

LECZENIE CHOROBY GAUCHER'A (ICD-10 E 75.2)**ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO**

ŚWIADCZENIOBIORCY	SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE	BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU
<p>Kwalifikacji chorych do terapii dokonuje Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrazadkowych powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia.</p> <p>Kwalifikacja do programu oraz weryfikacja skuteczności leczenia co 6 miesięcy odbywa się, w oparciu o ocenę stanu klinicznego świadczeniobiorcy oraz ocenę efektywności zastosowanej terapii.</p> <p>1. Kryteria kwalifikacji</p> <p>1) brak lub znaczny niedobór aktywności enzymu β-glukocerebrozydazy w leukocytach lub fibroblastach skóry, potwierdzony badaniem molekularnym.</p> <p>Refundowane jest leczenie świadczeniobiorców z typem I choroby oraz z typem III choroby.</p> <p>Nie jest refundowane leczenie świadczeniobiorców z asymptomatyczną (bezobjawową) postacią choroby Gauchera.</p> <p>2. Określenie czasu leczenia w programie</p> <p>Przedłużenie leczenia następuje co 6 miesięcy decyzją Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrazadkowych, na podstawie nadesłanej karty monitorowania terapii.</p> <p>Leczenie trwa do czasu podjęcia przez Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrazadkowych lub lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia.</p> <p>3. Kryteria wyłączenia</p> <p>1) wystąpienie objawów nadwrażliwości na imiglucerazę;</p> <p>2) znaczna progresja choroby pojawiająca się pomimo podjętego leczenia;</p>	<p>1. Dawkowanie</p> <p>Dawka imigluceraży zależy od ciężkości objawów i wynosi 15-60 U/kg m.c. podawanych co 14 \pm3 dni w postaci jednogodzinnych wlewów dożylnych.</p> <p>W przypadku braku efektywności zastosowanej dawki po 6 mies. terapii dawkę imigluceraży można zwiększyć do maksymalnej dawki, t.j. do 60 U/kg m.c. podawanych co 14 \pm3 dni (przed zwiększeniem dawki należy oznaczyć miano przeciwciał przeciw imiglucerażie).</p> <p>W przypadku zwiększenia dawki leku do 60 U/kg m.c., przy braku skuteczności leczenia, w takiej, maksymalnej dawce po 12 miesiącach terapii, lek należy odstawić, ponieważ wskazuje to, iż leczenie jest nieefektywne.</p>	<p>1. Badania przy kwalifikacji</p> <p>1) stwierdzenie braku lub znacznego niedoboru aktywności enzymu β-glukocerebrozydazy w leukocytach lub fibroblastach skóry, potwierdzone wynikiem badania molekularnego;</p> <p>2) ocena miana przeciwciał przeciwko imiglucerażie (badanie nieobligatoryjne);</p> <p>3) morfologia krwi pełna z rozmazem;</p> <p>4) układ krzepnięcia;</p> <p>5) próby wątrobowe: AlAT, AspAT;</p> <p>6) stężenie fosfatazy alkalicznej;</p> <p>7) stężenia witaminy D;</p> <p>8) chitotriozydaza;</p> <p>9) USG jamy brzusznej, z oceną wielkości (z podaniem wymiarów) wątroby i śledziony;</p> <p>10) pomiary antropometryczne;</p> <p>11) MRI OUN;</p> <p>12) Badanie densytometryczne kości (DEXA);</p> <p>13) MRI kości długich (badanie obligatoryjne jedynie u pacjentów z nieprawidłowościami układu kostno-stawowego lub w przypadku pojawienia się dolegliwości bólowych);</p> <p>14) badanie psychologiczne;</p> <p>15) konsultacja okulistyczna;</p> <p>16) EKG;</p> <p>17) USG układu sercowo-naczyniowego;</p> <p>18) konsultacja neurologiczna;</p> <p>19) konsultacja kardiologiczna (w uzasadnionych przypadkach);</p> <p>20) konsultacja ortopedyczna.</p>

<p>3) pacjenci z asymptomatyczną (bezobjawową) postacią choroby Gauchera;</p> <p>4) pacjenci z typem II choroby.</p>		<p>2. Monitorowanie leczenia</p> <p>2.1 Raz na 180 dni</p> <p>1) ocena miana przeciwciał przeciwko imiglucerazie -badanie nieobligatoryjne - zalecane przez Zespół Koordynacyjny, w przypadku braku efektywności dotychczasowego leczenia, szczególnie przy podaniu leku w maksymalnej dawce tj. 60U/kg m.c.;</p> <p>2) morfologia krwi pełna z rozmazem;</p> <p>3) układ krzepnięcia;</p> <p>4) próby wątrobowe: AlAT, AspAT;</p> <p>5) chitotriozydaza;</p> <p>6) USG jamy brzusznej, z oceną wielkości (z podaniem wymiarów) wątroby i śledziony;</p> <p>7) pomiary antropometryczne;</p> <p>8) konsultacja neurologiczna.</p> <p>Okresowej oceny skuteczności terapii dokonuje lekarz niezaangażowany w leczenie pacjenta z chorobą Gauchera.</p> <p>2.2 Co 365 dni</p> <p>1) Badanie densytometryczne kości (DEXA);</p> <p>2) MRI kości długich (badanie obligatoryjne jedynie u pacjentów z nieprawidłowościami układu kostno-stawowego lub w przypadku pojawienia się dolegliwości bólowych);</p> <p>3) MRI OUN-badanie obligatoryjne jedynie u pacjentów z podejrzeniem typu III choroby (z przewlekłą neuropatią);</p> <p>4) badanie psychologiczne,;</p> <p>5) konsultacja okulistyczna;</p> <p>6) EKG;</p> <p>7) USG układu sercowo-naczyniowego (w przypadku nieprawidłowości w układzie sercowo-naczyniowym w poprzednim badaniu);</p> <p>8) konsultacja kardiologiczna (w przypadku nieprawidłowości w układzie sercowo-naczyniowym w poprzednim badaniu);</p> <p>9) konsultacja ortopedyczna.</p>
--	--	--