

**LECZENIE MUKOPOLISACHARYDOZY TYPU II (ZESPÓŁ HUNTERA) (ICD-10 E 76.1)**

<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 Ultrazadkich powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia.</p> <p>Kwalifikacja do programu oraz weryfikacja skuteczności leczenia odbywa się w oparciu o ocenę stanu klinicznego świadczeniobiorcy oraz ocenę efektywności zastosowanej terapii.</p> <p><b>1. Kryteria kwalifikacji</b></p> <p>a) mukopolisacharydoza typu II zdiagnozowana na podstawie udokumentowanego, znacznego deficytu aktywności enzymu sulfatazy iduronianu w surowicy lub leukocytach krwi obwodowej lub w fibroblastach skóry;</p> <p>b) wiek chorego powyżej ukończonego 5 roku życia.</p> <p><b>2. Określenie czasu leczenia w programie</b></p> <p>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><b>3. Kryteria wyłączenia</b></p> <p>1) ciąża lub laktacja;</p> <p>2) obecność poważnych wrodzonych anomalii rozwojowych lub chorób współistniejących, które w ocenie lekarza kwalifikującego do leczenia lub Zespołu Koordynacyjnego</p>	<p><b>1. Dawkowanie</b></p> <p>Sulfataza iduronianu podawana jest w dawce 0,5 mg/kg masy ciała, co tydzień, w postaci dożylnego wlewu, trwającego ok. 3 godzin, który może być stopniowo skrącany do 1 godziny, jeśli nie występują reakcje niepożądane związane z jego podaniem.</p>	<p><b>1. Badania przy kwalifikacji</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) morfologia krwi z rozmazem;</li> <li>2) układ krzepnięcia;</li> <li>3) proteinogram;</li> <li>4) gazometria;</li> <li>5) AspAT, AlAT, CK, bilirubina;</li> <li>6) cholesterol;</li> <li>7) witamina D i K;</li> <li>8) wydalanie mukopolisacharydów z moczem;</li> <li>9) poziom przeciwciał przeciwko sulfatazie iduronianu (badanie nie jest obligatoryjne);</li> <li>10) parametry życiowe;</li> <li>11) pomiary antropometryczne;</li> <li>12) EEG;</li> <li>13) EKG;</li> <li>14) echokardiografia;</li> <li>15) RTG klatki piersiowej;</li> <li>16) USG jamy brzusznej;</li> <li>17) MRI OUN z uwzględnieniem odcinka szyjnego kręgosłupa;</li> <li>18) RTG kręgosłupa;</li> <li>19) diagnostyka zespołu cieśni nadgarstka (EMG);</li> <li>20) badanie pulmonologiczne (wydolność oddechowa, spirometria);</li> <li>21) badanie audiometryczne;</li> <li>22) badanie ortopedyczne, z oceną ruchliwości stawów</li> </ol>

<p>ds. Chorób Ultrazadkich, mogą uniemożliwić poprawę stanu zdrowia;</p> <p>3) znaczna progresja choroby pomimo leczenia.</p>		<p>23) badanie okulistyczne;</p> <p>24) badanie psychologiczne z określeniem ilorazu inteligencji lub rozwoju psychoruchowego u młodszych dzieci;</p> <p>25) badanie narządu ruchu oraz funkcji motorycznych;</p> <p>26) test 3/6 minutowego marszu;</p> <p>27) test SF36.</p> <p><b>2. Monitorowanie leczenia</b></p> <p><b>2.1</b> W pierwszym roku leczenia wykonywanie badań powinno być przeprowadzone co 6 miesięcy</p> <p>1) morfologia krwi z rozmazem;</p> <p>2) układ krzepnięcia;</p> <p>3) gazometria;</p> <p>4) CK;</p> <p>5) AspAT, AlAT, bilirubina;</p> <p>6) wydalanie mukopolisacharydów z moczem;</p> <p>7) poziom przeciwciał przeciwko sulfatazie iduronianu (badanie nie jest obligatoryjne);</p> <p>8) ocena parametrów życiowych;</p> <p>9) pomiary antropometryczne;</p> <p>10) EKG;</p> <p>11) echokardiografia;</p> <p>12) EEG;</p> <p>13) USG jamy brzusznej;</p> <p>14) badanie pulmonologiczne (wydolność oddechowa, spirometria);</p> <p>15) badanie ortopedyczne, z oceną ruchliwości stawów;</p> <p>16) badanie narządu ruchu oraz funkcji motorycznych;</p> <p>17) badanie psychologiczne z określeniem ilorazu inteligencji lub rozwoju psychoruchowego u młodszych dzieci;</p> <p>18) test 3/6 minutowego marszu;</p> <p>19) test SF36.</p> <p>Okresowej oceny skuteczności terapii dokonuje lekarz</p>
---	--	---

		<p>niezaangażowany w leczenie pacjentów z chorobą Hunter. Przedłużenie leczenia następuje, co 6 miesięcy, decyzją Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrazadkich, na podstawie nadesłanej karty monitorowania terapii.</p> <p><b>2.2 Co 365 dni</b></p> <ol style="list-style-type: none"><li>1) cholesterol;</li><li>2) witaminy D i K;</li><li>3) RTG klatki piersiowej;</li><li>4) RTG kręgosłupa;</li><li>5) MRI OUN wskazane przede wszystkim w przypadku współistniejącego wodogłowia (w zależności od decyzji lekarza);</li><li>6) badanie audiometryczne;</li><li>7) badanie okulistyczne, z oceną dna oka;</li><li>8) diagnostyka zespołu cieśni nadgarstka (EMG).</li></ol> <p><b>3. Monitorowanie programu</b></p> <ol style="list-style-type: none"><li>1) gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia;</li><li>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;</li><li>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.</li></ol>
--	--	---