

Załącznik B.95.

LECZENIE ATYPOWEGO ZESPOŁU HEMOLITYCZNO-MOCZNICOWEGO (aHUS) (ICD-10 D 59.3)

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO

ŚWIADCZENIOBIORCY	Schemat dawkowania	Badania diagnostyczne wykonywane w ramach programu
<p>1. Kryteria włączenia</p> <p>Podczas pierwszej kwalifikacji do programu oraz gdy jest to wskazane w opisie programu, udział pacjenta w programie wymaga uzyskania akceptacji za pośrednictwem aplikacji SMPT przez Zespół Koordynacyjny do Spraw Leczenia Atypowego Zespołu Hemolityczno-mocznicowego, powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia. Do czasu aktualizacji aplikacji SMPT, dopuszcza się udział pacjenta w programie na podstawie akceptacji Zespołu Koordynacyjnego do Spraw Leczenia atypowego zespołu hemolityczno-mocznicowego, uzyskanej w inny sposób niż za pośrednictwem aplikacji SMPT. Ponadto, gdy jest to zaznaczone w opisie programu, udział pacjenta może wymagać uzyskania indywidualnej zgody Zespołu, o którym mowa powyżej.</p> <p>Do leczenia ekulizumabem kwalifikowani są pacjenci z atypowym zespołem hemolityczno-mocznicowym:</p> <ol style="list-style-type: none">1) pacjenci z aHUS z następującymi objawami mikroangiopatii zakrzepowej:<ol style="list-style-type: none">a) trombocytopenia oraz hemoliza: liczba płytek $<150 \times 10^9/L$ lub $\geq 25\%$ spadek w stosunku do stanu wyjściowego i podwyższone stężenie LDH lub rozpad krwinek czerwonych (obecność schistocytów) lub niskie stężenie haptoglobiny lub anemia hemolitycznalubb) biopsja tkankowa potwierdzająca mikroangiopatię zakrzepową	<p>1. Dawkowanie</p> <p>Dawkowanie preparatu ekulizumab zgodnie z aktualną Charakterystyką Produktu Leczniczego.</p>	<p>1. Badania przy kwalifikacji:</p> <ol style="list-style-type: none">1) aktywność ADAMTS13;2) badanie STEC (PCR lub hodowla bakteryjna);3) wykonanie badania potwierdzającego lub wykluczającego ciążę (u kobiet w wieku rozrodczym);4) dehydrogenaza mleczanowa całkowita (LDH);5) stężenie haptoglobiny (Hp) lub schistocyty;6) morfologia krwi z rozmazem;7) Test Coombsa;8) aminotransferaza asparaginowa (AspAT);9) aminotransferaza alaninowa (AlAT);10) bilirubina całkowita;11) bilirubina frakcje;12) fosfataza alkaliczna;13) badanie ogólne moczu;14) stężenie kreatyniny;15) stężenie mocznika;16) stężenie kwasu moczowego;17) w przypadku występowania u pacjentów:<ol style="list-style-type: none">a) objawów neurologicznych <p>- rezonans magnetyczny z angiografią</p> <p>lub</p>

<p>oraz</p> <p>c) związane z mikroangiopatią zakrzepową uszkodzenie narządów:</p> <ul style="list-style-type: none"> - zaburzenia czynności nerek potwierdzone poziomem kreatyniny w surowicy >górna granica normy dla wieku lub hemodializa lub proteinuria lub albuminuria lub - powikłania pozanerkowe wywołane mikroangiopatią tkankową, takie jak: <ul style="list-style-type: none"> powikłania sercowo-naczyniowe, neurologiczne, żołądkowo-jelitowe lub płucne <p>lub</p> <p>2) pacjenci z aHUS, u których stosowana jest plazmafereza/przetoczenie osocza;</p> <p>3) pacjenci z aHUS zakwalifikowani do przeszczepu nerki;</p> <p>4) u ww. grup pacjentów z aHUS wymagane są wyniki badań:</p> <ul style="list-style-type: none"> a) aktywność ADAMTS-13 >5%, b) negatywny wynik badania STEC (Shiga-Toxin Escherichia coli) w teście (PCR) lub hodowli bakteryjnej; <p>5) w przypadku kobiet w wieku rozrodczym wymagana jest zgoda na świadomą kontrolę urodzeń w czasie leczenia i w ciągu 5 miesięcy od zastosowania ostatniej dawki ekulizumabu;</p> <p>6) wykonanie obowiązkowego szczepienia przeciw meningokokom, w przypadku konieczności wdrożenia leczenia przed upływem 2 tygodni</p>		<ul style="list-style-type: none"> - tomografia komputerowa ośrodkowego układu nerwowego; <p>b) objawów ze strony układu pokarmowego</p> <ul style="list-style-type: none"> - amylaza, - lipaza, - usg jamy brzusznej; <p>c) objawów ze strony układu sercowo-naczyniowego:</p> <ul style="list-style-type: none"> - troponina T lub troponina I, lub - EKG lub - echo serca lub - cewnikowanie serca; <p>18) przeciwciała przeciw czynnikowi H (anty CFH) – leczenie można wdrożyć w trakcie oczekiwania na wynik badania;</p> <p>19) oznaczenie stężenia białek układu dopełniacza w surowicy i najczęstszych mutacji genetycznych - leczenie można wdrożyć w trakcie oczekiwania na wynik badania.</p> <p>2. Monitorowanie leczenia</p> <p>1) W czasie leczenia początkowego (tj. przez pierwsze</p>
-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------	--	-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------

po wykonaniu szczepienia przeciw meningokokom - profilaktyka antybiotykowa.

2. Określenie czasu leczenia w programie

- 1) Kryteria kwalifikacji i wyłączenia z programu określają czas leczenia w programie.
- 2) Zespół koordynacyjny ds. Leczenia Atykowego Zespołu Hemolityczno-mocznicowego podejmuje decyzje o możliwości czasowego przerwania profilaktycznego leczenia ekulizumabem po 6 miesiącach leczenia u chorych z niższym ryzykiem nawrotu choroby, u których uzyskano remisję objawów i powrót prawidłowej funkcji narządów wewnętrznych.
- 3) Chorzy, u których konieczne jest ponowne włączenie leczenia po decyzji Zespołu koordynacyjnego ds. Leczenia Atykowego Zespołu Hemolityczno-mocznicowego będą włączani do programu bez konieczności ponownej kwalifikacji.

3. Kryteria wyłączenia

- 1) ciąża – jeśli dalsze leczenie nie jest bezwzględnie konieczne;
- 2) karmienie piersią;
- 3) wystąpienie ciężkich działań niepożądanych związanych z lekiem;
- 4) nadwrażliwość na ekulizumab, białka mysie lub substancje pomocnicze;
- 5) niestosowanie się pacjenta do zaleceń lekarskich;
- 6) wycofanie przez pacjenta zgody na leczenie.

4 tygodnie) monitorowanie leczenia obejmuje wykonywanie raz w tygodniu badań wyszczególnionych jako pozycje 4 - 17 w części badania przy kwalifikacji. Badanie wyszczególnione jako pozycja 18 – do decyzji lekarza prowadzącego.

- 2) Począwszy od 5 tygodnia monitorowanie leczenia opisane w pkt 1 odbywa się co 2 tygodnie.
- 3) Po upływie 3 miesięcy monitorowanie leczenia opisane w pkt 1 odbywa się raz w miesiącu.
- 4) Po upływie 1 roku leczenia monitorowanie leczenia opisane w pkt 1 odbywa się raz na 3 miesiące.

3. Monitorowanie programu

- 1) gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolera 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.