

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 przeciwwskazanie 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) echokardiografia (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 rozpoczęciu leczenia.

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:

Warunkiem kwalifikacji do programu jest posiadanie dokumentacji medycznej wraz z badaniem genetycznym na 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) echokardiografia (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

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.		Friedreicha określa dla indywidualnego pacjenta wskaźniki odpowiedzi na leczenie, w tym: - 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.
--	--	--