


E	Campo obbligatorio ai fini dell'eleggibilità		RAXONE (idebenone) - LHON	 AIFA AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO
O	Campo obbligatorio			
Raxone è indicato per il trattamento della compromissione visiva in pazienti adulti e adolescenti affetti da neuropatia ottica ereditaria di Leber (LHON) (vedere paragrafo 5.1).				
1- Scheda Registrazione paziente (RP)				
E	Età (aa)	≥14		
2- Scheda Eleggibilità e Dati Clinici (EDC)				
O	Data di esordio della Neuropatia ottica ereditaria di Leber (LHON)	____/____/____ <i>mese/anno</i>		
E	Sono state escluse cause di compromissione visiva diverse dalla LHON (es. neurite ottica)?	Si No		<i>blocca</i>
O	Mutazione missenso del mtDNA a carico del complesso I validata come patogena per la LHON	11778/ND4 3460/ND1 14484/ND6 Altro		<i>combobox</i>
	Se Altro, specificare	<i>testo libero</i>		
O	Presenza di comorbidità	No Neurologiche Aritmia cardiaca Altro		<i>combobox</i>
	Se Altro, specificare	...		<i>testo libero</i>
Se selezionato <i>Neurologiche</i> al campo precedente, si apre la riga sottostante				
O	Specificare le comorbidità neurologiche	Atassia Tremore posturale Neuropatia periferica Miopatia aspecifica Epilessia Sindrome di Leigh Patologia sclerosi multipla-like Altro		<i>combobox</i>
	Se Altro, specificare	...		<i>testo libero</i>

E	Stadiazione della LHON	asintomatica (portatore di mutazione)	<i>blocca</i>
		subacuta (<6 mesi dall'esordio di malattia nel secondo occhio)	
		dinamica (6-12 mesi dall'esordio di malattia nel secondo occhio)	
		cronica (>12 mesi dall'esordio di malattia nel secondo occhio)	<i>blocca</i>
O	Paziente già trattato in precedenza con idebenone per altra indicazione?	Si	
		No	
Valutazione neuro-oftalmologica			
O	Acuità visiva (AV) al basale, valutata con tabella EDTRS	OD: AV <i>off chart</i>	<i>combobox</i>
		OD: AV <i>on chart</i>	
		OS: AV <i>off chart</i>	<i>combobox</i>
		OS: AV <i>on chart</i>	
Se selezionato AV <i>off chart</i> al campo precedente, si apre il campo sottostante (sia per OD che per OS):			
O	AV <i>off chart</i>	conta dita (2.0 logMAR)	<i>combobox</i>
		movimento mano (2.3 logMAR)	
		percezione luce (2.6 logMAR)	
Se selezionato AV <i>on chart</i> al campo precedente, si apre il campo sottostante (sia per OD che per OS):			
O	AV <i>on chart</i> in logMAR	OD: ...	<i>valore numerico decimale [1.00-1.98]</i>
		OS: ...	
O	Paziente con discordanza dell'acuità visiva (definita da una differenza >0.2 logMAR tra i due occhi)	Si	
		No	
O	Mean Deviation (MD) in dB, valutata con campo visivo 30°	OD: ...	
		OS: ...	

O	Spessore dello strato RNFL peripapillare in μm , valutato con tomografia a coerenza ottica (OCT*)	OD Medio (average): ...	<i>tutte le voci devono essere compilate</i>
		OD quadrante superiore: ...	
		OD quadrante inferiore: ...	
		OD quadrante temporale: ...	
		OD quadrante nasale: ...	
		OS Medio (average): ...	<i>tutte le voci devono essere compilate</i>
		OS quadrante superiore: ...	
		OS quadrante inferiore: ...	
		OS quadrante temporale: ...	
		OS quadrante nasale: ...	
O	Specificare quale strumento è stato utilizzato per l'OCT	<div>Cirrus</div> <div>Spectralis</div> <div>Topcon</div> <div>Altro</div>	<i>combobox</i>
O	Specificare altro OCT		<i>il campo (testo libero) si apre se sopra selezionato "altro"</i>
Sezione relativa al 'Paziente già in trattamento' secondo: - DM 08/05/2003 - Legge 648/96 (senza monitoraggio tramite i registri AIFA) - Legge 326/2003 Art. 48 - Studi clinici - pazienti in trattamento con idebenone per i quali è stato già emesso PTP personalizzato secondo la legislazione delle malattie rare (MNESIS in Off label) per LHON. 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.			
O	Paziente già in trattamento con idebenone secondo le indicazioni di questa scheda di monitoraggio AIFA?	Si	
		No	

Se risposto Si alla domanda precedente, si apre:			
O	Data di inizio trattamento	.././....	controllo con data di valutazione EDC
Se data di valutazione - data inizio trattamento ≥ 1 anno, si apre la RIV obbligatoria			
O	Data della RIV a 1 anno di trattamento	.././....	
Valutazione neuro-oftalmologica			
O	Acuità visiva (AV) alla Rivalutazione, valutata con tabella EDTRS	OD: AV <i>off chart</i>	combobox
		OD: AV <i>on chart</i>	
		OS: AV <i>off chart</i>	combobox
		OS: AV <i>on chart</i>	
Se selezionato AV on chart al campo precedente, si apre il campo sottostante (sia per OD che per OS):			
O	AV <i>on chart</i> in logMAR	OD: ...	valore numerico decimale [0.00-1.98]
		OS: ...	
E	Variazione dell'AV	OD: $\Delta AV =$ (valore AV al basale o al nadir - valore AV in RIV). In caso di off chart al basale e on chart alla RIV: riportare 'on chart'	<i>in automatico.</i> Check di congruenza con il campo "Esito complessivo della valutazione neuro-oftalmologica"
		OS: $\Delta AV =$ (valore AV al basale o al nadir - valore AV in RIV). In caso di off chart al basale e on chart alla RIV: riportare 'on chart'	
O	Mean Deviation (MD) in dB alla Rivalutazione, valutata con campo visivo 30°	OD: ...	
		OS: ...	
E	Variazione della MD (<i>in automatico</i>)	$\Delta MD =$ (valore MD in RIV - valore MD al basale o al nadir)	<i>in automatico.</i> Check di congruenza con il campo "Esito complessivo della valutazione neuro-oftalmologica"
	Esito complessivo della valutazione neuro-	Recupero clinicamente rilevante (<i>Clinical Relevant Recovery</i> , CRR) rispetto al basale e/o alla condizione di massima compromissione dell'AV (nadir)	check di congruenza con $\Delta AV \geq 0.2$ in uno dei due occhi oppure se uno dei due occhi passa da off chart ---> on chart

E	oftalmologica	Miglioramento globale della funzione visiva con riduzione dello scotoma centrale e/o sua fenestrazione	<i>check di congruenza con $0 < \Delta AV < 0.2$ in OO AND $\Delta MD \geq 7$</i>
		Stabilizzazione dell'AV	<i>blocca</i>
		Peggioramento dell'AV	<i>blocca</i>
3- Scheda Richiesta Farmaco (RF)			
La dose raccomandata è di 900 mg/die di idebenone (300 mg, 3 volte al giorno). Non sono disponibili dati da studi clinici controllati riguardanti il trattamento continuo con idebenone oltre 6 mesi.			testo fisso
O	Data Richiesta Farmaco	../../....	
O	Posologia	300 mg per 3 volte al giorno	
O	Durata RF	6 mesi	
O	Dose totale per RF (mg)		
Dalla RF2 in poi:			
O	Il paziente ha avuto una reazione avversa al medicinale nel ciclo precedente?	Si	
		No	
4- Scheda Dispensazione Farmaco (DF)			
O	Data Dispensazione Farmaco	../../....	
	Lista AIC	Numero di confezioni/partizionamento	
O	044505016/E - 150 mg compresse rivestite con film, flacone da 180 compresse		

5- Scheda Rivalutazione (RIV)			
<p>Dopo 2 anni di trattamento (RIV4), il trattamento con idebenone può proseguire solo per i pazienti che, rispetto all'AV valutata al baseline e/o alla condizione di massima compromissione (<i>nadir</i>), hanno riportato:</p> <p>1) un Recupero Clinico Rilevante (<i>Clinical Relevant Recovery</i>, CRR);</p> <p>2) un miglioramento globale della funzione visiva con riduzione dello scotoma centrale e/o sua fenestrazione. CRR inteso come capacità del paziente di recuperare un'AV da <i>Off Chart</i> alla possibilità di lettura di almeno 1 intera riga di 5 lettere della tabella con almeno 1 dei due occhi (<i>On Chart</i>); oppure CRR inteso come capacità di migliorare almeno 2 linee (10 lettere) per i pazienti che di base già leggono almeno 1 linea completa (5 lettere) della Tabella (<i>On Chart</i>).</p>			testo fisso
<p>I pazienti che proseguono il trattamento dopo due anni interrompono al <i>plateau</i> (inteso come assenza di miglioramento verificato in due controlli semestrali successivi).</p>			
RIV obbligatoria dopo ogni RF (con finestra temporale -30 gg, + ∞)			
<input type="radio"/>	Data di RIV	../../....	
<input type="radio"/>	Ci sono state reazioni avverse al medicinale?	<input type="radio"/> Si <input type="radio"/> No	Link RNFV
Valutazione neuro-oftalmologica			
<input type="radio"/>	Acuità visiva (AV) alla Rivalutazione, valutata con tabella EDTRS	OD: AV <i>off chart</i>	combobox
		OD: AV <i>on chart</i>	
		OS: AV <i>off chart</i>	combobox
		OS: AV <i>on chart</i>	
Se selezionato AV <i>off chart</i> al campo precedente, si apre il campo sottostante (sia per OD che per OS):			
<input type="radio"/>	AV <i>off chart</i>	conta dita (2.0 logMAR)	combobox
		movimento mano (2.3 logMAR)	
		percezione luce (2.6 logMAR)	
Se selezionato AV <i>on chart</i> al campo precedente, si apre il campo sottostante (sia per OD che per OS):			
<input type="radio"/>	AV <i>on chart</i> in logMAR	OD: ...	valore numerico decimale [0.00-1.98]
		OS: ...	
		OD: ΔAV= (valore AV al basale o al nadir - valore AV in RIV). In caso di <i>off chart</i> al basale e <i>on chart</i> alla RIV: riportare 'on chart'	<i>in automatico.</i> Check di congruenza con il campo

E	Variazione dell'AV	OS: $\Delta AV = (\text{valore AV al basale o al nadir} - \text{valore AV in RIV})$. In caso di off chart al basale e on chart alla RIV: riportare 'on chart'	"Esito complessivo della valutazione neuro-oftalmologica"		
O	Mean Deviation (MD) in dB alla Rivalutazione, valutata con campo visivo 30°	OD: ... OS: ...			
E	Variazione della MD (<i>in automatico</i>)	$\Delta MD = (\text{valore MD in RIV} - \text{valore MD al basale o al nadir})$	<i>in automatico.</i> Check di congruenza con il campo "Esito complessivo della valutazione neuro-oftalmologica"		
O	Spessore dello strato RNFL peripapillare in μm , valutato con tomografia a coerenza ottica (OCT)	OD Medio (average): ...	tutte le voci devono essere compilate		
		OD quadrante superiore: ...			
		OD quadrante inferiore: ...			
		OD quadrante temporale: ...			
		OD quadrante nasale: ...			
				OS Medio (average): ...	tutte le voci devono essere compilate
				OS quadrante superiore: ...	
				OS quadrante inferiore: ...	
				OS quadrante temporale: ...	
				OS quadrante nasale: ...	
O	Specificare quale strumento è stato utilizzato per l'OCT	Cirrus	combobox		
		Spectralis			
		Topcon			
		Altro			
O	Specificare altro OCT		il campo (testo libero) si apre se sopra selezionato "altro"		
		Recupero clinicamente rilevante (<i>Clinical Relevant Recovery</i> , CRR) rispetto al basale e/o alla condizione di massima compromissione dell'AV (nadir)	check di congruenza con $\Delta AV \geq 0.2$ in uno dei due occhi oppure se uno dei due occhi passa da off chart ---> on chart		

E	Esito complessivo della valutazione neuro-oftalmologica	Miglioramento globale della funzione visiva con riduzione dello scotoma centrale e/o sua fenestrazione	<i>check di congruenza con $0 < \Delta AV < 0.2$ in OO AND $\Delta MD \geq 7$</i>
		Stabilizzazione dell'AV	In RIV4 (24 mesi di trattamento) blocca e manda a FT Da RIV6 in poi blocca e manda a FT se questa opzione selezionata in 2 RIV consecutive (ogni sei mesi)
		Peggioramento dell'AV	Da RIV4 (24 mesi di trattamento) in poi: blocca e manda a FT
O	Il paziente prosegue il trattamento?	Si	
		No	<i>blocca e manda a FT</i>
6- Scheda Fine Trattamento (FT)			
O	Data di FT	../../....	
O	Ci sono state reazioni avverse al medicinale?	Si	<i>Link RNFV</i>
		No	
O	Causa di Fine Trattamento	Inefficacia	
		Decisione clinica	
		Decisione del paziente	
		Tossicità al medicinale	<i>Link RNFV</i>
		Paziente perso al follow up	
		Decesso	
O	Se Decesso, indicare se il motivo del FT è:	<i>Tossicità al medicinale</i>	<i>Link RNFV</i>
		<i>Altro</i>	
O	Se Decesso, indicare la data del decesso:	../../....	