

Wijzigingen terugbetaling Kalydeco monotherapie vanaf 1 februari 2023 (opmerking: de aanvraagformulieren worden geschrapt)

Paragraaf 7930000 (gewijzigd)

a) De farmaceutische specialiteit op basis van het werkzame bestanddeel ivacaftor, komt in aanmerking voor vergoeding voor een periode van 12 maanden indien ze toegediend wordt gebruikt bij een rechthebbende van 2 jaar 4 maanden of ouder die lijdt aan mucoviscidose gediagnosticeerd op basis van gelijktijdig:

- de aanwezigheid van 2 CF-geassocieerde mutaties of op basis van een chloride waarde > 60 mmol/l in zweet

- en die één van de volgende 'gating-' (klasse-III-) mutaties in het CFTR-gen heeft:

o G551D

o G1244E

o G1349D

o G178R

o G551S

o S1251N

o S1255P

o S549N

o S549R

EN bij rechthebbenden van 2 jaar en ouder op basis van de aanwezigheid van:

- en op basis van de aanwezigheid van een chronische sino-pulmonale ziekte of gastro-intestinale of voedingstoestand afwijkingen zoals aangetoond door één van de volgende elementen:

Paragraphe 7930000 (modifié)

a) La spécialité pharmaceutique à base du principe actif ivacaftor, fait l'objet d'un remboursement pour une période de 12 mois si elle est utilisée chez administrée à un bénéficiaire de 2 ans 4 mois ou plus, atteint de mucoviscidose diagnostiquée simultanément sur base de:

- la présence de 2 mutations CF associées ou sur base d'un taux de chlorure dans la sueur > 60 mmol/l

- et qui présente une des mutations de défaut de régulation (classe III) du gène CFTR suivantes:

o G551D

o G1244E

o G1349D

o G178R

o G551S

o S1251N

o S1255P

o S549N

o S549R

ET à des bénéficiaires âgés de 2 ans et plus sur base de la présence :

- et sur base de la présence d'une maladie chronique sino-pulmonaire pulmonaire ou gastro-intestinale ou déviations de l'état nutritionnel, démontrée par un des éléments suivants :

o De gemiddelde éénsecondewaarde (ESW) van de laatste vier driemaandelijkse longfunctietesten die kleiner is dan 90% van de referentiewaarde voor de rechthebbende,

o en/of minstens één gedocumenteerde exacerbatie in de afgelopen 12 maanden (waarvoor behandeling met aanvullende antibiotica nodig was),

o en/of CF gerelateerde longabnormaliteiten gedocumenteerd door de meest recente thoraxscan (die kunnen bestaan uit bronchiëctasieën, diffuse bronchiale wandverdikking, bronchiolitis ("tree in bud" patroon en "air trapping"), atelectase, longcysten/blaaies, pneumothorax).

- en/of gastro-intestinale afwijkingen zoals pancreasinsufficiëntie of herhaalde pancreatitis;

- En/of afwijkingen van de nutritionele status, aangetoond door een lager BMI dan de referentiewaarde voor de rechthebbende (gedefinieerd als BMI z score < of = -1)

~~en die één van de volgende 'gating' (klasse III) mutaties in het CFTR-gen heeft: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N of S549R.~~

De rechthebbende komt niet in aanmerking voor een behandeling met Kalydeco® deze specialiteit indien de rechthebbende reeds een longtransplantatie onderging.

b) Het aantal vergoedbare verpakkingen zal rekening houden met een maximale posologie voor volwassenen van 300 mg per dag (2 x 150 mg/ dag) en voor kinderen van 100/150 mg per dag (2 x 50/75 mg per dag) en 13 verpakkingen van 56 tabletten/zakjes per periode van 12 maanden. De terugbetaling is beperkt tot de aflevering door de ziekenhuisapotheker van een door het RIZIV erkend referentiecentrum voor mucoviscidose.

b) De vergoeding van de betrokken farmaceutische specialiteit dient te worden aangevraagd hangt af van het voorafgaand ter beschikking stellen aan de adviserend arts van een medisch verslag, alsook van de protocollen en resultaten van de uitgevoerde onderzoeken en van een aanvraagformulier, waarvan het model in bijlage A van de huidige paragraaf is overgenomen, ingevuld en ondertekend door een arts-specialist in de pediatrie of in de pneumologie, verbonden aan een door het RIZIV erkend referentiecentrum voor mucoviscidose (code 7891), en verantwoordelijk voor de behandeling.

o de la valeur moyenne du volume expiratoire maximum par seconde (VEMS), obtenue lors des 4 derniers tests trimestriels de fonction respiratoire qui est inférieure à 90% de la valeur de référence pour le bénéficiaire,

o et/ou au moins d'une exacerbation documentée au cours des 12 derniers mois (nécessitant un traitement par antibiotiques supplémentaires),

o et/ou des anomalies pulmonaires liées à la mucoviscidose documentées par le scanner thoracique le plus récent (pouvant consister en bronchiectasies, un épaississement diffus de la paroi bronchique, en bronchiolite (« tree in bud » et « air trapping »), une atélectasie, des kystes/alvéoles pulmonaires, un pneumothorax).

- et/ou des altérations gastro-intestinales, telles qu'une insuffisance pancréatique ou une pancréatite récurrente ;

- et/ou des altérations de l'état nutritionnel, quantifiées par un IMC, inférieur aux valeurs de référence utilisées pour le bénéficiaire (défini comme le score z de l'IMC < ou = -1)

~~et qui présente une des mutations de défaut de régulation (classe III) du gène CFTR suivantes: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N ou S549R.~~

Le bénéficiaire ne fait pas l'objet d'un remboursement n'entre pas en ligne de compte pour un traitement avec Kalydeco® cette spécialité si le bénéficiaire a déjà eu subi une transplantation du poumon pulmonaire.

b) Le nombre de conditionnements remboursables tiendra compte d'une posologie maximale pour les adultes de 300 mg par jour (2 x 150 mg/jour) et pour les enfants de 100/150 mg par jour) et de 13 conditionnements de 56 comprimés/sachets par période de 12 mois. Le remboursement est limité à la délivrance par un pharmacien hospitalier attaché à un centre de référence reconnu en matière de mucoviscidose.

b) Le remboursement de la spécialité pharmaceutique concernée doit être demandé est conditionné par la fourniture préalable au médecin conseil d'un rapport médical accompagné des protocoles et des résultats des examens réalisés afférents et d'un formulaire de demande, dont le modèle est repris à l'annexe A du présent paragraphe dûment complété et signé par un médecin spécialiste en pédiatrie ou en pneumologie, attaché à un centre de référence reconnu en matière de pour la mucoviscidose (code 7891) reconnu par l'INAMI, et responsable pour le traitement.

- 7.89.105.87 Muco-Referentiecentrum Antwerpen

- 7.89.101.91 Universitair Ziekenhuis Brussel Mucoviscidose referentiecentrum

- 7.89.102.90 Cliniques Universitaires Saint-Luc Centre de référence de la mucoviscidose UCL Saint-Luc

- 7.89.103.89 Hôpital Erasme- Hôpital des Enfants Reine Fabiola Institut de Mucoviscidose ULB

- 7.89.107.85 Centre Liégeois de rééducation fonctionnelle pour la mucoviscidose CHR de la Citadelle

- 7.89.104.88 U.Z. Gent Referentiecentrum voor Mucoviscidose

- 7.89.106.86 Muco-Referentiecentrum Gasthuisberg Leuven UZ Gasthuisberg

~~Het rapport zal ten minste de volgende elementen bevatten:~~

~~1. Elementen die toelieten de diagnose te stellen (enkel voor de eerste aanvraag);~~

~~2. De chronologische beschrijving van de oude en huidige evolutie van de ziekte, alsook van de toegediende behandelingen en hun effecten;~~

~~3. De oorspronkelijke klinisch toestand vóór aanvang van de behandeling en, voor de verlengingsaanvragen, de huidige toestand van de patiënt met, in het bijzonder vermelding van het lichaamsgewicht, de body mass index, de nutritionele status en, voor de patiënten ouder dan 6 jaar, de resultaten van de longfunctie, met de éénsecondewaarde (ESW);~~

~~4. Het aantal exacerbaties gedurende de laatste 12 maanden en het aantal hospitalisaties met hun oorzaak, gedurende de laatste 12 maanden;~~

~~5. De beschrijving van de therapietrouw (enkel voor de verlengingsaanvragen);~~

~~6. De motivering van de instelling van de behandeling of de verderzetting van de behandeling met de betrokken farmaceutische specialiteit.~~

- 7.89.105.87 Muco-Referentiecentrum Antwerpen

- 7.89.101.91 Universitair Ziekenhuis Brussel Mucoviscidose referentiecentrum

- 7.89.102.90 Cliniques Universitaires Saint-Luc Centre de référence de la mucoviscidose UCL Saint-Luc

- 7.89.103.89 Hôpital Erasme- Hôpital des Enfants Reine Fabiola Institut de Mucoviscidose ULB

- 7.89.107.85 Centre Liégeois de rééducation fonctionnelle pour la mucoviscidose CHR de la Citadelle

- 7.89.104.88 U.Z. Gent Referentiecentrum voor Mucoviscidose

- 7.89.106.86 Muco-Referentiecentrum Gasthuisberg Leuven UZ Gasthuisberg

~~Le rapport médical comportera au minimum les éléments suivants:~~

~~1. Eléments ayant permis l'établissement du diagnostic (pour la première demande uniquement);~~

~~2. La description chronologique de l'évolution ancienne et récente de l'affection ainsi que celle des traitements administrés et leurs effets;~~

~~3. La présentation clinique initiale avant traitement, et pour les demandes de prolongation, également la présentation actuelle du patient avec, notamment, mention du poids corporel, du bodymass index, de l'état nutritionnel et, pour les patients de plus de 6 ans, des résultats de la fonction respiratoire, avec spécifiquement le volume expiré maximal à la première seconde (VEMS);~~

~~4. Le nombre d'exacerbation(s) présentées sur les 12 derniers mois et le nombre d'hospitalisation(s) et leur cause présentées sur les 12 derniers mois;~~

~~5. La description de la compliance au traitement (pour les demandes de prolongation uniquement);~~

~~6. La motivation de l'instauration du traitement ou de la poursuite du traitement avec la spécialité pharmaceutique susvisée.~~

Het aanvraagformulier zal ingevuld worden door de hierboven vermelde arts specialist, die aldus in de daartoe bestemde rubrieken tegelijk;

1. de elementen vermeldt die betrekking hebben op de diagnosestelling en op de bovenstaande klinische presentaties, en, indien het een aanvraag tot verlenging van de vergoeding betreft, de elementen die betrekking hebben op de klinische evolutie van de patiënt;

2. de elementen vermeldt die toelaten:

2.1. het boven vermelde door het RIZIV erkende referentiecentrum voor mucoviscidose waaraan hij verbonden is, te identificeren;

2.2. de betrokken ziekenhuisapotheker te identificeren, die samen werkt met het door het RIZIV erkende referentiecentrum voor mucoviscidose.

3. zich ertoe verbindt om de bewijsstukken die de geattesteerde gegevens staven ter beschikking te stellen aan de adviserend-arts;

4. zich ertoe verbindt om mee te werken, in toepassing van punt f) hieronder, aan de registratie en verzameling van de gecodeerde gegevens die betrekking hebben op de evolutie en uitkomst van de betrokken patiënt via het Belgisch Mucoviscidose Register van het Wetenschappelijk Instituut Volksgezondheid;

5. zich ertoe verbindt om geen terugbetaling meer aan te vragen voor de behandeling met KALYDECO als er geen klinisch voordeel bewezen kan worden gedurende de laatste 12 maanden, onder andere gebaseerd op de resultaten van de longfunctieonderzoeken tijdens opvolging, de evolutie van de BMI en het aantal van exacerbatie(s) en hospitalisatie(s);

Voor de eerste verlengingsaanvraag, moet dit klinisch voordeel bij de patiënten ≥ 6 jaar worden aangetoond door een verbetering van de ESW (absoluut % van de voorspelde éénsecondewaarde) van minstens 5% ten opzicht van de startwaarde, tekens gemeten buiten een infectieuze opstoot en na controle van de therapietrouw, na 2 maanden van behandeling. Bij de patiënten < 6 jaar, en ook bij de patiënten ≥ 6 jaar bij wie geen verbetering met $> 5\%$ van de ESW na 2 maanden behandeling geobserveerd werd, zal deze eerste aanvraag tot verlenging van de terugbetaling onderworpen worden aan het aantonen van een substantiële klinische verbetering van de patiënt (bv body mass index).

Le formulaire de demande sera complété aux rubriques ad hoc, par le médecin spécialiste susvisé qui, ainsi, simultanément :

1. mentionne les éléments relatifs au diagnostic et aux manifestations cliniques susvisées, et, lorsqu'il s'agit d'une demande de prolongation de remboursement, les éléments relatifs à l'évolution clinique du patient ;

2. mentionne les éléments qui permettent:

2.1. d'identifier le centre susvisé reconnu en matière de mucoviscidose par l'INAMI auquel il est attaché;

2.2. d'identifier le pharmacien hospitalier de référence, collaborant avec le centre reconnu en matière de mucoviscidose par l'INAMI.

3. s'engage à tenir à la disposition du médecin conseil les éléments de preuve confirmant les éléments attestés;

4. s'engage à collaborer, en application du point f) ci-dessous, à l'enregistrement et la collecte des données codées relatives à l'évolution et au devenir du patient concerné via le Registre Belge de la Mucoviscidose de l'Institut Scientifique de Santé Publique;

5. s'engage à ne plus demander le remboursement pour le traitement avec KALYDECO si aucun avantage clinique ne peut être démontré sur les 12 derniers mois en se basant entre autres sur les résultats des épreuves fonctionnelles respiratoires de contrôle, l'évolution du BMI et le nombre d'exacerbations et d'hospitalisations;

Pour la première demande de prolongation, cet avantage clinique doit se présenter chez les patients ≥ 6 ans, par une amélioration du VEMS (% absolu de volume Expiratoire Maximal par Seconde de la valeur prédite) d'au moins 5% par rapport à la valeur initiale, chaque fois mesurée en dehors d'une période d'exacerbation infectieuse et après avoir vérifié la compliance, après 2 mois de traitement. Chez les patients < 6 ans, ainsi que chez les patients ≥ 6 ans chez qui une amélioration du VEMS de $\geq 5\%$ n'est pas observée après 2 mois de traitement, cette première demande de prolongation du remboursement sera soumise à la preuve d'une amélioration clinique substantielle du patient (p.ex. body mass index).

6. zich ertoe verbindt geen terugbetaling meer aan te vragen voor de behandeling met Kalydeco als de patiënt geen goede therapietrouw vertoont;

7. de patiënt vooraf volledig inlicht over de stopping rules van de terugbetaling.

6. s'engage à ne plus demander le remboursement pour le traitement du Kalydeco si le patient n'observe pas une bonne compliance;

7. informe pleinement le patient des stopping rules du remboursement.

c) Het aantal vergoedbare verpakkingen zal rekening houden met een maximale dagelijkse posologie van:

- Één filmomhulde tablet 's morgens die 150 mg ivacaftor bevat in combinatie met één filmomhulde tablet die 150 mg ivacaftor bevat 's avonds voor volwassenen en kinderen van 6 jaar en ouder met een gewicht > of = 25 kg

- Één zakje granulaat dat 75 mg ivacaftor bevat 's morgens in combinatie met één zakje granulaat dat 75 mg ivacaftor bevat 's avonds voor kinderen van 6 maanden en ouder met een gewicht > of = 14 kg tot < 25 kg

- Één zakje granulaat dat 50 mg ivacaftor bevat 's morgens in combinatie met één zakje granulaat dat 50 mg ivacaftor bevat 's avonds voor kinderen van 6 maanden en ouder met een gewicht > of = 7 kg tot < 14 kg

- Één zakje granulaat dat 25 mg ivacaftor bevat 's morgens in combinatie met één zakje granulaat dat 25 mg ivacaftor bevat 's avonds voor kinderen van 4 maanden en ouder met een gewicht > of = 5 kg tot < 7 kg

en dit aan een maximum van 13 verpakkingen per periode van 12 maanden voor deze specialiteit overeenkomstig de bepalingen die in de Samenvatting van de Kenmerken van het Product (SKP) van de betrokken farmaceutische specialiteiten zijn vermeld.

d) De vergoeding wordt toegestaan toegekend door de adviserend arts voor een per hernieuwbare periode van maximaal 12 maanden, in toepassing van de procedure bedoeld in de artikels 7,8 en 9 van het koninklijk besluit van 6 december 2018 over de terugbetalingsreglementering van weesgeneesmiddelen en van de farmaceutische specialiteiten die in het kader van een zeldzame ziekte vergoedbaar zijn, die de vergoeding onderwerpt aan een onderzoek door het betrokken College van artsen, opgericht door de Koning in toepassing van artikel 35bis, §10 van de Wet betreffende de verplichte verzekering voor geneeskundige verzorging en uitkeringen gecoördineerd op 14 juli 1994, op basis van een elektronische aanvraag, ingediend door de via het e-Health platform geïdentificeerde en geauthentificeerde arts-specialist vermeld onder punt b) hierboven, die aldus verklaart;

- dat de betrokken rechthebbende zich op het moment van de aanvraag in de hierboven onder punt a) vermelde situatie bevindt;

c) Le nombre de conditionnements remboursables tiendra compte d'une posologie journalière maximale de :

- Un comprimé pelliculé contenant 150 mg d'ivacaftor le matin en combinaison avec un comprimé pelliculé contenant 150 mg d'ivacaftor le soir pour les adultes et les enfants à partir de 6 ans dont le poids est > ou = 25 kg,

- Un sachet de granulés contenant 75 mg d'ivacaftor le matin en combinaison avec un sachet de granulés contenant 75 mg d'ivacaftor le soir pour les enfants à partir de 6 mois et dont le poids est compris entre > ou = 14 kg et < 25 kg,

- Un sachet de granulés contenant 50 mg d'ivacaftor le matin en combinaison avec un sachet de granulés contenant 50 mg d'ivacaftor le soir pour les enfants à partir de 6 mois dont le poids est compris entre > ou = 7 kg et < 14 kg,

- Un sachet de granulés contenant 25 mg d'ivacaftor le matin en combinaison avec un sachet de granulés contenant 25 mg d'ivacaftor le soir pour les enfants à partir de 4 mois dont le poids est compris entre > ou = 5 kg et < 7 kg,

soit un maximum de 13 conditionnements par période de 12 mois pour cette spécialité conformément aux dispositions mentionnées dans le Résumé des Caractéristiques du Produit (RCP) des spécialités pharmaceutiques concernées.

d) Le remboursement est autorisé accordé par le médecin-conseil par périodes renouvelables de 12 mois maximum en application de la procédure visée aux articles 7, 8 et 9 de l'arrêté royal du 6 décembre 2018 relatif aux règles subordonnant le remboursement des médicaments orphelins et des spécialités pharmaceutiques remboursables dans le cadre d'une maladie rare à une appréciation du Collège de médecins concerné, établi par le Roi en application de l'article 35bis, § 10 de la Loi relative à l'assurance obligatoire soins de santé et indemnités éeordonnée le 14 juillet 1994, sur base d'une demande de remboursement électronique introduite par le médecin spécialiste, identifié et authentifié par la plateforme e-Health, décrit au point b) ci-dessus, qui ainsi ;

- atteste que le bénéficiaire concerné se trouve, au moment de la demande, dans la situation visée au point a) ci-dessus;

- zich ertoe te verbinden de bewijsstukken met betrekking tot de situatie van de rechthebbende (bv. diagnosestelling, klinische presentaties, en indien het een aanvraag tot hernieuwing van de vergoeding betreft, de elementen die betrekking hebben op de klinische evolutie van de rechthebbende), ter beschikking te houden van de adviserend-arts op eenvoudig verzoek;

- zich ertoe te verbinden de volgende elementen bij te houden in het dossier van de rechthebbende:

- de identificatie van het hierboven vermelde door het RIZIV erkende referentiecentrum voor mucoviscidose waaraan de art-specialist verbonden is;

- de identiteit van de betrokken ziekenhuisapotheker, die samen werkt met het door het RIZIV erkende referentiecentrum voor mucoviscidose.

- de specifieke mutaties in het *CFTR*-gen die aan de oorzaak liggen van de aandoening.

- zich ertoe te verbinden om mee te werken aan de registratie en verzameling van de gecodeerde gegevens die betrekking hebben op de evolutie en uitkomst van de betrokken rechthebbende via het Belgisch Mucoviscidose Register;

Onafgezien van de voorziene beschikkingen door bovenstaande procedure, zorgt de adviserend arts, in geval van positieve beslissing:

1. voor het verlenen aan de betrokken begunstigde van een specifiek en uniek nummer, dat zodanig gecodeerd is dat de identificatie van de begunstigde door derden onmogelijk is. Dit nummer moet de identificatie van de verzekeringsinstelling bevatten alsook de data van begin en einde van de toegestane periode;

2. voor het meedelen aan bovenvermelde aanvragende arts-specialist van het uniek nummer toegekend aan zijn patiënt, alsook de data van begin en einde van de toegestane periode;

3. voor het bezorgen aan de ziekenhuisapotheker, bedoeld in punt c) 2.2 hierboven, van een document die de identificatie van de begunstigde en de aanvragende arts bevat, alsook de data van begin en einde van de toegestane periode.

e) De vergoeding kan slechts toegekend worden indien de betrokken apotheker, voorafgaand aan de aflevering, een kopie van het document bezit bedoeld onder punt d) 3. Met het oog hierop moet de afleverende apotheker dit attest of deze kopie

- s'engage à tenir à la disposition du médecin conseil les preuves relatives à la situation du bénéficiaire (p.ex. les éléments relatifs au diagnostic et aux manifestations cliniques, et, lorsqu'il s'agit d'une demande de renouvellement du remboursement, les éléments relatifs à l'évolution clinique du bénéficiaire) sur simple demande;

- s'engage à conserver dans le dossier du bénéficiaire les éléments suivants:

- l'identification du centre susvisé reconnu en matière de mucoviscidose par l'INAMI auquel le médecin spécialiste est attaché;

- l'identité du pharmacien hospitalier de référence, collaborant avec le centre reconnu par l'INAMI pour la mucoviscidose.

- les mutations spécifiques du gène *CFTR* à l'origine de l'affection.

- s'engage à collaborer à l'enregistrement et à la collecte de données codées relatives à l'évolution et au devenir du bénéficiaire concerné via le Registre Belge de la Mucoviscidose ;

Sans préjudice des dispositions prévues par la procédure susvisée, le médecin conseil devra, en cas de décision positive:

1. attribuer au bénéficiaire concerné un numéro spécifique, unique, codé de façon à rendre impossible l'identification du bénéficiaire par des tiers. Dans ce numéro doit figurer l'identification de l'organisme assureur ainsi que les dates de début et de fin de période autorisée ;

2. communiquer au médecin demandeur susvisé le numéro unique attribué à son patient, ainsi que les dates de début et de fin de la période autorisée ;

3. communiquer au pharmacien hospitalier visé au point c) 2.2. ci-dessus, un document sur lequel figure l'identification du bénéficiaire et du médecin demandeur, avec les dates de début et de fin de la période autorisée.

e) Le remboursement ne peut être accordé que si le pharmacien dispensateur dispose, préalablement à la dispensation d'une copie du document visé au point d) 3. A cet effet, le pharmacien dispensateur doit joindre cette attestation ou cette copie à la facture intégrée individuelle du patient concerné.

hechten aan de globale individuele factuur van de betrokken patiënt.

f) Teneinde de Commissie Tegemoetkoming Geneesmiddelen toe te laten haar taken uit te voeren zoals bepaald in artikel 29bis en 35bis van de Wet, meer bepaald een verdere wijziging van de inschrijving van de farmaceutische specialiteit, wordt de vergoeding van de specialiteit toegestaan voor zover de gecodeerde gegevens over de evolutie en uitkomst van begunstigden die deze vergoeding ontvangen, geregistreerd worden en voorwerp van een evaluatie kunnen worden. De modaliteiten eigen aan de aard van de gegevens, de registratie, de verzameling en de evaluatie worden vastgelegd door de Minister op voorstel van de Commissie Tegemoetkoming Geneesmiddelen, na advies van de Commissie over de bescherming van de privé-sfeer.

e) De rechthebbende dient per periode van 12 maanden behandeling geëvalueerd te worden om na te gaan of de rechthebbende nog steeds in aanmerking kan komen voor vergoeding. De machtiging voor vergoeding van de betrokken specialiteit wordt hernieuwd op basis van een elektronische aanvraag, ingediend door de via het e-Health platform geïdentificeerde en geauthenticeerde arts-specialist vermeld onder punt b) hierboven die aldus verklaart:

- zich ertoe te verbinden om geen vergoeding meer aan te vragen voor de behandeling met deze specialiteit als er geen klinisch voordeel bewezen kan worden gedurende de laatste 12 maanden, onder andere gebaseerd op de resultaten van de longfunctieonderzoeken tijdens opvolging, de evolutie van de BMI en het aantal exacerbatie(s) en hospitalisatie(s);

Voor de eerste verlengingsaanvraag, moet dit klinisch voordeel bij de:

- rechthebbenden > of = 6 jaar worden aangetoond door een verbetering van de ESW (absoluut % van de voorspelde éénsecondewaarde) van minstens 5% ten opzichte van de startwaarde, telkens gemeten buiten een infectieuze opstoot en na controle van de therapietrouw, na 2 maanden van behandeling.

- rechthebbenden < 6 jaar, en ook bij de rechthebbenden > of = 6 jaar bij wie geen verbetering met > of = 5% van de ESW na 2 maanden behandeling werd vastgesteld, aangetoond worden door een substantiële verbetering van de klinische toestand van de rechthebbende (bv body mass index).

- zich ertoe te verbinden geen vergoeding meer aan te vragen voor de behandeling met deze specialiteit als de rechthebbende geen goede therapietrouw vertoont;

f) Afin de permettre à la Commission de Remboursement des Médicaments d'exécuter les missions définies à l'article 29bis et 35bis de la Loi, notamment en ce qui concerne une modification ultérieure de l'inscription de la spécialité pharmaceutique, le remboursement de la spécialité est accordé pour autant que des données codées, relatives à l'évolution et au devenir des bénéficiaires recevant ce remboursement, puissent être enregistrées et puissent faire l'objet d'une évaluation. Les modalités relatives à la nature des données, à l'enregistrement, à la collecte et à l'évaluation sont fixées par le Ministre sur la proposition de la Commission de Remboursement des Médicaments après avis de la Commission de la protection de la vie privée.

e) Le bénéficiaire doit être évalué par période de 12 mois de traitement afin de déterminer si le bénéficiaire est toujours éligible au remboursement. L'autorisation de remboursement pour la spécialité concernée est renouvelée sur base d'une demande de remboursement électronique introduite par le médecin spécialiste, identifié et authentifié par la plateforme e-Health, décrit au point b) ci-dessus, qui ainsi:

- s'engage à ne plus demander le remboursement pour le traitement avec cette spécialité si aucun avantage clinique ne peut être démontré sur les 12 derniers mois en se basant entre autres sur les résultats des épreuves fonctionnelles respiratoires de contrôle, l'évolution du BMI et le nombre d'exacerbations et d'hospitalisations;

Pour la première demande de prolongation, cet avantage clinique doit être démontrée chez les :

- bénéficiaires de > ou = 6 ans, par une amélioration du VEMS (% absolu du volume Expiratoire Maximal par Seconde prévu) d'au moins 5% par rapport à la valeur initiale, chaque fois mesurée en dehors d'une période d'exacerbation infectieuse et après avoir vérifié l'observance thérapeutique, après 2 mois de traitement.

- bénéficiaires de < 6 ans, ainsi que chez les bénéficiaires > ou = 6 ans chez qui une amélioration du VEMS de > ou = 5% n'est pas observée après 2 mois de traitement, par une amélioration substantielle de la condition clinique du bénéficiaire (p.ex. indice de masse corporelle).

- s'engage à ne plus demander le remboursement pour le traitement avec cette spécialité si le bénéficiaire ne montre pas une bonne observance thérapeutique;

- de rechthebbende vooraf volledig in te lichten over de stopping-rules van de vergoeding.

f) De vergoeding is beperkt tot de aflevering door de ziekenhuisapotheker verbonden aan een door het RIZIV erkend referentiecentrum voor mucoviscidose en voor zover de betrokken ziekenhuisapotheker, vooraleer de specialiteiten verstrekt worden, beschikt over een bewijs van het elektronisch akkoord.

- s'engage à informer pleinement et préalablement le bénéficiaire des stopping-rules du remboursement.

f) Le remboursement est limité à la délivrance par un pharmacien hospitalier attaché à un centre de référence pour la mucoviscidose reconnu par l'INAMI et ce pour autant que le pharmacien hospitalier concerné dispose, préalablement à la délivrance des spécialités, d'une preuve de l'accord électronique.