

Załącznik B.130.

LECZENIE CHORYCH Z DYSTROFIĄ MIĘŚNIOWĄ DUCHENNE’A SPOWODOWANĄ MUTACJĄ NONSENSOWNĄ W GENIE DYSTROFINY (ICD-10: G71.0)

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE	BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU
Kwalifikacji świadczeniobiorców do terapii dystrofii mięśniowej Duchenne’a spowodowanej mutacją nonsensowną w genie dystrofiny dokonuje Zespół Koordynujący do spraw leczenia chorych z dystrofią mięśniową Duchenne’a spowodowaną mutacją nonsensowną w genie dystrofiny powołany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia. 1. Kryteria kwalifikacji Do programu mogą być zakwalifikowani chodzący pacjenci w wieku od 2 lat i z masą ciała powyżej 12 kg z dystrofią mięśniową Duchenne’a spowodowaną przez mutację nonsensowną w genie dystrofiny (nmDMD). Pacjenci z DMD bez mutacji nonsensownej nie powinni otrzymywać atalurenu. Ponadto, do programu lekowego kwalifikują się pacjenci, którzy rozpoczęli leczenie atalurenem w ramach innego sposobu finansowania, pod warunkiem, że w chwili rozpoczęcia leczenia spełniali kryteria kwalifikacji do niniejszego programu lekowego.	1. Dawkowanie Ataluren stosowany jest doustnie trzy razy na dobę. Zalecane jest dawkowanie wg schematu: 1) rano – 10 mg/kg masy ciała, 2) w południe – 10 mg/kg masy ciała; 3) wieczorem – 20 mg/kg masy ciała – do łącznej dawki 40 mg/kg masy ciała na dobę. Sposób podawania atalurenu – zgodnie z aktualną na dzień wydania decyzji o objęciu refundacją Charakterystyką Produktu Leczniczego.	1. Badania przy kwalifikacji do leczenia 1) wynik badania genetycznego potwierdzający mutację nonsensowną genu dystrofiny; 2) kreatynina w surowicy, eGFR; 3) kinaza kreatynowa w surowicy (CPK); 4) azot mocznika we krwi; 5) cholesterol całkowity; 6) LDL; 7) HDL; 8) trójglicerydy. 2. Monitorowanie leczenia 1) Co 6 miesięcy: a) CPK, kreatynina w surowicy, azot mocznika we krwi (co 6 do 12 miesięcy), b) ciśnienie tętnicze skurczowe i rozkurczowe w spoczynku; 2) Co 12 miesięcy ponadto: a) cholesterol całkowity,

2. Określenie czasu leczenia w programie Leczenie trwa do momentu podjęcia przez lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia pkt.3 oraz z zastrzeżeniem zawartym w pkt.4. 3. Kryteria wyłączenia 1) rezygnacja pacjenta; 2) dyskwalifikacja z powodu działań niepożądanych; 3) jednoczesne stosowanie dożylnych aminoglikozydów; 4) trwała utrata zdolności do chodzenia (tj. utrzymująca się powyżej 6-ciu miesięcy). 4. Warunkowe (czasowe) wykluczenie z programu Jeżeli konieczne jest leczenie dożylne aminoglikozydami, należy przerwać leczenie atalurenem. Można je wznowić 2 dni po zakończeniu podawania aminoglikozydów. W przypadku, gdy świadczeniobiorca po zakończeniu podawania aminoglikozydów spełnia kryteria wyłączenia z programu, lekarz prowadzący podejmuje decyzję o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu.		b) LDL, c) HDL, d) trójglicerydy. 3. Monitorowanie programu 1) Gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawienie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia. 2) Uzupełnienie danych zawartych w elektronicznym systemie monitorowania programów lekowych (SMPT) dostępnym za pomocą aplikacji internetowej udostępnionej przez OW NFZ, z częstotliwością zgodną z opisem programu oraz na zakończenie leczenia. 3) Przekazywanie informacji sprawozdawczo-rozliczeniowej do NFZ: informacje przekazuje się do NFZ w formie papierowej lub w formie elektronicznej, zgodnie z wymaganiami opublikowanymi przez Narodowy Fundusz Zdrowia
---	--	--