ANNEXE A: première demande de remboursement de la spécialité pharmaceutique à base de de phénylbutyrate de glycérol (§ 12000000 du chapitre IV de la liste jointe à l'A.R. du 1 février 2018)

I – Identification du bénéficiaire (nom, prénom, N° d'affiliation à l'O.A.):

|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_| (nom)

|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_| (prénom)

|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_| (numéro d'affiliation)

II - Éléments à attester par un médecin spécialiste attaché à un Centre reconnu dans le cadre des Conventions de rééducation de bénéficiaires souffrant d'une maladie métabolique monogénique héréditaire rare:

Je soussigné, docteur en médecine, spécialiste reconnu en……. ...…….. (mentionnez la spécialité) certifie que le bénéficiaire mentionné ci-dessus est atteint d'un trouble du cycle de l'urée et qu'il remplit toutes les conditions figurant au point a) du § 12000000 du chapitre IV de la liste jointe à l'A.R. du 1 février 2018:

La spécialité est utilisée pour le traitement chronique d'un bénéficiaire atteint d'un trouble du cycle de l'urée (UCD, urea cycle disorder) qui ne peut pas être pris en charge uniquement par un régime alimentaire faible en protéines et/ou par une supplémentation en acides aminés:

- à savoir:

□ un déficit en carbamoyl-phosphate synthétase I (CPS)

□ un déficit en ornithine carbamoyltransférase (OTC)

□ un déficit en argininosuccinate synthétase (ASS)

□ un déficit en argininosuccinate lyase (ASL)

□ un déficit en arginase I (ARG)

□ un déficit en ornithine translocase (syndrome d'hyperornithinémie-hyperammoniémie-homocitrullinurie) (HHH)

J'atteste également que le bénéficiaire répond à l'une des conditions suivantes :

□ Les taux sanguins d'ammoniaque ne peuvent pas être contrôlés par un traitement initial à base de benzoate de sodium;

□ ou il/elle présente des effets indésirables significatifs ou une contre-indication à un traitement par benzoate de sodium.

La spécialité est associée à un régime pauvre en protéines et, dans certains cas, à des suppléments alimentaires (par ex. acides aminés essentiels, arginine, citrulline, suppléments caloriques sans protéines) dans l'une des situations suivantes et documentée dans le dossier médical:

□ Chez des bénéficiaires âgés de 2 mois et plus dont le taux d'ammoniaque plasmatique à jeun s'est révélé supérieur à 80 µmol/L lors de trois mesures distinctes au cours des 12 derniers mois;

□ Ou chez des bénéficiaires âgés de 2 mois et plus dont le taux de glutamine plasmatique à jeun s'est révélé supérieur à 1000 µmol/L lors de trois mesures distinctes au cours des 12 derniers mois.

Je m'engage à tenir à la disposition du médecin-conseil les éléments de preuve établissant que le bénéficiaire concerné se trouve dans la situation attestée.

Je sais que le nombre de conditionnements remboursables par an tient compte d'une posologie journalière maximale de 18,92 g/jour et que le nombre de conditionnements autorisés est limité à 252 conditionnements maximum de 25 ml et une concentration de 1,1 g/ml.

Sur base des éléments ci-dessus, j'atteste que ce bénéficiaire nécessite de recevoir le remboursement d'un traitement avec la spécialité pharmaceutique à base de phénylbutyrate de glycérol pour une durée limitée à une période maximale de 12 mois.

III - Identification du médecin-spécialiste (nom, prénom adresse, N° INAMI):

Je suis attaché(e) au centre mentionné ci-dessous, qui est reconnu dans le cadre des Conventions de rééducation de bénéficiaires souffrant d'une maladie métabolique monogénique héréditaire rare:
Le nom et l'adresse complète de ce centre sont les suivants:
……
……
……
……
……
……

|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_| (nom)

|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_|_| (prénom)

|1| - |_|_|_|_|_| - |_|_| - |_|_|_| (n° INAMI)

|_|_| / |_|_| / |_|_|_|_| (date)

| | (cachet) ..... (signature du médecin)