanti cicli sono stati già effettuati	...	In base al numero di cicli riportato in questo box verrà gestito l'obbligatorietà dell'inserimento della scheda di RIV
O	Se sì indicare la data di inizio trattamento	../../....	

3- Scheda Richiesta Farmaco (RF)			
<p>La dose raccomandata di Amvuttra è di 25 mg somministrata mediante iniezione sottocutanea una volta ogni 3 mesi.</p> <p>Nei pazienti trattati con Amvuttra è consigliata l'integrazione di vitamina A a una dose giornaliera che non superi circa 2 500 UI - 3 000 UI (vedere paragrafo 4.4 dell'RCP).</p> <p>I pazienti che ricevono Amvuttra devono integrare la vitamina A per via orale assumendo una dose giornaliera non superiore a circa 2 500 UI - 3 000 UI, per ridurre il potenziale rischio di sintomi oculari dovuti a carenza di vitamina A.</p>			
1 RF = 1 ciclo (3 mesi)			
O/E	Descrizione	Valori ammissibili	
O	Data richiesta farmaco	../../....	
O	Posologia	25 mg	
O	Dose totale richiesta	25 mg	
Dalla RF2 in poi			
O	Il paziente ha avuto una reazione nociva e non voluta al medicinale nel ciclo precedente?	Sì	
		No	
O	Funzionalità epatica	Normale	
		Compromessa	
E	Indicare compromissione epatica	Child Pugh A	
		Child Pugh B	blocca
		Child Pugh C	blocca
O	Funzionalità renale	Normale	
		Compromessa	
E	Indicare compromissione renale	lieve (50 ≤ ClCr <90 ml/min)	
		moderata (30 ≤ ClCr <50 ml/min)	
		grave (ClCr <30 ml/min, senza dialisi)	blocca
		terminale (ClCr <30 ml/min, con necessità di dialisi)	blocca
O	Paziente sottoposto al trapianto del fegato?	Sì	
		No	

4- Scheda Dispensazione (DF)			
<input type="radio"/>	Data dispensazione	../../....	
<input type="radio"/>	Dispensazione numero	
<input type="radio"/>	Identificativo dispensazione	
<input type="radio"/>	Data inizio somministrazione	../../....	Se DF _n è anticipata rispetto alla fine del ciclo precedente di x gg, la DF _n +1 è comunque consecutiva alla data di fine effettiva di somministrazione
Lista AIC		Numero di confezioni	
<input type="radio"/>	050291018 -25 mg soluzione iniettabile – uso sottocutaneo - 1 siringa preriempita (vetro) – 0,5 mL (50 mg/mL)	0, 1	
<input type="radio"/>	Dose da dispensare	25 mg	
<input type="radio"/>	Dose dispensata	25 mg	

5- Scheda Rivalutazione (RV)			
Rivalutazioni obbligatorie ogni 3 cicli (9 mesi)			
O	Data di RIV	../../....	
E	Neuropathy Impairment Score (NIS, range 0 - 244)		ammessi valori da 0 a 244. blocca per valori > 130
O	ΔNIS		NIS in Riv - NIS in EDC
O	NIS-W (motor strength/weakness, range 0 - 192)		ammessi valori da 0 a 192.
E	ΔNIS -W		NIS-W in Riv - NIS-W in EDC in RIV1 blocca ≥ 9 da RIV2 in poi blocca ≥ 18
E	Polineuropatia sintomatica di (stadio FAP)	stadio 1	
		stadio 2	
		stadio 3	blocca
O	Ci sono state reazioni avverse al medicinale?	Si	link RNFV
		No	
E	Il paziente prosegue il trattamento?	Si	
		No	compilare FT
O	Funzionalità epatica	Normale	
		Compromessa	se indicato 'compromessa' viene visualizzato il campo seguente
E	Indicare il grado di compromissione	Child Pugh A	
		Child Pugh B	blocca
		Child Pugh C	blocca
O	Paziente sottoposto al trapianto del fegato?	Si	
		No	
La domanda successiva è presente solo nella prima rivalutazione			
O	Il paziente presenta	sintomi gastrointestinali	
		disfunzione erettile	visibile solo se M
		cardiomiopatia	
		alterazioni del ritmo	
		blocco atrioventricolare	
		insufficienza cardiaca	
		ipotensione ortostatica	
		altro...	editabile

6- Scheda di fine trattamento (FT)			
O	Data di FT	../../....	
O	Motivo del FT	Inefficacia	
		Tossicità al medicinale	
		Mancata (o scarsa) adesione alla terapia	
		Gravidanza	
		Decisione clinica	
		Decisione del paziente	
		Perso al follow up	
		Chiusura monitoraggio	
		<i>Decesso</i>	
O	Neuropathy Impairment Score (NIS, range 0 - 244)		<i>ammessi valori da 0 a 244.</i>
O	Δ NIS		NIS in Riv - NIS in EDC
O	NIS-W (motor strength/weakness, range 0 - 192)		<i>ammessi valori da 0 a 192.</i>
E	Δ NIS -W		NIS - W in Riv - NIS -W in EDC
i campi sottostanti appaiono solo se selezionato decesso come motivo del FT			
O	Causa del decesso	<i>Malattia</i>	
		<i>Tossicità al medicinale</i>	
		<i>Altro</i>	
O	Data del decesso	../../....	