

E	Campo obbligatorio ai fini dell'eleggibilità	Xenpozyme (olipudasi alfa)_Deficit di sfingomielinasi acida (ASMD)		
O	Campo obbligatorio			
<p>Xenpozyme è indicato come terapia enzimatica sostitutiva per il trattamento delle manifestazioni non neurologiche del deficit di sfingomielinasi acida (ASMD) di tipo A/B o B in pazienti pediatrici e adulti.</p>				
1- Scheda Registrazione paziente (RP)				
E	Età (anni)	≥0		
2- Scheda Eleggibilità e Dati Clinici (EDC)				
E	Diagnosi	sfingomielinasi acida (ASMD) di tipo A	blocca	
		sfingomielinasi acida (ASMD) di tipo A/B		
		sfingomielinasi acida (ASMD) di tipo B		
E	La diagnosi è stata confermata mediante esame enzimatico?	Sì		
		No	blocca	
O	E' stato effettuato anche il sequenziamento genetico?	Sì		
		No		
O	Indicare la variante genetica	...	Domanda presente se risposto "Sì" alla domanda precedente testo libero	
O	Il paziente è in grado di eseguire l'esame per la DLCO?	Sì		
		NO		
O	Diffusione polmonare del CO (DLCO) rispetto al valore normale atteso	...%	Domanda presente se risposto "Sì" alla domanda precedente	
O	Volume della milza	... MN (multiplo del normale)		
O	Volume del fegato	... MN (multiplo del normale)		

<input type="radio"/>	Altezza z-Score	...	Domanda solo per paziente < 18 anni	
<input type="radio"/>	ALT	... IU/L		
<input type="radio"/>	AST	... IU/L		
<input type="radio"/>	Bilirubina totale	... mg/dL		
<input type="radio"/>	Colesterolo HDL	... mg/dL		
<input type="radio"/>	Colesterolo LDL	... mg/dL		
<input type="radio"/>	Trigliceridi	... mg/dL		
<input type="radio"/>	Conta piastrinica	... x 10 ⁹ /L		
<input type="radio"/>	Il paziente presenta	epatosplenomegalia	scelta multipla	
		disfunzione polmonare progressiva		
		fibrosi epatica		
		cirrosi epatica		
		altra malattia epatica		
		osteopenia		
		trombocitopenia		
		dislipidemia		
		ipotonia		
		atassia		
		ritardo cognitivo		
		nessuna delle precedenti		
		altro		
Paziente già in trattamento				
<input type="radio"/>	Paziente già in trattamento con olipudasi alfa per questa indicazione ed in accordo con i criteri della scheda AIFA (DM 08/05/2013)	Sì		
		No		
Se la risposta alla domanda sopra è sì indicare inoltre:				
<input type="radio"/>	Il numero di RF (1 RF= 2 ST) già effettuate	...		
<input type="radio"/>	Data dell'inizio trattamento	.././...		

3- Scheda Richiesta Farmaco (RF)		
<p>Il trattamento con Xenpozyme deve essere supervisionato da un operatore sanitario esperto nella gestione dell'ASMD o di altri disturbi metabolici ereditari. L'infusione di Xenpozyme deve essere somministrata da un operatore sanitario con accesso a un adeguato supporto medico per gestire potenziali reazioni severe come reazioni da ipersensibilità sistemiche gravi.</p> <p>Il rapido metabolismo della sfingomielina (SM) accumulata, indotto da olipudasi alfa, genera prodotti di degradazione pro-infiammatori, che possono causare reazioni associate all'infusione e/o aumenti transitori degli enzimi epatici. Un regime di incremento graduale della dose può ridurre al minimo la maggior parte di questi eventi avversi.</p> <p>La dose di Xenpozyme si basa sul peso corporeo effettivo dei pazienti con indice di massa corporea (IMC) ≤ 30 o sul peso corporeo ottimale dei pazienti con indice di massa corporea (IMC) >30.</p>	testo fisso	
<p>Fase di incremento della dose</p> <p><u>Adulti:</u> La dose iniziale raccomandata di Xenpozyme è di 0,1 mg/kg per gli adulti (per ulteriori indicazioni, vedere anche il sottoparagrafo sulle dosi saltate) e successivamente, deve essere aumentata sulla base del regime di incremento della dose presentato nella Tabella 1 dell'RCP.</p> <p><u>Popolazione pediatrica:</u> La dose iniziale raccomandata di Xenpozyme è di 0,03 mg/kg per i pazienti pediatrici e deve essere successivamente aumentata sulla base del regime di incremento della dose presentato nella Tabella 2 dell'RCP.</p> <p>Fase di mantenimento La dose di mantenimento raccomandata di Xenpozyme è di 3 mg/kg ogni 2 settimane. Il peso corporeo effettivo sarà utilizzato per i pazienti con un IMC ≤ 30. Per i pazienti con un IMC >30, sarà utilizzato il peso corporeo ottimale</p>		
<p><u>Pazienti con IMC >30</u> Nei pazienti adulti e pediatrici con un indice di massa corporea (IMC) >30, il peso corporeo utilizzato per calcolare la dose di Xenpozyme viene stimato mediante il seguente metodo (per le fasi di incremento della dose e di mantenimento). Peso corporeo (kg) da utilizzare per il calcolo della dose = $30 \times (\text{altezza effettiva in m})^2$</p>	testo fisso	

<p>Per la corretta prescrizione di Xenpozyme si raccomanda di leggere attentamente l'RCP al paragrafo 4.2 Posologia e modo di somministrazione.</p> <p>Gravidanza I dati relativi all'uso di olipudasi alfa in donne in gravidanza non esistono. Gli studi sugli animali hanno mostrato tossicità riproduttiva (vedere paragrafo 5.3 dell'RCP). Xenpozyme non è raccomandato durante la gravidanza e in donne in età fertile che non utilizzano metodi contraccettivi, a meno che i potenziali benefici per la madre non superino i potenziali rischi, inclusi quelli per il feto.</p>			testo fisso	
RF= 2 settimane				
Posologia				
<input type="radio"/>	Peso (kg)	...		
<input type="radio"/>	Altezza (m)	...		
<input type="radio"/>	IMC (BMI)	calcolo automatico	
<input type="radio"/>	Posologia richiesta	0,03 mg/kg ogni due settimane 0,1 mg/kg ogni due settimane 0,3 mg/kg ogni due settimane 0,6 mg/kg ogni due settimane 1 mg/kg ogni due settimane 2 mg/kg ogni due settimane 3 mg/kg ogni due settimane	solo per pazienti < 18 anni	
<input type="radio"/>	Dose die	... mg	Se BMI ≤ 30, dose die= posologia x kg Se BMI > 30, dose die = posologia x h ² x 30	
<input type="radio"/>	Dose totale	... mg	dose totale = dose die	
<input type="radio"/>	Numero di cicli per RF	1 2 3 4 5 6	solo se fase di mantenimento	
<input type="radio"/>	Indicare la fase di trattamento	fase di incremento della dose fase di mantenimento	se fase di mantenimento si può prescrivere solo la posologia 3 mg/kg	
Per le RF successive alla prima:				

<input type="radio"/>	ALT	... IU/L	domande presenti solo in fase di incremento della dose	Fumetto: In alcuni pazienti trattati con Xenpozyme, si sono verificati aumenti transitori delle transaminasi (ALT o AST) entro 24 - 48 ore dopo un'infusione, durante la fase di incremento della dose, che generalmente sono tornati ai precedenti livelli di transaminasi pre-infusione, entro la successiva infusione programmata.
<input type="radio"/>	AST	... IU/L		
<input type="radio"/>	Aumenti clinicamente significativi dei livelli delle transaminasi che richiedono adeguamento del dosaggio?	Si		
		No		
<input type="radio"/>	Si sono verificate reazioni nocive e non volute al medicinale	Si	link RNFV	
		No		
<input type="radio"/>	Il ciclo precedente è stato ritardato per tossicità?	Si		
		No		

4- Scheda Dispensazione Farmaco (DF)				
	Durata RF	1 RF= 14 giorni		
<input type="radio"/>	Data DF	.././....		
Xenpozyme				
	Lista AIC	Numero di confezioni		
<input type="radio"/>	050121019 - Xenpozyme 20 mg polvere per concentrato per soluzione per infusione, 1 flaconcino	0... n		
<input type="radio"/>	50121045 - Xenpozyme 20 mg polvere per concentrato per soluzione per infusione, 25 flaconcini	0... n		
<input type="radio"/>	050121021 - Xenpozyme 20 mg polvere per concentrato per soluzione per infusione, 5 flaconcini	0... n		
<input type="radio"/>	50121033 - Xenpozyme 20 mg polvere per concentrato per soluzione per infusione, 10 flaconcini	0... n		
5- Scheda Rivalutazione (RIV)				
RIV obbligatoria ogni 12 RF				
<input type="radio"/>	Data di RV	.././....		
<input type="radio"/>	n° RF inserite prima di questa scheda	..	dato in automatico	
<input type="radio"/>	Stato di malattia (sulla base dei test effettuati e/o secondo il giudizio del clinico)	<input type="checkbox"/> migliorato <input type="checkbox"/> peggiorato <input type="checkbox"/> stabile		
<input type="radio"/>	Il paziente è in grado di eseguire l'esame per la DLCO?	<input type="checkbox"/> Sì <input type="checkbox"/> NO		
<input type="radio"/>	Diffusione polmonare del CO (DLCO) rispetto al valore normale atteso	...%	Domanda presente se risposto "Sì" alla domanda precedente	

<input type="radio"/>	Δ Diffusione polmonare del CO (DLCO)	...%	Calcolo automatico solo se DLCO presente in EDC DLCO in Riv - DLCO in EDC/DLCO in EDC x 100	
<input type="radio"/>	Volume della milza	..MN		
<input type="radio"/>	Δ Volume della milza	..%	Vol milza in Riv - Vol milza in EDC/ Vol milza in EDC x 100	
<input type="radio"/>	Volume del fegato	... MN (multiplo del normale)		
<input type="radio"/>	Δ Volume del fegato	..%	Vol fegato in Riv - Vol fegato in EDC/ Vol milza in EDC x 100	
<input type="radio"/>	Altezza z-Score	...	Domanda solo per paziente < 18 anni	
<input type="radio"/>	ALT	... IU/L		
<input type="radio"/>	AST	... IU/L		
<input type="radio"/>	Bilirubina totale	... mg/dL		
<input type="radio"/>	Colesterolo HDL	... mg/dL		
<input type="radio"/>	Colesterolo LDL	... mg/dL		
<input type="radio"/>	Trigliceridi	... mg/dL		
<input type="radio"/>	Conta piastrinica	... x 10 ⁹ /L		
<input type="radio"/>	Ci sono stati aumenti clinicamente significativi dei livelli di transaminasi che hanno richiesto la sospensione del trattamento?	Si		
		No		
<input type="radio"/>	Il paziente continua il trattamento	Si		
<input type="radio"/>		No	blocca e inserire FT	

6- Scheda Fine Trattamento (FT)				
<input type="radio"/>	Data di FT	.././....		
<input type="radio"/>	Motivo del FT	Inefficacia		
		Mancata (o scarsa) adesione alla terapia		
		Tossicità		
		Causa non dipendente dal farmaco		
		Gravidanza		
		Perso al follow up		
		Chiusura monitoraggio		
		Decesso		
<input type="radio"/>	Se motivo di FT è decesso indicare la causa del decesso:	Progressione		
		Tossicità		
		Altro		
<input type="radio"/>	Se motivo di FT è decesso indicare la data del decesso:	.././....		
<input type="radio"/>	Il paziente è in grado di eseguire l'esame per la DLCO?	Sì		
		NO		
<input type="radio"/>	Diffusione polmonare del CO (DLCO) rispetto al valore normale atteso	...%	Domanda presente se risposto "Sì" alla domanda precedente	
<input type="radio"/>	Δ Diffusione polmonare del CO (DLCO)	...%	Calcolo automatico solo se DLCO presente in EDC DLCO in FT - DLCO in EDC/DLCO in EDC x 100	
<input type="radio"/>	Volume della milza	..MN		
<input type="radio"/>	Δ Volume della milza	..%	Vol milza in FT - Vol milza in EDC/ Vol milza in EDC x 100	
<input type="radio"/>	Volume del fegato	... MN (multiplo del normale)		
<input type="radio"/>	Δ Volume del fegato	..%	Vol fegato in Riv - Vol fegato in EDC/ Vol milza in EDC x 100	
<input type="radio"/>	Altezza z-Score	...	Domanda solo per paziente < 18 anni	
<input type="radio"/>	ALT	... IU/L		

<input type="radio"/>	AST	... IU/L		
<input type="radio"/>	Bilirubina totale	... mg/dL		
<input type="radio"/>	Colesterolo HDL	... mg/dL		
<input type="radio"/>	Colesterolo LDL	... mg/dL		
<input type="radio"/>	Trigliceridi	... mg/dL		
<input type="radio"/>	Conta piastrinica	... x 10 ⁹ /L		