

E	Campo obbligatorio ai fini dell'eleggibilità	KALYDECO (ivacaftor) - Fibrosi cistica
O	Campo obbligatorio	



KALYDECO è indicato per il trattamento della fibrosi cistica (FC), in pazienti di età pari o superiore a 6 anni che hanno una delle seguenti mutazioni di gating (di classe III) nel gene CFTR: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N o S549R

1- Scheda Registrazione paziente (RP)		
E	Età (anni)	solo ≥6 aa

2- Scheda Eleggibilità e Dati Clinici (EDC)		
O	Diagnosi	Fibrosi cistica
O	Il paziente è già in trattamento per uso compassionevole secondo il DM 05 maggio 2003 secondo le indicazioni della scheda di monitoraggio?	Si
		No
O	Se si indicare il numero delle settimane in trattamento (Una RF = 4SETT)	...

FAC SIMILE

se <8SETT il sistema calcola l'inserimento della RIV1. Se il valore è tra 9-23 il sistema calcola l'inserimento del RIV2

La compilazione dei campi seguenti va fatta in considerazione della risposta alla domanda 'paziente già in trattamento'. Per i pazienti già in trattamento (risposta Si) i parametri basali sono riferiti all'inizio della terapia in uso compassionevole. Per quelli naive (risposta No) i parametri basali sono riferiti all'inizio della terapia con ivacaftor in regime label.

testo fisso

E	Il paziente è portatore di mutazione G551D o di altra mutazione 'gating' (Classe III) a livello del gene CFTR	Si	blocco
		No	
E	Se Si, si prega di indicare le mutazioni (almeno una)	G551D	blocco se si indica solo questa mutazione
		G1244E	
		G1349D	
		G178R	
		G551S	
		S1251N	
		S1255P	
		S549N	
		S549R	
		G970R	
E	Se Si, la presenza delle mutazioni di gating (di classe III) è confermata con un metodo di genotipizzazione accurato e valido, in almeno un allele del gene CFTR?	Si	blocca
		No	
FAC SIMILE			
E	Paziente sottoposto a trapianto di organo?	Si	blocco
		No	
E	Il paziente è stato sottoposto ad esami oftalmologici prima dell'avvio della terapia con ivacaftor?	Si	blocco
		No	
E	Il paziente è affetto da rari problemi ereditari di intolleranza al galattosio, da deficit di Lpp lattasi o di malassorbimento di glucosio-galattosio?	Si	blocco
		No	

O	Il paziente ha effettuati i seguenti trattamenti standard	Fisioterapia toracica
		Integrazione nutrizionale con enzimi pancreatici
		<i>Farmacologica</i>
O	<i>In caso di Farmacologica indicare:</i>	Tobramicina
		Dornase α
		Salbutamolo
		Salmeterolo/ fluticasone
		Ossigenoterapia
	<i>Altro</i>	
O	<i>Se Altro, specificare</i>	...

O	Etnia	Caucasica
		Afro americano
		Ispanica
		Asiatica
		Americana nativa
	<i>Altro</i>	
O	<i>Se Altro, specificare</i>	..

FAC SIMILE

O	Peso del paziente (kg)	..
O	Altezza (cm)	..
O	Superficie corporea (m ²)	..
O	BMI (kg/m ²)	...

O	Test di sudore (cloruro nel sudore in mmol/l) 6 mesi prima della terapia con ivacaftor	...
		Non disponibile

O	Test di sudore (cloruro nel sudore in mmol/l) prima dell'inizio della terapia con ivacaftor	..	<i>valore utile per il calcolo della variazione in RIV</i>
---	---	----	--

O	Volume espiratorio forzato esalato nel primo secondo (FEV ₁) (%) 3 mesi prima dell'avvio della terapia con ivacaftor	...	FAC SIMILE
		Non disponibile	

O	Volume espiratorio forzato esalato nel primo secondo (FEV ₁) (%) prima dell'avvio con ivacaftor	...	<i>valore utile per il calcolo della variazione in RIV</i>
---	---	-----	--

E	La spirometria è stata effettuata in condizioni di stabilità clinica senza utilizzo di broncodilatazione, fisioterapia o altro	Si	<i>blocco</i>
		No	

O	Indicare il numero delle esacerbazioni polmonari all'avvio della terapia con ivacaftor	<i>valore numerico incluso lo zero</i>	<i>valore utile per il calcolo della variazione in RIV</i>
---	--	--	--

Secondo European Consensus Group (Bilton et al., 2011) si definisce una esacerbazione polmonare una riacutizzazione definita come la necessità di ulteriore trattamento antibiotico in almeno due delle seguenti condizioni:

- 1- Variazione di volume espettorato o colore;
- 2- Aumento della tosse;
- 3- Aumentato malessere generale, stanchezza o letargia;
- 4- Anoressia o perdita di peso;
- 5- Riduzione della funzionalità polmonare da 10% o alterazioni radiografiche;
- 6- Aumento dispnea.

testo fisso

Punteggio della sfera respiratoria del CFQ-R (Cystic Fibrosis Questionnaire-Revised) <i>Quality of life was measured using the Cystic Fibrosis Questionnaire-Revised (CFQ-R, a validated disease-specific instrument that measures health-related quality of life for people with CF 14 years of age and older). There is a validated version of the CFQ-R available for school-aged children (ages 6 to 11, and ages 12 and 13) with CF and their parents</i>		testo fisso (vedi gli allegati per il calcolo del punteggio in base all'età del paziente)
<input type="radio"/>	Punteggio totale CFQoL prima dell'avvio terapia	.. valore da 0-100. Valore utile per il calcolo della variazione in RIV

<input type="radio"/>	Il paziente è affetto anche da:	Diabete FC correlato	
		Infertilità maschile	
		Epatopatia	
		Disfunzione cardiaca	
		Osteoprosi	
		Pancreatite acuta ricorrente	
		Nessuna della voci sopra	
<input type="radio"/>	Se Altro, specificare	...	testo libero

FAC SIMILE

Per i 'pazienti già in trattamento' compilare le sezioni relative a Funzionalità renale, epatica, pancreatica e Uso concomitante di altri medicinali riferendosi alla data di compilazione di questa scheda (parametri prima dell'inserimento della richiesta farmaco in modalità label)

<input type="radio"/>	Funzionalità renale	Normale	
		Compromessa	
<input type="radio"/>	Se compromessa, indicare il grado di compromissione funzionalità renale (CLCr)	Lieve (CLCr 50 - ≤80 ml/min)	
		Moderata (CLCr 30-50 ml/min)	
		Grave (CLCr <30ml/min)	blocco

O	Funzionalità epatica	Normale	posologia raccomandata (posologia1)
		Compromessa	
E	Se compromessa indicare	Child -Pugh Classe A	posologia3
		Child -Pugh Classe B	
		Child -Pugh Classe C	

**Un moderato aumento delle transaminasi [alanina transaminasi (ALT) o aspartato transaminasi (AST)] è comune nei soggetti con FC. Nel complesso, l'incidenza e le caratteristiche cliniche degli aumenti delle transaminasi negli studi clinici sono risultate simili tra i soggetti trattati con ivacaftor e i soggetti del gruppo placebo (vedere paragrafo 4.8 RCP). Nel sottoinsieme di pazienti con anamnesi positiva per livelli di transaminasi elevati, un aumento dell'ALT o dell'AST è stato riferito con maggiore frequenza nei pazienti trattati con ivacaftor rispetto al placebo. Pertanto, si raccomanda di eseguire i test della funzione epatica prima di iniziare il trattamento con ivacaftor, ogni 3 mesi durante il primo anno di trattamento e successivamente ogni anno. I pazienti che sviluppano un aumento inspiegabile dei livelli di transaminasi durante il trattamento devono essere tenuti sotto attenta osservazione fino alla risoluzione delle anomalie e si deve considerare l'opportunità di continuare il trattamento dopo una valutazione dei benefici e dei rischi individuali.*

testo fisso

FAC SIMILE

O	ALT	Normale	
		Elevato	
E	Se elevato, specificare:	<3 x ULN	si tratta di una sospensione temporale*. La scheda darà non eleggibilità. Una volta risolto l'aumento dei valori si prega di rinserire la scheda EDC
		3< x ULN <5	
		>5 x ULN	
O	AST	Normale	
		Elevato	
E	Se elevato, specificare:	<3 x ULN	si tratta di una sospensione temporale*. La scheda darà non eleggibilità. Una volta risolto l'aumento dei valori si prega di rinserire la scheda EDC
		3< x ULN <5	
		>5 x ULN	

O	Funzionalità pancreatica esocrina	Normale	blocco
		Compromessa	

O	Il paziente fa uso concomitante di forti inibitori di CYP3A (ad es. ketoconazolo, itraconazolo, posaconazolo, voriconazolo, telitromicina e claritromicina)	Si	controllo: posologia2
		No	
O	Il paziente fa uso concomitante di moderati inibitori di CYP3A (ad es. fluconazolo, eritromicina)	Si	controllo: posologia3
		No	

3- Scheda Richiesta Farmaco (RF)

Kalydeco deve essere assunto con alimenti contenenti grassi. I pasti e gli spuntini raccomandati nelle linee guida per la FC o i pasti raccomandati nelle linee guida nutrizionali standard contengono un'adeguata quantità di grassi. Esempi di pasti contenenti grassi sono quelli preparati con burro o olio, o quelli contenenti uova, formaggi, frutta secca, latte intero o carne. Gli alimenti contenenti pompelmo o arancia amara devono essere evitati durante il trattamento con Kalydeco (vedere paragrafo 4.5 del RCP).

FAC SIMILE

Attenzione: il controllo delle posologie segue la modalità OR

O	Data richiesta farmaco	.././....	
O	Peso del paziente (kg)	..	
O	Altezza (cm)	..	
O	Superficie corporea (m ²)	..	
O	BMI (kg/m ²)	..	calcolo in automatico

O	Dose richiesta (mg)	300 (150 x 2)/ SETT	posologia 2
		150/ die	posologia 3
		300 (150 x 2)/ die	posologia raccomandata (posologia1)
O	Dose totale richiesta (mg)	..	calcolo di automatico

Dalla RF2 in poi si aprono i seguenti campi (automatici ed editabili):

O	Ci sono stati reazioni avversi nel ciclo precedente?	Si	Link alla RNFV
		No	

O	Il paziente fa uso concomitante di forti inibitori di CYP3A (ad es. ketoconazolo, itraconazolo, posaconazolo, voriconazolo, telitromicina e claritromicina)	Si	controllo: posologia2
		No	
O	Il paziente fa uso concomitante di moderati inibitori di CYP3A (ad es. fluconazolo, eritromicina)	Si	controllo: posologia3
		No	

O	Funzionalità renale	Normale	
		Compromessa	
E	Se compromessa, indicare il grado di compromissione funzionalità renale (CLCr)	Lieve (CLCr 50 - ≤80 ml/min)	
		Moderata (CLCr 30-50 ml/min)	
		Grave (CLCr <30ml/min)	blocco
O	Funzionalità epatica	Normale	posologia raccomandata (posologia1)
		Compromessa	
E	Se compromessa indicare	Child -Pugh Classe A	
		Child -Pugh Classe B	posologia3
		Child -Pugh Classe C	blocco

FACSIMILE

<p><i>*Un moderato aumento delle transaminasi [alanina transaminasi (ALT) o aspartato transaminasi (AST)] è comune nei soggetti con FC. Nel complesso, l'incidenza e le caratteristiche cliniche degli aumenti delle transaminasi negli studi clinici sono risultate simili tra i soggetti trattati con ivacaftor e i soggetti del gruppo placebo (vedere paragrafo 4.8 RCP). Nel sottoinsieme di pazienti con anamnesi positiva per livelli di transaminasi elevati, un aumento dell'ALT o dell'AST è stato riferito con maggiore frequenza nei pazienti trattati con ivacaftor rispetto al placebo. Pertanto, si raccomanda di eseguire i test della funzione epatica prima di iniziare il trattamento con ivacaftor, ogni 3 mesi durante il primo anno di trattamento e successivamente ogni anno. I pazienti che sviluppano un aumento inspiegabile dei livelli di transaminasi durante il trattamento devono essere tenuti sotto attenta osservazione fino alla risoluzione delle anomalie e si deve considerare l'opportunità di continuare il trattamento dopo una valutazione dei benefici e dei rischi individuali.</i></p>		testo fisso	
O	ALT	Normale	
		Elevato	
E	Se elevato, specificare:	<3 x ULN	
		3< x ULN <5	
		>5 x ULN	si tratta di una sospensione temporale*. La scheda da blocco. Una volta risolto l'aumento dei valori si prega di reinserire la scheda RF

O	AST	Normale	
		Elevato	
E	Se elevato, specificare:	<3 x ULN	
		3< x ULN <5	
		>5 x ULN	
			si tratta di una sospensione temporale*. La scheda da blocco. Una volta risolto l'aumento dei valori si prega di reinserire la scheda RF

4- Scheda Rivalutazione (RV)

La RIV obbligatoria a 8 SETT ai fini della misurazione del FEV1 e del cloruro nel sudore. Le successive ogni 24 SETT per entrambi i parametri. Controlli sull'inserimento delle RIV secondo la modalità range temporale con finestra in SETT [-2; 2]

O	Data di RV	.././....
---	------------	-----------

FAC SIMILE

O	Peso del paziente (kg) in questa RIV	..	<i>in automatico</i>
O	Variazione assoluta del peso (kg)	..	
O	Altezza (cm)	..	
O	Superficie corporea (m ²)	..	
O	BMI (kg/m ²) in questa RIV	..	
O	Variazione assoluta del BMI (kg/m ²)	<i>in automatico</i>	

O	Volume espiratorio forzato esalato nel primo secondo (FEV ₁) (%) in questa RIV	...	
O	Variazione assoluta dal basale del FEV1 (%) previsto	<i>in automatico</i>	

O	Test di sudore (cloruro nel sudore in mmol/l) in questa RIV	..	
O	Variazione in % del cloruro nel sudore (mmol/l)	<i>in automatico</i>	<i>Per i pazienti già in trattamento la variazione deve essere calcolato in relazione all'inizio trattamento per uso compassionevole</i>

O	Punteggio della sfera respiratoria del CFQ-R (Cystic Fibrosis Questionnaire-Revised) in questa RIV	...	<i>vedi definizione nella scheda EDC</i>
O	Variazione assoluta del punteggio della sfera respiratoria del CFQ-R (Cystic Fibrosis Questionnaire-Revised) in questa RIV	<i>in automatico</i>	<i>Per i pazienti già in trattamento la variazione deve essere calcolato in relazione all'inizio trattamento per uso compassionevole</i>

O	Indicare il numero delle esacerbazioni polmonari in questa RIV	<i>valore numerico incluso lo zero</i>	<i>vedi definizione nella scheda EDC</i>	FACSIMILE
O	Variazione assoluta del numero delle esacerbazioni polmonari	<i>in automatico</i>	<i>Per i pazienti già in trattamento la variazione deve essere calcolato in relazione all'inizio trattamento per uso compassionevole</i>	

E	Paziente sottoposto a trapianto di organo?	Si	<i>blocco e inserire FT</i>
		No	

O	Ci sono stati reazioni avversi nel ciclo precedente?	Si	<i>link alla RNFV</i>
		No	

O	Funzionalità renale	Normale	
		<i>Compromessa</i>	
E	<i>Se compromessa, indicare il grado di compromissione funzionalità renale (CLCr)</i>	Lieve (CLCr 50 - ≤80 ml/min)	<i>vedi RCP</i>
		Moderata (CLCr 30-50 ml/min)	<i>vedi RCP</i>
		Grave (CLCr <30ml/min)	<i>blocco</i>

O	Funzionalità epatica	Normale	
		<i>Compromessa</i>	
E	<i>Se compromessa indicare</i>	Child -Pugh Classe A	<i>blocco</i>
		Child -Pugh Classe B	
		Child -Pugh Classe C	

O	ALT	Normale	<i>si tratta di una sospensione temporale*. La scheda da blocco. Una volta risolto l'aumento dei valori si prega di inserire una nuova scheda RIV ai fini della ripresa terapia (e quindi inserimento di RF)</i>
		Elevato	
E	Se elevato, specificare:	<3 x ULN	
		3< x ULN <5	
		>5 x ULN	
O	AST	Normale	
		Elevato	
E	Se elevato, specificare:	<3 x ULN	
		3< x ULN <5	
		>5 x ULN	

FAC SIMILE

E	Funzionalità pancreaticca esocrina	Normale	blocco
		Compromessa	

5- Scheda Fine Trattamento (FT)

O	Data di FT	.././....
O	Motivo del FT	Inefficacia/ Progressione della malattia
		Reazioni Avversi
		Mancato inizio terapia
		Mancata (o scarsa) adesione alla terapia
		Gravidanza
		Trapianto
		Perso al follow up
		Decesso

<input type="radio"/>	Se Decesso indicare se il motivo del FT è:	Progressione di malattia
		Tossicità al medicinale
		<i>Altro</i>
<input type="radio"/>	Se Decesso indicare la data del decesso:	.././....

<input type="radio"/>	Peso del paziente (kg) al FT	..
<input type="radio"/>	Variazione assoluta del peso (kg)	<i>in automatico</i>
<input type="radio"/>	Altezza (cm)	..
<input type="radio"/>	Superficie corporea (m ²)	..
<input type="radio"/>	BMI (kg/m ²) al FT	..
<input type="radio"/>	Variazione assoluta del BMI (kg/m ²)	<i>in automatico</i>

FAC SIMILE

<input type="radio"/>	Volume espiratorio forzato esalato nel primo secondo (FEV ₁) (%) al FT	...
<input type="radio"/>	Variazione assoluta dal basale del FEV1 (%) previsto	<i>in automatico</i>

<input type="radio"/>	Test di sudore (cloruro nel sudore in mmol/l) al FT	..
<input type="radio"/>	Variazione in % del cloruro nel sudore (mmol/l)	<i>in automatico</i>

<input type="radio"/>	Punteggio della sfera respiratoria del CFQ-R (Cystic Fibrosis Questionnaire-Revised) al FT	...	<i>vedi definizione nella scheda EDC</i>
<input type="radio"/>	Variazione assoluta del punteggio della sfera respiratoria del CFQ-R (Cystic Fibrosis Questionnaire-Revised) in questa RIV	<i>in automatico</i>	

FAC SIMILE

<input type="radio"/>	Indicare il numero delle esacerbazioni polmonari al FT	<i>valore numerico incluso lo zero</i>	<i>vedi definizione nella scheda EDC</i>
<input type="radio"/>	Variazione assoluta del numero delle esacerbazioni polmonari	<i>in automatico</i>	

<input type="radio"/>	Paziente sottoposto a trapianto di organo?	<input type="checkbox"/> Si <input type="checkbox"/> No	<i>in automatico</i>
-----------------------	--	--	----------------------

<input type="radio"/>	Ci sono stati reazioni avversi nel ciclo precedente?	<input type="checkbox"/> Si <input type="checkbox"/> No	<i>link alla RNFV</i>
-----------------------	--	--	-----------------------

<input type="radio"/>	Funzionalità epatica	<input type="checkbox"/> Normale <input type="checkbox"/> Compromessa	<i>in automatico</i>
-----------------------	----------------------	--	----------------------

<input type="radio"/>	Funzionalità pancreatica esocrina	<input type="checkbox"/> Normale <input type="checkbox"/> Compromessa	<i>in automatico</i>
-----------------------	-----------------------------------	--	----------------------

Nota bene: la compilazione della presente scheda cartacea non sostituisce la prescrizione, la quale rimane realizzabile esclusivamente tramite la piattaforma web da parte degli specialisti abilitati alla prescrizione e all'utilizzo del sistema, tuttavia può essere utilizzata per tenere traccia temporanea delle registrazioni in caso di differimento della compilazione via web dei Registri di monitoraggio.

Attenzione! La prescrizione di questo medicinale è consentita ai soli medici appartenenti a strutture ospedaliere e sanitarie territoriali espressamente autorizzate dalla Regione di rispettiva pertinenza.