

E	<i>Campo obbligatorio ai fini dell'eleggibilità</i>	ASPAVELI (pegcetacoplan) - EPN	
O	<i>Campo obbligatorio</i>		
ASPAVELI è indicato nel trattamento di pazienti adulti con emoglobinuria parossistica notturna (EPN) che rimangono anemici dopo trattamento con un inibitore di C5 per almeno 3 mesi.			
1- Scheda Registrazione paziente (RP)			
E	Età	≥18 anni	
2- Scheda Eleggibilità e Dati Clinici (EDC)			
O	Diagnosi di Emoglobinuria parossistica notturna (EPN)	EPN classica	
		EPN associata ad altra patologia ematologica	
O	<i>Se EPN associata</i> , specificare la patologia ematologica associata	Anemia aplastica	
		Mielodisplasia	
		Altro	
	<i>Se Altro</i> , specificare		testo libero
O	Data diagnosi di EPN		mm/aaaa
E	Il paziente ha ricevuto altri trattamenti per EPN	No	blocca
		Eculizumab	
		Ravulizumab	
		Iptacopan	
		Altro	blocca
Se al campo precedente selezionato "eculizumab" o "ravulizumab", si aprono i due campi sottostanti			
E	Trattamento con eculizumab o ravulizumab effettuato per almeno gli ultimi 3 mesi?	Si	
		No	blocca
E	Risposta al trattamento con eculizumab o ravulizumab	non raggiungimento del target emoglobinico	
		stabilità/beneficio clinico	blocca
		non valutabile per tossicità	blocca. A lato un fumetto con il seguente testo: "Si ricorda, se non già effettuato, di compilare il modulo per la segnalazione di sospetta reazione avversa"
Se alla domanda Il paziente ha ricevuto altri trattamenti per EPN è stato risposto "Iptacopan", si apre la domanda sottostante			
E	Il trattamento con iptacopan è stato interrotto per	intolleranza	
		mancanza di risposta	
		altro	blocca
O	Funzionalità renale	normale	
		compromessa	
O	<i>Se compromessa</i> , specificare il grado di compromissione renale	lieve (GFR 89-60 mL/min)	combobox
		moderata (GFR 59-30 mL/min)	
		grave (GFR 29-15 mL/min)	
		insufficienza renale terminale (GFR <15 mL/min o dialisi)	
O	Terapia immunosoppressiva	si, in corso	combobox
		si, in precedenza	
		no	
O	<i>Se risposto Si al campo precedente</i> , specificare la terapia immunosoppressiva	Globulina anti-linfocitaria	selezione multipla
		Ciclosporina	
		Altro	
O	<i>Se Altro</i> , specificare		testo libero

O	Terapia stimolante l'eritropoiesi	si, in corso	combobox
		si, in precedenza	
		no	
O	Se risposto Si al campo precedente , specificare la terapia stimolante l'eritropoiesi	Eritropoietina	selezione multipla
		Altro	
O	Se Altro, specificare		testo libero
O	Terapia anticoagulante	si, in corso	combobox
		si, in precedenza	
		no	
O	Se risposto Si al campo precedente, specificare la terapia anticoagulante	Dicumarolici	selezione multipla
		Eparina	
		Altro	
O	Se Altro, specificare		testo libero
O	Terapia analgesica	si, in corso	combobox
		si, in precedenza	
		no	
O	Trasfusioni	si, dipendente	combobox
		si, occasionali	
		no	
O	Se risposto Si al campo precedente , indicare il n. di unità trasfuse negli ultimi 6 mesi		
E	Immunodeficienze primitive da deficit del complemento	Si	blocca
		No	
E	Infezioni non controllate in atto	Si	blocca
		No	
E	Il paziente è stato vaccinato contro i batteri capsulati, tra cui <i>Streptococcus pneumoniae</i> , <i>Neisseria meningitidis</i> di tipo A, C, W, Y e B e <i>Haemophilus influenzae</i> di tipo B nei 2 anni precedenti l'inizio della terapia con ASPAVELI.	Si	
		No	
O	Data della vaccinazione (l'ultima effettuata relativa ai vaccini richiesti)		Se Si alla domanda precedente, indicare la data della vaccinazione
Se il paziente non è vaccinato contro i batteri capsulati, rispondere alla domanda sottostante			
E	E' indicata una terapia immediata con Aspaveli?	Si	
		No	blocca Fumetto: i vaccini richiesti devono essere somministrati almeno 2 settimane prima di infondere la prima dose di ASPAVELI (vedere RCP)
Se è indicata una terapia immediata con Aspaveli rispondere alla domanda sottostante			
E	I vaccini richiesti saranno somministrati il prima possibile e il paziente riceverà un'appropriata profilassi antibiotica fino a due settimane dopo la vaccinazione?	Si	
		No	blocca
E	Il paziente presenta intolleranza ereditaria al fruttosio?	Si	blocca
		No	

O	E' disponibile il punteggio FACIT Fatigue Scale (v. 4)	Si	
		No	
O	Punteggio FACIT Fatigue Scale (v. 4)	...	range 0-52
O	Donna potenzialmente fertile	Si	Domanda presente solo per paziente donna
		No	
E	La paziente è stata informata di utilizzare metodi contraccettivi efficaci per evitare una gravidanza durante il trattamento con pegcetacoplan e per almeno 8 settimane dopo l'ultima dose di pegcetacoplan?	Si	<i>Fumetto: Per le donne che pianificano una gravidanza, l'uso di ASPAVELI può essere considerato dopo una valutazione dei rischi e dei benefici (vedere RCP 4.6 Gravidanza) .</i>
		No	blocca
Parametri laboratoristici			
O	Globuli rossi (x10 ¹² /L)		
	MCV (fl)		
	Conta reticolociti (%)		
	Globuli bianchi (x10 ⁹ /L)		
	Neutrofili (%)		
	Eosinofili (%)		
	Basofili (%)		
	Linfociti (%)		
	Monociti (%)		
	Piastrine (x10 ⁹ /L)		
O	LDH (U/L)		
O	Bilirubina totale (mg/dL)		
O	Bilirubina diretta (mg/dL)		
O	Globuli rossi EPN (citometria a flusso su sangue periferico, %)		
O	Granulociti EPN (citometria a flusso su sangue periferico, %)		
Sezione relativa al 'Paziente già in trattamento' secondo: - uso compassionevole - Legge 648/96 (senza monitoraggio tramite i registri AIFA) - Legge 326/2003 Art. 48 - Studi clinici 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 a carico SSN. Il trattamento effettuato (RFn/DFn) nel periodo precedente alla rimborsabilità SSN non rientra nei calcoli dell'applicazione dell'eventuale MEA.			titolo della sezione sottostante
O	Paziente già in trattamento con pegcetacoplan secondo i criteri di monitoraggio richiesti dalla scheda AIFA?	Si	
		No	
Se risposto "SI" alla domanda precedente, indicare:			
O	Data della prima somministrazione di pegcetacoplan?	.././....	
O	Numero di somministrazioni già effettuate		

3- Scheda Richiesta Farmaco (RF)		
<p>Pegcetacoplan è somministrato due volte alla settimana mediante infusione sottocutanea di 1080 mg utilizzando una pompa per infusione a siringa disponibile in commercio in grado di dispensare dosi fino a 20 mL. La dose deve essere somministrata due volte alla settimana nei Giorni 1 e 4 di ogni settimana di trattamento.</p>		
<p><u>Pazienti che passano da un inibitore di C5 ad ASPAVELI</u> Per le prime 4 settimane, pegcetacoplan viene somministrato due volte alla settimana per via sottocutanea con una dose di 1080 mg in aggiunta all'attuale dose di inibitore di C5 ricevuta dal paziente, in modo da ridurre al minimo il rischio di emolisi associato alla brusca interruzione del trattamento. Dopo 4 settimane, il paziente deve interrompere il trattamento con l'inibitore di C5 prima di continuare in monoterapia con ASPAVELI.</p>		
<p><u>Aggiustamento della dose di ASPAVELI</u> Il regime posologico può essere modificato a 1080 mg ogni tre giorni (es., Giorno 1, Giorno 4, Giorno 7, Giorno 10, Giorno 13, e così via) nei soggetti con livelli di lattato deidrogenasi (LDH) maggiori di 2 volte il limite superiore della norma. In caso di aumento della dose, i livelli di LDH devono essere monitorati due volte alla settimana per almeno 4 settimane (vedere paragrafo 4.4).</p>		
<p><u>Dose dimenticata di ASPAVELI</u> Qualora venga dimenticata una dose di pegcetacoplan, l'infusione deve essere eseguita non appena la dimenticanza viene notata per poi riprendere il normale regime di somministrazione.</p>		
<p>RF = 1 ciclo = 28 giorni</p>		
O	Data richiesta farmaco	.././....
O	Posologia	1.080 mg due volte alla settimana 1.080 mg ogni tre giorni
O	Dose totale (mg)	<ul style="list-style-type: none"> • se posologia due volte alla settimana, dose totale = 1080 mg x 8 • se posologia ogni tre giorni, dose totale = 1080 mg x 10
<p>Dalla RF2 si aprono anche le seguenti domande:</p>		
E	Il paziente è stato monitorato secondo quanto previsto in RCP (paragrafo 4.4)?	Sì No blocca
O	Il paziente ha avuto una reazione nociva e non voluta al medicinale nel ciclo precedente?	Sì No Link RNFV
4- Scheda Dispensazione Farmaco (DF)		
O	Data dispensazione farmaco	.././....
O	Lista AIC	Numero di confezioni
O	AIC 049750019 - 1 flaconcino 1080 mg in 20 ml (54 mg/ml) AIC 049750021 - 8 flaconcini 1080 mg in 20 ml (54 mg/ml)	Combobox
5- Scheda Rivalutazione (RIV)		
<p>RIV 1 e RIV 2 obbligatorie ogni 2 mesi; le successive RIV ogni 4 mesi</p>		
O	Data Rivalutazione	.././....
<p>In RIV 1, si apre il campo sottostante "Data della vaccinazione..." solo se in scheda EDC risposto NO a "è stato vaccinato contro i batteri capsulati, tra cui Streptococcus pneumoniae, Neisseria meningitidis di tipo A, C, W, Y e B e Haemophilus influenzae di tipo B nei 2 anni precedenti l'inizio della terapia con ASPAVELI" e opzione Sì a "I vaccini richiesti saranno somministrati il prima possibile..."</p>		
O	Data della vaccinazione	gg/mm/aaaa
O	N. di somministrazioni	
O	Il paziente ha avuto una reazione nociva e non voluta al medicinale nel ciclo precedente	Sì No link RNFV

E	Il paziente ha ottenuto	controllo completo dell'emolisi	selezione multipla, tranne se si seleziona "nessun beneficio clinico"
		controllo parziale dell'emolisi , richiedente modifica del dosaggio e/o dell'intervallo tra le somministrazioni	
		miglioramento dell'anemia	
		ridotto bisogno di trasfusioni	
		nessun beneficio clinico	blocca da RIV 2 (16 settimane) la prosecuzione del trattamento e manda alla compilazione della scheda di FT
O	Il paziente ha sviluppato	anemia aplastica	selezione multipla, tranne se si seleziona "nessuna delle voci sopra" Link RNFV per tutte le voci tranne "nessuna delle voci sopra"
		episodi tromboembolici	
		episodi emorragici	
		nessuna delle voci sopra	
O	Emoglobina (g/dL)		
E	Δ Emoglobina (g/dL)		Blocca da RIV 2 (16 settimane) se $\Delta \leq 0$
O	LDH (U/L)		
O	Funzionalità renale	normale	
		compromessa	
O	Se compromessa , specificare il grado di compromissione renale	lieve (GFR 89-60 mL/min)	combobox
		moderata (GFR 59-30 mL/min)	
		grave (GFR 29-15 mL/min)	
		insufficienza renale terminale (GFR <15 mL/min o dialisi)	
O	E' disponibile il punteggio FACIT Fatigue Scale (v. 4)	Si	
		No	
O	Punteggio FACIT Fatigue Scale (v. 4)	...	range 0-52
O	Terapia immunosoppressiva	Si	
		No	
O	Se risposto Si al campo precedente , specificare la terapia immunosoppressiva	Globulina anti-linfocitaria	selezione multipla
		Ciclosporina	
		Altro	
	Se Altro , specificare		testo libero
O	Terapia stimolante l'eritropoiesi	Si	
		No	
O	Se risposto Si al campo precedente , specificare la terapia stimolante l'eritropoiesi	Eritropoietina	selezione multipla
		Altro	
		Se Altro, specificare	testo libero
O	Terapia anticoagulante	Si	
		No	
O	Se risposto Si al campo precedente, specificare la terapia anticoagulante	Dicumarolici	selezione multipla
		Eparina	
		Altro	
	Se Altro, specificare		testo libero
O	Terapia analgesica	Si	
		No	
O	Trasfusioni	si, dipendente	combobox
		si, occasionali	
		no	
O	Se risposto Si al campo precedente , indicare il n. di unità trasfuse negli ultimi 3 mesi		
O	Si sono verificati episodi di meningite?	Si	Link RNFV
		No	

O	Infezioni	Si	Link RNFV
		No	
O	Se si al campo precedente , infezioni di tipo opportunistico	Si	Link RNFV
		No	
O	Se si al campo Infezioni , specificare il tipo di infezione		testo libero
O	Neoplasie	Si	Link RNFV
		No	
O	Il paziente ha avuto emolisi grave (life-threatening)	Si	Link RNFV
		No	
O	Ha avuto gravidanze	Si	si prega di compilare la scheda gravidanza
		No	
		Non pertinente	
O	Il paziente ha avuto necessità di ospedalizzazione	Si	Link RNFV
		No	
O	Se Si al campo precedente , specificare la causa del ricovero	Complicanze trombotiche	selezione multipla Link RNFV per tutte le voci
		Insufficienza midollare	
		Complicanze emorragiche	
		Grave effetto collaterale del farmaco	
		Altro	
O	Se Altro , specificare		testo libero
O	Si sono sviluppati anticorpi neutralizzanti (immunogenicità)	Si	combobox
		No	
		Non rilevati	
E	Il paziente prosegue il trattamento?	Si	
		No	blocca la prosecuzione del trattamento e manda alla compilazione della scheda di FT
6- Scheda Fine Trattamento (FT)			
O	Data di FT	.././....	
O	Causa di Fine Trattamento	Remissione clinica spontanea/Remissione di malattia	
		Inefficacia	
		Trapianto di cellule staminali allogeniche	
		Gravidanza	
		Tossicità al medicinale	
		Perdita al follow up	
		Decisione Clinica	
		Decisione Paziente	
		Causa non dipendente dal farmaco	
		Decesso	
O	Se Decesso , indicare se il motivo del FT è:	Episodi tromboembolici	
		Complicanze infettive	
		Complicanze emorragiche	
		Neoplasia	
		Tossicità al medicinale	
		Altro	
	Se Altro, specificare	...	testo libero
O	Se Decesso , indicare la data del decesso:	.././....	
O	Il paziente ha avuto una reazione nociva e non voluta al medicinale nel ciclo precedente	Si	Link RNFV
		No	