

Załącznik B.25.

LECZENIE PACJENTÓW Z MUKOPOLISACHARYDOZĄ TYPU II (ZESPÓŁ HUNTERA) (ICD-10 E 76.1)

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE	BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU
Kwalifikacji świadczeniobiorców do terapii dokonuje Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrazadkowych powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia. Kwalifikacja do programu oraz weryfikacja skuteczności leczenia odbywa się, co 6 miesięcy, w oparciu o ocenę stanu klinicznego świadczeniobiorcy oraz ocenę efektywności zastosowanej terapii. W ramach programu lekowego udostępnia się terapię: 1) <i>idursulfazą</i> zgodnie ze wskazanymi w opisie programu warunkami i kryteriami. 1. Kryteria kwalifikacji 1) mukopolisacharydoza typu II (MPS II) zdiagnozowana na podstawie udokumentowanego, znacznego deficytu aktywności enzymu sulfatazy iduronianu w surowicy lub leukocytach krwi obwodowej lub w fibroblastach skóry; 2) adekwatna wydolność narządowa określona na podstawie wyników badań laboratoryjnych umożliwiającą w opinii lekarza prowadzącego bezpieczne rozpoczęcie terapii; 3) brak przeciwwskazań do stosowania leku zgodnie z aktualną Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL); 4) nieobecność istotnych schorzeń współistniejących lub	1. Dawkowanie Sulfataza iduronianu podawana jest w dawce 0,5 mg/kg masy ciała, co tydzień, w postaci dożylnego wlewu, trwającego ok. 3 godzin, który może być stopniowo skracany do 1 godziny, jeśli nie występują reakcje niepożądane związane z jego podaniem.	1. Badania przy kwalifikacji 1) badanie molekularne w kierunku mukopolisacharydozy typu II; 2) układ krzepnięcia; 3) gazometria; 4) oznaczenie: AST, ALT, CK, bilirubina; 5) wydalanie glikozaminoglikanów z moczem; 6) poziom przeciwciał przeciwko sulfatazie iduronianu (badanie nie jest obligatoryjne); 7) parametry życiowe; 8) pomiary antropometryczne; 9) elektroencefalografia EEG; 10) elektrokardiografia EKG; 11) echokardiografia; 12) RTG klatki piersiowej; 13) USG jamy brzusznej; 14) MRI OUN z uwzględnieniem odcinka szyjnego kręgosłupa; 15) RTG kręgosłupa; 16) diagnostyka zespołu cieśni nadgarstka (EMG); 17) badanie pulmonologiczne (wydolność oddechowa,

stanów klinicznych stanowiących przeciwwskazanie do terapii stwierdzonych przez lekarza prowadzącego w oparciu o aktualną ChPL. Kryteria kwalifikacji muszą być spełnione łącznie. Ponadto do programu lekowego kwalifikowani są również pacjenci wymagający kontynuacji leczenia, którzy byli leczeni idursulfazą w ramach innego sposobu finansowania terapii, za wyjątkiem trwających badań klinicznych tego leku, pod warunkiem, że w chwili rozpoczęcia leczenia spełniali kryteria kwalifikacji do programu lekowego. 2. Określenie czasu leczenia w programie Leczenie trwa do czasu podjęcia przez Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrazadkowych lub lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia. 3. Kryteria wyłączenia 1) stwierdzenie braku skuteczności leczenia – weryfikację skuteczności leczenia dokonuje co 6 miesięcy Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrazadkowych, na podstawie nadesłanej karty monitorowania terapii; 2) znaczna progresja choroby pojawiająca się pomimo leczenia; 3) wystąpienie zagrażającej życiu albo nieakceptowalnej toksyczności pomimo zastosowania adekwatnego postępowania; 4) obecność poważnych wrodzonych anomalii lub chorób współistniejących, które w ocenie lekarza kwalifikującego do leczenia lub Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrazadkowych, mogą		spirometria); 18) badanie audiometryczne; 19) badanie ortopedyczne, z oceną ruchomości stawów; 20) badanie okulistyczne; 21) badanie psychologiczne z określeniem ilorazu inteligencji lub rozwoju psychoruchowego u młodszych dzieci; 22) badanie narządu ruchu oraz funkcji motorycznych; 23) test 3/6 minutowego marszu; 24) test SF36. 2. Monitorowanie leczenia 2.1. Badania wykonywane co 6 miesięcy: 1) układ krzepnięcia; 2) gazometria; 3) oznaczenie: AST, ALT, CK, bilirubina; 4) wydalanie glikozaminoglikanów z moczem; 5) poziom przeciwciał przeciwko sulfatazie iduronianu (badanie nie jest obligatoryjne); 6) ocena parametrów życiowych; 7) pomiary antropometryczne; 8) elektroencefalografia EEG; 9) elektrokardiografia EKG; 10) echokardiografia; 11) USG jamy brzusznej; 12) badanie pulmonologiczne (wydolność oddechowa, spirometria); 13) badanie ortopedyczne, z oceną ruchomości stawów;
---	--	--

uniemożliwić poprawę stanu zdrowia świadczeniobiorcy; 5) okres ciąży lub karmienia piersią; 6) wystąpienie nadwrażliwości na lek lub substancję pomocniczą uniemożliwiające kontynuację leczenia; 7) brak współpracy lub nieprzestrzeganie zaleceń lekarskich, w tym zwłaszcza dotyczących okresowych badań kontrolnych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo leczenia ze strony świadczeniobiorcy lub jego prawnych opiekunów.		14) badanie narządu ruchu oraz funkcji motorycznych; 15) badanie psychologiczne z określeniem ilorazu inteligencji lub rozwoju psychoruchowego u młodszych dzieci; 16) test 3/6 minutowego marszu; 17) test SF36. 2.2. Badania wykonywane co 12 miesięcy: 1) RTG klatki piersiowej; 2) RTG kręgosłupa; 3) MRI OUN wskazane przede wszystkim w przypadku współistniejącego wodogłowia (w zależności od decyzji lekarza); 4) badanie audiometryczne; 5) badanie okulistyczne, z oceną dna oka; 6) diagnostyka zespołu cieśni nadgarstka (EMG). Przedłużenie leczenia następuje, co 6 miesięcy, decyzją Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrazadkowych, na podstawie nadesłanej karty monitorowania terapii. 3. 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 skuteczności terapii tj.: <i>wynik badania psychologicznego (określenie ilorazu inteligencji lub rozwoju psychoruchowego u młodszych dzieci)</i> oraz <i>wynik w teście 3/6 minutowego marszu</i>; 3) przekazywanie informacji sprawozdawczo-rozliczeniowych do NFZ: informacje przekazuje się do NFZ w formie papierowej lub w formie elektronicznej, zgodnie z wymaganiami opublikowanymi przez NFZ.
--	--	---