

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

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)	
		<b>cronica (&gt;12 mesi dall'esordio di malattia nel secondo occhio)</b>	<i>blocca</i>
O	Paziente già trattato in precedenza con idebenone per altra indicazione?	Si	
		No	
<b>Valutazione neuro-oftalmologica</b>			
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>	
<b>Se selezionato AV off chart al campo precedente, si apre il campo sottostante (sia per OD che per OS):</b>			
O	AV <i>off chart</i>	conta dita (2.0 logMAR)	<i>combobox</i>
		movimento mano (2.3 logMAR)	
		percezione luce (2.6 logMAR)	
<b>Se selezionato AV on chart al campo precedente, si apre il campo sottostante (sia per OD che per OS):</b>			
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 $\mu\text{m}$ , 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	Cirrus	<i>combobox</i>
		Spectralis	
		Topcon	
		Altro	
O	Specificare altro OCT		<i>il campo (testo libero) si apre se sopra selezionato "altro"</i>
<p><b>Sezione relativa al 'Paziente già in trattamento' secondo:</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- DM 08/05/2003</li> <li>- Legge 648/96 (senza monitoraggio tramite i registri AIFA)</li> <li>- Legge 326/2003 Art. 48</li> <li>- Studi clinici</li> <li>- 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.</li> </ul> <p><b>NOTA:</b> 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.</p> <p><b>Il trattamento effettuato (RFn/DFn) nel periodo precedente alla rimborsabilità SSN non rientra nei calcoli dell'applicazione dell'eventuale MEA.</b></p>			
O	Paziente già in trattamento con idebenone secondo le indicazioni di questa scheda di monitoraggio AIFA?	Si	
		No	

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

E	oftalmologica	Miglioramento globale della funzione visiva con riduzione dello scotoma centrale e/o sua fenestrazione	<i>check di congruenza con <math>0 &lt; \Delta AV &lt; 0.2</math> in OO AND <math>\Delta MD \geq 7</math></i>
		Stabilizzazione dell'AV	<i>blocca</i>
		Peggioramento dell'AV	<i>blocca</i>
<b>3- Scheda Richiesta Farmaco (RF)</b>			
<b>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.</b>			<i>testo fisso</i>
<input type="radio"/>	Data Richiesta Farmaco	.././....	
<input type="radio"/>	Posologia	300 mg per 3 volte al giorno	
<input type="radio"/>	Durata RF	6 mesi	
<input type="radio"/>	Dose totale per RF (mg)		
<i>Dalla RF2 in poi:</i>			
<input type="radio"/>	Il paziente ha avuto una reazione avversa al medicinale nel ciclo precedente?	Si	
		No	
<b>4- Scheda Dispensazione Farmaco (DF)</b>			
<input type="radio"/>	Data Dispensazione Farmaco	.././....	
	Lista AIC	Numero di confezioni/partizionamento	
<input type="radio"/>	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, CRR</i>);</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
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).			
<b>RIV obbligatoria dopo ogni RF (con finestra temporale -30 gg, + ∞)</b>			
<input type="radio"/>	Data di RIV	.././....	
<input type="radio"/>	Ci sono state reazioni avverse al medicinale?	Si	Link RNFV
		No	
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>	
<b>Se selezionato AV <i>off chart</i> al campo precedente, si apre il campo sottostante (sia per OD che per OS):</b>			
<input type="radio"/>	AV <i>off chart</i>	conta dita (2.0 logMAR)	combobox
		movimento mano (2.3 logMAR)	
		percezione luce (2.6 logMAR)	
<b>Se selezionato AV <i>on chart</i> al campo precedente, si apre il campo sottostante (sia per OD che per OS):</b>			
<input type="radio"/>	AV <i>on chart</i> in logMAR	OD: ...	valore numerico decimale [0.00-1.98]
		OS: ...	
		OD: $\Delta AV =$ (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 ' <i>on chart</i> '	<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 $\mu\text{m}$ , 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	Cirrus	<i>combobox</i>
		Spectralis	
		Topcon	
		Altro	
O	Specificare altro OCT		<i>il campo (testo libero) si apre se sopra selezionato "altro"</i>
		Recupero clinicamente rilevante ( <i>Clinical Relevant Recovery</i> , CRR) rispetto al basale e/o alla condizione di massima compromissione dell'AV (nadir)	<i>check di congruenza con <math>\Delta AV \geq 0.2</math> in uno dei due occhi oppure se uno dei due occhi passa da off chart ---&gt; on chart</i>

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 <math>0 &lt; \Delta AV &lt; 0.2</math> in OO AND <math>\Delta MD \geq 7</math></i>
		Stabilizzazione dell'AV	<b>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)</b>
		Peggioramento dell'AV	<b>Da RIV4 (24 mesi di trattamento) in poi: blocca e manda a FT</b>
O	Il paziente prosegue il trattamento?	Si No	<i>blocca e manda a FT</i>
<b>6- Scheda Fine Trattamento (FT)</b>			
O	Data di FT	.././....	
O	Ci sono state reazioni avverse al medicinale?	Si No	<i>Link RNFV</i>
O	Causa di Fine Trattamento	Inefficacia	
		Decisione clinica	
		Decisione del paziente	
		Tossicità al medicinale	<i>Link RNFV</i>
		Paziente perso al follow up	
		<i>Decesso</i>	
O	Se Decesso, indicare se il motivo del FT è:	<i>Tossicità al medicinale</i> <i>Altro</i>	<i>Link RNFV</i>
O	Se Decesso, indicare la data del decesso:	.././....	