

Załącznik B.60.

LECZENIE CHOROBY GAUCHER'A TYPU I (ICD-10 E 75.2)

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE	BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU
<p>Świadczeniobiorców do leczenia kwalifikuje Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrazadkich powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia.</p> <p>Kwalifikacja do programu oraz weryfikacja skuteczności leczenia odbywa się co 6 miesięcy, w oparciu o ocenę stanu klinicznego świadczeniobiorcy oraz ocenę efektywności zastosowanej terapii.</p> <p>1. Kryteria kwalifikacji do leczenia welaglucerażą alfa: Do programu kwalifikowani są świadczeniobiorcy ze stwierdzonym brakiem lub znacznym niedoborem aktywności enzymu β-glukocerebrozydazy w leukocytach lub fibroblastach skóry, potwierdzonym badaniem molekularnym. Refundowane jest leczenie świadczeniobiorców z typem I choroby. Nie jest refundowane leczenie świadczeniobiorców z asymptomatyczną (bezobjawową) postacią choroby Gaucher'a.</p> <p>2. Określenie czasu leczenia w programie w przypadku leczenia welaglucerażą alfa 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>1. Dawkowanie welagluceraży alfa: Zalecana dawka leku wynosi 60 jednostek/kg i jest podawana co 14 ± 3 dni. Dawka leku może być zmodyfikowana od 15 do 60 jednostek/kg podawane co 14 ± 3 dni indywidualnie dla każdego pacjenta w oparciu o osiągnięte i utrzymane cele terapeutyczne. Maksymalna dawka leku wynosi 60 jednostek/kg podawana co 14 ± 3 dni.</p> <p>Świadczeniobiorcy aktualnie leczeni w związku z chorobą Gaucher'a typu I za pomocą enzymatycznej terapii zastępczej z zastosowaniem imigluceraży, mogą przejść na terapię welaglucerażą alfa stosując taką samą dawkę i taką samą częstość dawkowania.</p>	<p>1. Badania przy kwalifikacji do leczenia welaglucerażą alfa:</p> <ol style="list-style-type: none">1) Stwierdzenie braku lub znacznego niedoboru aktywności enzymu β-glukocerebrozydazy w leukocytach lub fibroblastach skóry, potwierdzone badaniem molekularnym;2) Ocena miana przeciwciał przeciwko welaglucerażie alfa (nie jest badaniem obligatoryjnym);3) Morfologia krwi pełna, z rozmazem;4) Układ krzepnięcia;5) Próby wątrobowe: ALAT, AspAT, bilirubina;6) Stężenie fosfatazy alkalicznej;7) Stężenie witamin B₁₂, E, D;8) Stężenie cholesterolu;9) Chitotriozydaza;10) USG jamy brzusznej, z oceną wielkości (z podaniem wymiarów) wątroby i śledziony;11) EKG;12) RTG płuc;13) Pomiary antropometryczne;14) Badanie densytometryczne kości (DXA) lub MRI kości długich;15) Ocena jakości życia SF 36;16) Konsultacja ortopedyczna;17) Konsultacja kardiologiczna. <p>2. Monitorowanie leczenia welaglucerażą alfa</p> <p>2.1. Raz na 180 dni</p> <ol style="list-style-type: none">1) Ocena miana przeciwciał przeciwko welaglucerażie alfa (nie jest badaniem obligatoryjnym; decyzja o konieczności wykonania badania podejmowana jest przez Zespół

3. Kryteria wyłączenia w przypadku leczenia welaglucerażą alfa:

- 1) Wystąpienie objawów nadwrażliwości na welaglucerażą alfa;
- 2) Znaczna progresja choroby pojawiająca się pomimo podjętego leczenia;
- 3) Pacjenci z asymptomatyczną (bezobjawową) postacią choroby Gaucher'a;
- 4) Pacjenci z typem II i III choroby;
- 5) Dzieci poniżej 2 roku życia;
- 6) Brak współpracy pacjenta przy realizacji programu.

Koordinacyjny ds. Chorób Ultrazadkowych);

- 2) Morfologia krwi pełna, z rozmazem;
- 3) Układ krzepnięcia.

Okresowej oceny skuteczności terapii dokonuje lekarz niezaangażowany w leczenie świadczeniobiorców z chorobą Gaucher'a.

2.2. Co 365 dni

- 1) Chitotriozydaza;
- 2) USG jamy brzusznej, z oceną wielkości (z podaniem wymiarów) wątroby i śledziony;
- 3) EKG;
- 4) RTG płuc;
- 5) Pomiary antropometryczne (u dzieci do zakończenia fazy wzrostu);
- 6) Badanie densytometryczne kości (DXA) lub MRI kości długich;
- 7) Ocena jakości życia SF 36 (opcjonalnie);
- 8) Konsultacja ortopedyczna (opcjonalnie);
- 9) Konsultacja kardiologiczna (opcjonalnie).

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, z częstotliwością zgodną z opisem programu 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.