

ALLEGATO

**PIANO TERAPEUTICO (PT) AIFA per la prescrizione di sapropterina
(validità 6-mesi)**

(Da compilarsi ai fini della rimborsabilità SSN a cura dei centri specializzati, universitari o delle Aziende Sanitarie, individuati dalle Regioni e dalle Province autonome di Trento e di Bolzano da rinnovarsi ogni 6 mesi e consegnare al paziente).

Indicazioni terapeutiche :

sapropterina è indicato per il trattamento dell'iperfenilalaninemia (HPA) in soggetti adulti e pazienti pediatrici di qualsiasi età affetti da fenilchetonuria (PKU), che hanno mostrato una risposta a tale trattamento.

sapropterina è indicato per il trattamento dell'iperfenilalaninemia (HPA) in soggetti adulti e pazienti pediatrici di qualsiasi età con carenza di tetraidrobiopterina (BH4), che hanno mostrato una risposta al trattamento.

Centro prescrittore: _____

Medico prescrittore (nome e cognome): _____

Recapito telefonico: _____

Paziente (nome e cognome): _____

Data di nascita: ___/___/_____

Sesso: M F

Codice Fiscale: _____

Indirizzo: _____

Recapito telefonico: _____

ASL di Residenza: _____

Medico di Medicina Generale: _____



Diagnosi	<input type="checkbox"/>	Fenilchetonuria da deficit di fenilalanina idrossilasi (PKU)
	<input type="checkbox"/>	Fenilchetonuria da deficit di tetraidrobiopterina (BH4)
Livelli di Phe ematici alla diagnosi	_____mg/dl	
Livelli di Phe ematici dopo test con BH4 (carico con 20 mg/kg)	_____mg/dl	
Esame/Parametro	<input type="checkbox"/>	Test di Guthrie
	<input type="checkbox"/>	Aminoacidemia
Posologia (1)	<input type="checkbox"/>	Prima Prescrizione _____mg/kg/die
	<input type="checkbox"/>	Prescrizione Successiva _____mg/kg/die

(1) Posologia e modo di somministrazione

Allo scopo di garantire un controllo adeguato dei livelli di fenilalanina nel sangue e del bilancio nutrizionale è necessario un controllo attivo della fenilalanina nella dieta alimentare e dell'assunzione complessiva di proteine durante il trattamento con sapropterina.

I livelli di fenilalanina e tirosina nel sangue devono essere verificati, soprattutto nei bambini, tra una e due settimane dopo ogni aggiustamento del dosaggio e successivamente vanno sottoposti a un frequente monitoraggio sotto il controllo del medico.

Qualora si osservi un controllo inadeguato del livello di fenilalanina nel sangue durante il trattamento con sapropterina, deve essere rivalutata l'aderenza del paziente al trattamento e alla dieta alimentare prescritti prima di prendere in considerazione una variazione nel dosaggio di sapropterina.

L'interruzione del trattamento con sapropterina deve avvenire soltanto sotto la supervisione del medico. Può essere necessario un monitoraggio più frequente poiché i livelli di fenilalanina nel sangue possono aumentare. Può essere necessario modificare la dieta alimentare allo scopo di mantenere i livelli di fenilalanina nel sangue entro i limiti terapeutici desiderati.

La risposta al trattamento è determinata da una diminuzione della fenilalanina nel sangue in seguito al trattamento con sapropterina. I livelli di fenilalanina nel sangue devono essere verificati prima di iniziare il trattamento e dopo una settimana di trattamento con sapropterina alla dose iniziale raccomandata. Qualora si osservi una riduzione insoddisfacente del livello di fenilalanina nel sangue, la dose di sapropterina può essere aumentata a cadenza settimanale fino a un massimo di 20 mg/kg/die con un monitoraggio continuo, anch'esso a cadenza settimanale, dei livelli di fenilalanina nel sangue per un periodo di un mese. L'assunzione di fenilalanina attraverso la dieta alimentare deve essere mantenuta ad un livello costante durante questo periodo.

È possibile definire soddisfacente una risposta in caso di una riduzione ≥ 30 per cento del livello di fenilalanina nel sangue oppure in caso di conseguimento degli obiettivi terapeutici definiti per un paziente singolo dal medico curante relativamente al livello di fenilalanina nel sangue. I pazienti che non raggiungono questi livelli di risposta entro il periodo di prova di un mese precedentemente illustrato devono essere considerati non reattivi e non devono essere trattati con sapropterina. Una volta documentata la risposta al trattamento con sapropterina, la dose può essere adattata entro un limite compreso tra 5 e 20 mg/kg/die a seconda del grado di risposta alla terapia.

Pazienti adulti o pediatrici affetti da PKU

Dose iniziale: 10 mg / kg /una volta al giorno.

RANGE DI UTILIZZO: 5 -20 mg/kg/ una volta al giorno

Pazienti adulti e pediatrici affetti da carenza di BH4

Dose iniziale: 2-5 mg / kg /una volta al giorno.

RANGE DI UTILIZZO*: 2 -20 mg/kg/ una volta al giorno

sapropterina è disponibile in forma di compresse da 100 mg. La dose giornaliera calcolata sul peso corporeo deve essere arrotondata al multiplo di 100 più vicino. Per bambini con peso fino a 20 kg, si prega di fare riferimento alle Tabelle (1-4) pubblicate in RCP.

*Potrebbe essere necessario suddividere il dosaggio giornaliero complessivo in 2-3 somministrazioni nell'arco della giornata.

Interazioni con altri medicinali ed altre forme d'interazione

Sebbene la somministrazione concomitante di inibitori di diidrofolato reductasi (ad esempio metotressato, trimetoprim) non sia stata oggetto di studio, detti medicinali possono interferire con il metabolismo della molecola BH4. Si raccomanda cautela nell'utilizzo di tali medicinali durante il periodo di assunzione di sapropterina.

La BH4 è un cofattore per l'ossido nitrico sintetasi. Si raccomanda cautela nel periodo di utilizzo combinato di sapropterina con tutti i medicinali che provocano vasodilatazione (inclusi quelli a somministrazione topica) operando sul metabolismo o sull'azione dell'ossido nitrico (NO) inclusi i classici donatori di NO (ad esempio trinitrato glicerico (GTN), isosorbide di nitrito (ISDN), nitroprussato sodico (SNP), molsidomin), inibitori della fosfodiesterasi tipo 5 (PDE-5) e minoxidil. Sarà necessario procedere con cautela nel prescrivere sapropterina a pazienti sottoposti a trattamento con levodopa. Casi di convulsioni, di peggioramento delle convulsioni e di incremento dell'eccitabilità e dell'irritabilità sono stati osservati durante la somministrazione concomitante di levodopa e sapropterina in pazienti con carenza di BH4.

Data ___/___/_____

Timbro e firma del Medico specialista prescrittore

