

Załącznik B.20.

**LECZENIE NISKOROSŁYCH DZIECI Z CIĘŻKIM PIERWOTNYM NIEDOBREM IGF-1 (ICD-10 E 34.3)**

<b>ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO</b>		
<b>ŚWIADCZENIOBIORCY</b>	<b>SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE</b>	<b>BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU</b>
<p>Świadczeniobiorców do programu kwalifikuje, według standardów diagnozowania pacjentów z ciężkim pierwotnym niedoborem insulinopodobnego czynnika wzrostu-1, Zespół Koordynacyjny ds. Stosowania Hormonu Wzrostu powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia.</p> <p><b>1. Kryteria kwalifikacji</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) skrajna niskorosłość, tj. wysokość ciała poniżej -3 SD w odniesieniu do płci i wieku, na siatkach centylowych dla populacji dzieci polskich;</li> <li>2) stężenie IGF-1 poniżej -2,5 SDS w odniesieniu do płci i wieku;</li> <li>3) prawidłowe stężenie GH (w teście krótkiego nocnego wyrzutu tego hormonu - co najmniej 5 pomiarów stężeń hormonu wzrostu, w uzasadnionych przypadkach poszerzone o wykonanie dwóch testów stymulacji sekrecji tego hormonu);</li> <li>4) wykluczenie innych, aniżeli ciężki pierwotny niedobór IGF-1, przyczyn niskorosłości (niedokrwistość, choroby wątroby, niedoczynność tarczycy, zaburzenia wchłaniania i trawienia jelitowego, obciążenia dotyczące przebiegu ciąży i porodu, itp.);</li> <li>5) rozpoznanie ciężkiego pierwotnego niedoboru IGF-1 potwierdzone testem generacji somatomedyn;</li> <li>6) w przypadkach wątpliwych badania molekularne w kierunku rozpoznania mutacji w obrębie receptora hormonu wzrostu, mutacji genu kodującego syntezę IGF-1 lub promotora tego genu.</li> </ol>	<p><b>1. Dawkowanie</b></p> <p>Mecaserminum podawane jest w dawce 0,04 - 0,12 mg/kg masy ciała dwa razy na dobę.</p>	<p><b>1. Badania przy kwalifikacji</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) pomiar stężenia IGF-1;</li> <li>2) pomiar stężenia IGFBP<sub>3</sub>;</li> <li>3) pomiar stężenia glukozy we krwi;</li> <li>4) test obciążenia glukozą z pomiarem glikemii i insulinemii;</li> <li>5) pomiar odsetka glikowanej hemoglobiny HbA<sub>1c</sub>;</li> <li>6) pomiar stężenia TSH, pomiar stężenia fT<sub>4</sub>;</li> <li>7) jonogram surowicy krwi (co najmniej pomiar stężenia Na<sup>+</sup>);</li> <li>8) konsultacja laryngologiczna z audiogramem;</li> <li>9) konsultacja kardiologiczna z USG układu sercowo-naczyniowego;</li> <li>10) konsultacja okulistyczna (w zależności od potrzeb);</li> <li>11) RTG śródreżcza z bliższą przynasadą kości przedramienia (do oceny wieku kostnego);</li> <li>12) obrazowanie ośrodkowego układu nerwowego (TK z kontrastem lub MRI).</li> </ol> <p><b>2. Monitorowanie leczenia</b></p> <p><b>2.1 30 dni po rozpoczęciu leczenia</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) pomiar stężenia IGF-1;</li> <li>2) pomiar stężenia IGFBP<sub>3</sub>;</li> <li>3) pomiar stężenia glukozy we krwi;</li> <li>4) test obciążenia glukozą z pomiarem glikemii i insulinemii lub</li> <li>5) pomiar odsetka glikowanej hemoglobiny HbA<sub>1c</sub>.</li> </ol>

**2. Określenie czasu leczenia w programie**

Leczenie trwa do czasu podjęcia przez Zespół Koordynacyjny ds. Stosowania Hormonu Wzrostu lub lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia.

**3. Kryteria wyłączenia z programu lub czasowego zaprzestania terapii preparatem rhIGF-1**

- 1) nawracające, zagrażające życiu stany hipoglikemii;
- 2) złuszczenia głowy kości udowej;
- 3) pseudo-tumor cerebri;
- 4) ujawnienia lub wznowy choroby rozrostowej;
- 5) brak zgody pacjenta na kontynuację leczenia;
- 6) niezadawalający efekt leczenia, tj. przyrost wysokości ciała pacjenta leczonego za pomocą rhIGF-1 < 3 cm/rok;
- 7) osiągnięcie wieku kostnego:
  - a) powyżej 14 lat przez dziewczynkę,
  - b) powyżej 16 lat przez chłopca.

**2.2 Co 90 dni**

- 1) pomiar stężenia IGF-1;
- 2) pomiar stężenia IGFBP3;
- 3) pomiar stężenia glukozy we krwi.

**2.3 Co 180 dni**

- 1) pomiar stężenia TSH;
- 2) pomiar stężenia fT4;
- 3) jonogram surowicy krwi (co najmniej pomiar stężenia Na+);
- 4) pomiar odsetka glikowanej hemoglobiny HbA1c. lub co 365 dni
- 5) test obciążenia glukozą z pomiarem glikemii i insulinemii

**2.5 Co 365 dni**

- 1) konsultacja laryngologiczna z audiogramem;
- 2) konsultacja kardiologiczna z USG układu sercowo-naczyniowego;
- 3) RTG śródreczę z bliższą przynasadą kości przedramienia (do oceny wieku kostnego);
- 4) obrazowanie ośrodkowego układu nerwowego (TK z kontrastem lub MRI) - w zależności od potrzeb.

**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 rejestrze (SMPT) dostępnym za pomocą aplikacji internetowej udostępnionej przez OW NFZ, nie rzadziej niż co 3 miesiące oraz na zakończenie leczenia;
- 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.