Załącznik B.174.

LECZENIE CHORYCH NA ATAKSJĘ FRIEDREICHA (ICD-10: G11.1)

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	**SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE**	**BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU**
Kwalifikacji świadczeniobiorców do terapii oraz ocenę skuteczności leczenia dokonuje Zespół Koordynacyjny ds. Leczenia chorych na ataksję Friedreicha, powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia. **1. Kryteria kwalifikacji** Do leczenia omaweloksolonem kwalifikowani są pacjenci spełniający łącznie poniższe kryteria: 1) wiek:16 lat i powyżej; 2) rozpoznanie ataksji Friedreicha potwierdzone badaniem genetycznym; 3) adekwatna wydolność narządowa określona na podstawie wyników badań laboratoryjnych krwi zgodnie z zapisami aktualnej ChPL; 4) brak istotnych chorób współistniejących stanowiących przeciwskazanie do terapii stwierdzonych przez lekarza prowadzącego w oparciu o aktualną ChPL; 5) wykluczenie ciąży lub karmienia piersią. Ponadto do programu lekowego kwalifikowani są również pacjenci wymagający kontynuacji leczenia, którzy byli leczeni dotychczas w ramach innego sposobu finansowania terapii, za wyjątkiem	**1. Dawkowanie leku w programie** Sposób podawania oraz ewentualne czasowe wstrzymania leczenia, prowadzone zgodnie z aktualną Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL) lub przyjętą praktyką kliniczną. Maksymalna dawka to 150 mg omaweloksolonu raz na dobę.	**1. Badania przy kwalifikacji:** 1) oznaczenie stężenia aminotransferazy alaninowej; 2) oznaczenie stężenia aminotransferazy asparaginianowej; 3) oznaczenie stężenia bilirubiny we krwi; 4) oznaczenie stężenia glukozy i HbA1c we krwi; 5) lipidogram – oznaczenie cholesterolu całkowitego, cholesterolu frakcji LDL i HDL, triglicerydów; 6) badanie stężenia peptydu natriuretycznego typu B (BNP lub NT-pro-BNP); 7) elektrokardiografia (EKG); 8) echokardiografa (ECHO); 9) konsultacja kardiologiczna; 10) pomiar masy ciała; 11) test ciążowy (oświadczenie o stosowaniu skutecznej antykoncepcji w trakcie trwania terapii - u kobiet w wieku reprodukcyjnym); 12) konsultacja neurologiczna z oceną stopnia ciężkości choroby w skali mFARS wraz z określeniem wartości przy rozpoczynaniu leczenia. Warunkiem kwalifikacji do programu jest posiadanie dokumentacji medycznej wraz z badaniem genetycznym na

trwających badań klinicznych, pod warunkiem, że w chwili rozpoczęcia leczenia omaweloksolonem spełniali kryteria kwalifikacji do programu lekowego. **2. Określenie czasu leczenia w programie** U pacjentów po ukończeniu 18 r.ż., leczenie trwa do momentu określonego kryteriami wyłączenia w pkt. 3. W szczególnych przypadkach, w których w przebiegu choroby udokumentowano istotne spowolnienie postępu dysfunkcji innych niż uwzględniane w skali mFARS, na wniosek ośrodka prowadzącego, Zespół Koordynacyjny ds. Leczenia chorych na ataksję Friedreicha może podjąć decyzję o kontynuacji leczenia. U pacjentów przed ukończeniem 18 r.ż., leczenie trwa do momentu podjęcia decyzji przez Zespół Koordynacyjny ds. Leczenia chorych na ataksję Friedreicha. Z powodu potwierdzonej ciąży oraz w okresie karmienia piersią, możliwe jest czasowe zawieszenie leczenia z możliwością powrotu do stosowanej terapii. Po ukończeniu 18 r.ż. nie ma konieczności ponownej kwalifikacji pacjenta do programu po przeniesieniu leczenia do ośrodka dla dorosłych. Pacjent będący w trakcie terapii, który ukończył 18 rok życia może kontynuować terapię w pediatrycznym ośrodku realizującym program lekowy do ukończenia 20 roku życia, po uzyskaniu indywidualnej zgody dyrektora wojewódzkiego oddziału NFZ. **3. Kryteria wyłączenia z programu** 1) brak skuteczności terapii definiowany jako pogorszenie o więcej niż 2 punkty średnio rocznie w skali mFARS potwierdzone w dwóch kolejnych ocenach rocznych z zaznaczeniem, że:		podstawie której postawiono rozpoznanie ataksji Friedreicha; **2. Monitorowanie leczenia** Raz w miesiącu, przez pierwsze 3 miesiące leczenia, a następnie okresowo, zależnie od wskazań klinicznych należy wykonać: 1) oznaczenie stężenia aminotransferazy alaninowej; 2) oznaczenie stężenia aminotransferazy asparaginianowej; 3) oznaczenie stężenia bilirubiny we krwi. Co 6 miesięcy, w 1. roku leczenia i raz na 12 miesięcy od 2. roku leczenia należy wykonać: 1) lipidogram – oznaczenie cholesterolu całkowitego, cholesterolu frakcji LDL i HDL, triglicerydów; 2) badanie stężenia peptydu natriuretycznego typu B (BNP lub NT-pro-BNP); 3) pomiar masy ciała. Raz na 12 miesięcy należy wykonać: 1) elektrokardiografia (EKG); 2) echokardiografa (ECHO); 3) konsultacja kardiologiczna. Ocenę skuteczności na podstawie redukcji stopnia ciężkości choroby w skali mFARS wykonuje się co 6 miesięcy. Na podstawie ww. badań w celu monitorowania skuteczności leczenia Zespół Koordynacyjny ds. Leczenia chorych na ataksję Friedreicha określa dla indywidualnego pacjenta wskaźniki odpowiedzi na leczenie, w tym:

a) w szczególnych przypadkach, w których w przebiegu choroby udokumentowano istotne spowolnienie postępu dysfunkcji innych niż uwzględniane w skali mFARS, na wniosek ośrodka prowadzącego, Zespół Koordynacyjny ds. Leczenia chorych na ataksję Friedreicha może podjąć decyzję o kontynuacji leczenia, b) nie dotyczy pacjentów przed ukończeniem 18 r.ż., u których leczenie trwa do momentu podjęcia decyzji przez Zespół Koordynacyjny ds. Leczenia chorych na ataksję Friedreicha; 2) pojawienie się przeciwwskazań do leczenia wymienionych w Charakterystyce Produktu Leczniczego; 3) wystąpienie chorób lub stanów, które w opinii Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia chorych na ataksję Friedreicha uniemożliwiają kontynuację leczenia; 4) wystąpienie działań niepożądanych, które w opinii Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia chorych na ataksję Friedreicha uniemożliwiają kontynuację leczenia; 5) wystąpienie nadwrażliwości na lek lub substancję pomocniczą uniemożliwiające kontynuację leczenia; 6) wystąpienie zagrażającej życiu albo nieakceptowalnej toksyczności pomimo zastosowania adekwatnego postępowania; 7) brak współpracy lub nieprzestrzeganie zaleceń lekarskich ze strony świadczeniobiorcy lub jego prawnych opiekunów w szczególności dotyczących okresowych badań kontrolnych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo leczenia.		- zmiana wyniku w skali mFARS w ciągu 12 miesięcy leczenia. Dane gromadzone są w elektronicznym systemie monitorowania programów lekowych i analizowane przez Zespół Koordynacyjny ds. Leczenia chorych na ataksję Friedreicha, który podsumowuje wyniki leczenia w programie lekowym na koniec każdego roku. **2. Monitorowanie programu** 1) gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia; 2) uzupełnienie danych zawartych w elektronicznym systemie monitorowania programów lekowych dostępnym za pomocą aplikacji internetowej udostępnionej przez OW NFZ, z częstotliwością zgodną z opisem programu oraz na zakończenie leczenia; w tym przekazywanie danych dotyczących wskaźników efektywności: a) wynik w skali mFARS przy rozpoczynaniu leczenia, b) wynik w skali mFARS podczas oceny skuteczności; 3) przekazywanie informacji sprawozdawczo-rozliczeniowych do NFZ: informacje przekazuje się do NFZ w formie papierowej lub w formie elektronicznej, zgodnie z wymaganiami opublikowanymi przez Narodowy Fundusz Zdrowia.