

Załącznik B.81.

## LECZENIE MIELOFIBROZY PIERWOTNEJ ORAZ MIELOFIBROZY WTÓRNEJ W PRZEBIEGU CZERWIENICY PRAWDZIWEJ I NADPŁYTKOWOŚCI SAMOISTNEJ, ICD-10 D47.1

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE	BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU
<p>Leczenie powiększenia śledziony związanego z chorobą lub objawów występujących u dorosłych pacjentów z pierwotnym włóknieniem szpiku (znanym zarówno jako przewlekłe idiopatyczne włóknienie szpiku), włóknieniem szpiku poprzedzonym czerwienicą prawdziwą lub włóknieniem szpiku poprzedzonym nadpłytkowością samoistną.</p> <p><b>1. Kryteria kwalifikacji</b></p> <p>1.1 Rozpoznanie:</p> <p>a) pierwotnej mielofibrozy (PMF) lub b) mielofibrozy w przebiegu czerwienicy prawdziwej (Post-PV MF) lub c) mielofibrozy w przebiegu nadpłytkowości samoistnej (Post-ET MF) – zgodnie z kryteriami Światowej Organizacji Zdrowia z roku 2008 oraz IWGMRT (do rozpoznania wymagany jest wynik badania morfologii krwi obwodowej z rozmazem ocenionym mikroskopowo oraz wynik trepanobiopsji szpiku);</p> <p>1.2 Pacjenci z grupy ryzyka:</p> <p>a) pośredniego – 2 lub b) wysokiego – wg IPSS (ang. International Prognostic Scoring System);</p> <p>1.3 Splenomegalia (powiększenie śledziony <math>\geq 5</math> cm poniżej lewego łuku żebrowego) w badaniu palpacyjnym oraz w badaniu ultrasonograficznym;</p>	<p><b>1. Dawkowanie ruksolitynibu:</b></p> <p>Dawkowanie leku odbywa się zgodnie z zasadami określonymi w Charakterystyce Produktu Leczniczego.</p>	<p><b>1. Badania przy kwalifikacji do leczenia ruksolitynibem</b></p> <p>1.1 Badanie podmiotowe i przedmiotowe ze szczególnym uwzględnieniem:</p> <p>a) oceny wielkości śledziony, b) masy ciała, c) objawów ogólnych ocenianych przy użyciu formularza MPN-SAF TSS:</p> <ul style="list-style-type: none"><li>– poty nocne (<math>\geq 4</math> pkt),</li><li>– utrata masy ciała (<math>&gt;10\%</math> w okresie ostatnich 6 miesięcy) (<math>\geq 4</math> pkt),</li><li>– gorączka o nieznannej etiologii (<math>&gt;37,5^{\circ}\text{C}</math>) (<math>\geq 4</math> pkt),</li><li>– bóle kostne (<math>\geq 4</math> pkt),</li><li>– świąd (<math>\geq 4</math> pkt),</li><li>– zmęczenie (<math>\geq 4</math> pkt);</li></ul> <p>1.2 Morfologia krwi z rozmazem ocenionym mikroskopowo;</p> <p>1.3 Aktywność transaminaz wątrobowych;</p> <p>1.4 Stężenie bilirubiny;</p> <p>1.5 Stężenie kreatyniny w surowicy; trepanobiopsja szpiku, jeżeli nie była wykonana w okresie 6 miesięcy przed kwalifikacją;</p> <p>1.6 USG jamy brzusznej z oceną wymiarów śledziony.</p>

1.4 Pacjenci z liczbą płytek krwi > 50 tysięcy/ $\mu$ l;

1.5 Wystąpienie, co najmniej 2 z 6 poniżej wymienionych objawów ogólnych ocenianych w skali MPN-SAF TSS:

- a) poty nocne ( $\geq 4$  pkt),
- b) utrata masy ciała (>10% w okresie ostatnich 6 miesięcy) ( $\geq 4$  pkt),
- c) gorączka o nieznannej etiologii (>37,5°C) ( $\geq 4$  pkt),
- d) bóle kostne ( $\geq 4$  pkt),
- e) świąd ( $\geq 4$  pkt),
- f) zmęczenie ( $\geq 4$  pkt);

1.6 Wiek, 18 lat i więcej;

1.7 Stan sprawności:

- a) od 0 do 2, oceniany wg. Eastern Cooperative Oncology Group lub
- b) od 1- 2 wg WHO

– w momencie włączenia do programu;

1.8 Brak wcześniejszej splenektomii;

1.9 Pacjenci bez współistniejących ciężkich chorób systemowych w zakresie układu sercowo-naczyniowego, nerek, wątroby – upośledzających istotnie stan ogólny pacjenta oraz ciężkich zakażeń bakteryjnych, wirusowych i grzybiczych;

1.10 Adekwatna wydolność narządowa określona na podstawie badań laboratoryjnych krwi:

- a) wyniki badań czynności wątroby:
  - stężenie bilirubiny całkowitej nieprzekraczające 2- krotnie górnej granicy normy (z wyjątkiem pacjentów z zespołem Gilberta),
  - aktywność transaminaz (alaninowej i asparaginowej)

## 2. Monitorowanie leczenia ruksolitynibem:

2.1. Badanie podmiotowe i przedmiotowe ze szczególnym uwzględnieniem:

- a) oceny wielkości śledziony,
- b) masy ciała,
- c) objawów ogólnych ocenianych przy użyciu formularza MPN-SAF TSS:
  - poty nocne ( $\geq 4$  pkt),
  - utrata masy ciała (>10% w okresie ostatnich 6 miesięcy) ( $\geq 4$  pkt),
  - gorączka o nieznannej etiologii (>37,5°C) ( $\geq 4$  pkt),
  - bóle kostne ( $\geq 4$  pkt),
  - świąd ( $\geq 4$  pkt),
  - zmęczenie ( $\geq 4$  pkt);

2.2. Morfologia krwi;

2.3. Aktywność transaminaz wątrobowych;

2.4. Stężenie bilirubiny;

2.5. Stężenie kreatyniny w surowicy;

2.6. USG jamy brzusznej z oceną wymiarów śledziony.

Częstość wykonywania badań:

- 1) morfologia krwi i parametry biochemiczne:
  - a) co 2-4 tygodnie – do czasu ustabilizowania dawki ruksolitynibu, a następnie w zależności od wskazań klinicznych oraz zgodnie z zasadami określonymi w ChPL;
  - b) co 1-2 tygodnie przez 6 tygodni lub do czasu ustabilizowania funkcji wątroby – u pacjentów z niewydolnością wątroby;
- 2) wszystkie badania kontrolne:

<p>w surowicy nieprzekraczające 2,5-krotnie górnej granicy normy,</p> <p>b) stężenie kreatyniny nieprzekraczające 2-krotnie górnej granicy normy.</p> <p>Kryteria kwalifikacji muszą być spełnione łącznie.</p> <p>Ponadto do programu lekowego, w celu zapewnienia kontynuacji terapii, są kwalifikowani pacjenci uprzednio leczeni ruksolitynibem w ramach innego sposobu finansowania terapii:</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) u których uzyskano zmniejszenie długości śledziony i rzeczywistą poprawę w odniesieniu do <math>\geq 1</math> z 6 objawów związanych z chorobą wymienionych w kryteriach kwalifikacji do programu w pkt 1.5 albo</li> <li>2) którzy spełnili wszystkie kryteria kwalifikacji na dzień rozpoczęcia leczenia i byli monitorowani zgodnie z wymogami zawartymi w programie lekowym w okresie od 1 stycznia 2017 r. do czasu zakontraktowania programu przez NFZ.</li> </ol> <p><b>2. Kryteria wyłączenia</b></p> <p>2.1 Brak lub utrata odpowiedzi po leczeniu rozumiane jako:</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>a) brak jakiegokolwiek zmniejszenia w badaniu przedmiotowym powiększonej w momencie kwalifikacji śledziony – po 3 miesiącach leczenia,</li> <li>b) brak zmniejszenia w badaniu USG powiększonej w momencie kwalifikacji śledziony, o co najmniej 50 % długości jej wyjściowego powiększenia (powyżej normy w danym ośrodku) – po 6 miesiącach leczenia lub</li> <li>c) pojawienie się nowych lub nasilenie wyjściowych objawów ogólnych związanych z chorobą, wymienionych w kryteriach kwalifikacji do programu, ocenianych w skali MPN-SAF TSS – po: <ul style="list-style-type: none"> <li>– 3 miesiącach leczenia lub</li> <li>– 6 miesiącach leczenia lub</li> <li>– każdych kolejnych 6 miesiącach leczenia;</li> </ul> </li> </ol>		<ol style="list-style-type: none"> <li>a) po 3 miesiącach leczenia, następnie</li> <li>b) po 6 miesiącach leczenia, następnie</li> <li>c) nie rzadziej niż po każdych kolejnych 6 miesiącach leczenia.</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 przedstawienie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia;</li> <li>2) uzupełnianie 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>
--	--	---

2.2 Nieakceptowalna toksyczność, nieustępująca pomimo redukcji dawki leku i przerw w leczeniu według zasad określonych w Charakterystyce Produktu Leczniczego;

2.3 Transformacja w ostrą białaczkę;

2.4 Utrata uzyskanej odpowiedzi na terapię po każdym 6 miesiącach leczenia.

**3. Określenie czasu leczenia w programie:**

Leczenie trwa do czasu podjęcia przez lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia.