

Załącznik B.24.

LECZENIE CHOROBY HURLER (ICD-10 E 76.0)

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE	BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU
<p>Kwalifikacji świadczeniobiorców do terapii dokonuje Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrazadkich 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>Brak lub głęboki niedobór aktywności enzymu α-L-iduronidaza w leukocytach lub fibroblastach skóry, potwierdzone badaniem molekularnym.</p> <p>2. Określenie czasu leczenia w programie</p> <p>Przedłużenie leczenia następuje co 6 miesięcy decyzją Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrazadkich, na podstawie nadesłanej karty monitorowania terapii. Leczenie trwa do czasu podjęcia przez Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrazadkich lub lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia.</p> <p>3. Kryteria wyłączenia</p> <ol style="list-style-type: none"> 1) ciąża lub laktacja; 2) wystąpienie objawów nadwrażliwości na laronidazę; 3) znaczna progresja choroby pomimo podjętego leczenia; 4) brak współpracy pacjenta przy realizacji programu. 	<p>1. Dawkowanie</p> <p>Zalecana dawka laronidazy wynosi 100 j./kg masy ciała, podawana raz w tygodniu, we wlewie dożylnym.</p> <p>Początkowa prędkość infuzji wynosi 2 j./kg m.c./h.</p> <p>Prędkość infuzji można stopniowo zwiększać, co 15 minut, przy dobrej tolerancji leku, aż do maksymalnej prędkości 43 j./kg m.c./h. Całkowitą objętość leku należy podać w okresie około 3-4 godzin.</p> <p>Podawanie leku powinno być nadzorowane przez lekarza posiadającego doświadczenie w diagnozowaniu i leczeniu pacjentów z mukopolisacharydozą typu I lub innych dziedzicznych zaburzeń metabolizmu. Z uwagi na możliwość występowania objawów niepożądanych, z wstrząsem włącznie, lek należy podawać przy bezpośrednim dostępie do leków, sprzętu i aparatury ratującej życie.</p>	<p>1. Badania przy kwalifikacji</p> <ol style="list-style-type: none"> 1) stwierdzenie braku lub głębokiego niedoboru aktywności α-L-iduronidazy w leukocytach lub fibroblastach skóry, potwierdzone badaniem molekularnym; 2) ocena wydalania glikozaminoglikanów z moczem; 3) ocena miana przeciwciał przeciwko α-L-iduronidazie (nie jest badaniem obligatoryjnym); 4) morfologia krwi, z rozmazem; 5) próby wątrobowe: AlAT, AspAT; 6) stężenie fosfatazy alkalicznej; 7) stężenie witamin B12, E, D; 8) stężenie cholesterolu; 9) ocena równowagi kwasowo-zasadowej; 10) USG jamy brzusznej, z oceną wątroby i śledziony; 11) MRI OUN, z oceną odcinka szyjnego kręgosłupa; 12) RTG kośćca, co najmniej RTG kręgosłupa; 13) badanie psychologiczne, z oceną ilorazu inteligencji; 14) pomiar ciśnienia tętniczego krwi; 15) EKG; 16) USG układu sercowo-naczyniowego; 17) konsultacja laryngologiczna; 18) badanie audiometryczne; 19) konsultacja ortopedyczna, z oceną ruchomości stawów; 20) EMG, do oceny występowania zespołu cieśni nadgarstka; 21) konsultacja neurologiczna; 22) konsultacja kardiologiczna; 23) test 3/6 minutowego marszu. <p>2. Monitorowanie leczenia</p>

		<p>2.1 Raz na 180 dni</p> <ol style="list-style-type: none">1) morfologia krwi, z rozmazem;2) próby wątrobowe: AlAT, AspAT;3) stężenie fosfatazy alkalicznej;4) ocena równowagi kwasowo-zasadowej;5) badanie okulistyczne, z oceną w lampie szczelinowej;6) badanie spirometryczne układu oddechowego;7) pomiary antropometryczne;8) pomiar ciśnienia tętniczego krwi;9) test 3/6 minutowego marszu. <p>Okresowej oceny skuteczności terapii dokonuje lekarz niezaangażowany w leczenie pacjentów z chorobą Hurler. Przedłużenie leczenia następuje, co 6 miesięcy, decyzją Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultraradkich, na podstawie nadesłanej karty monitorowania terapii.</p> <p>2.2 Co 365 dni</p> <ol style="list-style-type: none">1) ocena wydalania glikozaminoglikanów z moczem (po 6 miesiącach od wprowadzenia terapii, a następnie co 365 dni);2) ocena miana przeciwciał przeciwko α-L-iduronidazie (badanie obowiązkowe w przypadku decyzji o zwiększeniu dawki leku lub braku efektywności dotychczasowej dawki leku);3) stężenie witamin B12, E, D;4) stężenie cholesterolu;5) USG jamy brzusznej, z oceną wątroby i śledziony;6) MRI OUN, z oceną odcinka szyjnego kręgosłupa (MRI OUN w przypadku nieprawidłowości w poprzednim badaniu lub pojawienia się lub nasilenia objawów neurologicznych);7) RTG kośćca, co najmniej RTG kręgosłupa;8) badanie psychologiczne, z oceną ilorazu inteligencji;9) EKG;10) USG układu sercowo-naczyniowego (w przypadku nieprawidłowości w układzie sercowo-naczyniowym - konsultacja kardiologiczna - co 180 dni lub częściej);
--	--	------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------

		<p>11) konsultacja laryngologiczna; 12) badanie audiometryczne; 13) konsultacja ortopedyczna, z oceną ruchomości stawów; 14) EMG, do oceny występowania zespołu cieśni nadgarstka; 15) konsultacja neurologiczna; 16) konsultacja kardiologiczna.</p> <p>3. Monitorowanie programu</p> <p>1) gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia;</p> <p>2) uzupełnienie danych zawartych w rejestrze (SMPT) dostępnym za pomocą aplikacji internetowej udostępnionej przez OW NFZ, z częstotliwością zgodną z opisem programu oraz na zakończenie leczenia;</p> <p>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.</p>
--	--	-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------