

Załącznik B.24.

**LECZENIE CHOROBY HURLER (ICD-10 E 76.0)**

<b>ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO</b>		
<b>ŚWIADCZENIOBIORCY</b>	<b>SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE</b>	<b>BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU</b>
<p>Kwalifikacji świadczeniobiorców 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><b>1. Kryteria kwalifikacji</b></p> <p>Brak lub głęboki niedobór aktywności enzymu <math>\alpha</math>-L-iduronidaza w leukocytach lub fibroblastach skóry, potwierdzone badaniem molekularnym.</p> <p><b>2. Określenie czasu leczenia w programie</b></p> <p>Przedłużenie leczenia następuje co 6 miesięcy decyzją Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrazadkowych, na podstawie nadesłanej karty monitorowania terapii. 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><b>3. Kryteria wyłączenia</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) ciąża lub laktacja;</li> <li>2) wystąpienie objawów nadwrażliwości na laronidazę;</li> <li>3) znaczna progresja choroby pomimo podjętego leczenia;</li> <li>4) brak współpracy pacjenta przy realizacji programu.</li> </ol>	<p><b>1. Dawkowanie</b></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. 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 1 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><b>1. Badania przy kwalifikacji</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) stwierdzenie braku lub głębokiego niedoboru aktywności <math>\alpha</math>-L-iduronidazy w leukocytach lub fibroblastach skóry, potwierdzone badaniem molekularnym;</li> <li>2) ocena wydalania glikozaminoglikanów z moczem;</li> <li>3) ocena miana przeciwciał przeciwko <math>\alpha</math>-L-iduronidazie (nie jest badaniem obligatoryjnym);</li> <li>4) morfologia krwi, z rozmazem;</li> <li>5) próby wątrobowe: AlAT, AspAT;</li> <li>6) stężenie fosfatazy alkalicznej;</li> <li>7) stężenie witamin B12, E, D;</li> <li>8) stężenie cholesterolu;</li> <li>9) ocena równowagi kwasowo-zasadowej;</li> <li>10) USG jamy brzusznej, z oceną wątroby i śledziony;</li> <li>11) MRI OUN, z oceną odcinka szyjnego kręgosłupa;</li> <li>12) RTG kośćca, co najmniej RTG kręgosłupa;</li> <li>13) badanie psychologiczne, z oceną ilorazu inteligencji;</li> <li>14) pomiar ciśnienia tętniczego krwi;</li> <li>15) EKG;</li> <li>16) USG układu sercowo-naczyniowego;</li> <li>17) konsultacja laryngologiczna;</li> <li>18) badanie audiometryczne;</li> <li>19) konsultacja ortopedyczna, z oceną ruchomości stawów;</li> <li>20) EMG, do oceny występowania zespołu cieśni nadgarstka;</li> <li>21) konsultacja neurologiczna;</li> <li>22) konsultacja kardiologiczna;</li> <li>23) test 3/6 minutowego marszu.</li> </ol>

		<p><b>2. Monitorowanie leczenia</b></p> <p><b>2.1 Raz na 180 dni</b></p> <ol style="list-style-type: none"><li>1) morfologia krwi, z rozmazem;</li><li>2) próby wątrobowe: AlAT, AspAT;</li><li>3) stężenie fosfatazy alkalicznej;</li><li>4) ocena równowagi kwasowo-zasadowej;</li><li>5) badanie okulistyczne, z oceną w lampie szczelinowej;</li><li>6) badanie spirometryczne układu oddechowego;</li><li>7) pomiary antropometryczne;</li><li>8) pomiar ciśnienia tętniczego krwi;</li><li>9) test 3/6 minutowego marszu.</li></ol> <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 Ultraradzkich, na podstawie nadesłanej karty monitorowania terapii.</p> <p><b>2.2 Co 365 dni</b></p> <ol style="list-style-type: none"><li>1) ocena wydalania glikozaminoglikanów z moczem (po 6 miesiącach od wprowadzenia terapii, a następnie co 365 dni);</li><li>2) ocena miana przeciwciał przeciwko <math>\alpha</math>-L-iduronidazie (badanie obligatoryjne w przypadku decyzji o zwiększeniu dawki leku lub braku efektywności dotychczasowej dawki leku);</li><li>3) stężenie witamin B12, E, D;</li><li>4) stężenie cholesterolu;</li><li>5) USG jamy brzusznej, z oceną wątroby i śledziony;</li><li>6) MRI OUN, z oceną odcinka szyjnego kręgosłupa (MRI OUN w przypadku nieprawidłowości w poprzednim badaniu lub pojawienia się lub nasilenia objawów neurologicznych);</li><li>7) RTG kości, co najmniej RTG kręgosłupa;</li><li>8) badanie psychologiczne, z oceną ilorazu inteligencji;</li><li>9) EKG;</li><li>10) USG układu sercowo-naczyniowego (w przypadku</li></ol>
--	--	---

		<p>nieprawidłowości w układzie sercowo-naczyniowym - konsultacja kardiologiczna - co 180 dni lub częściej);</p> <p>11) konsultacja laryngologiczna;</p> <p>12) badanie audiometryczne;</p> <p>13) konsultacja ortopedyczna, z oceną ruchomości stawów;</p> <p>14) EMG, do oceny występowania zespołu cieśni nadgarstka;</p> <p>15) konsultacja neurologiczna;</p> <p>16) konsultacja kardiologiczna.</p> <p><b>3. Monitorowanie programu</b></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>
--	--	--