

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

<b>ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO</b>		
<b>ŚWIADCZENIOBIORCY</b>	<b>SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE</b>	<b>BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU</b>
<p>Świadczenioborców do leczenia kwalifikuje Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultraradkich 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><b>1. Kryteria kwalifikacji do leczenia welaglucerażą alfa:</b> Do programu kwalifikowani są świadczeniobiorcy ze stwierdzonym brakiem lub znacznym niedoborem aktywności enzymu <math>\beta</math>-glukocerebrozydazy w leukocytach lub fibroblastach skóry, potwierdzonym badaniem molekularnym. Refundowane jest leczenie świadczenioborców z typem I choroby. Nie jest refundowane leczenie świadczenioborców z asymptomatyczną (bezobjawową) postacią choroby Gaucher'a.</p> <p><b>2. Określenie czasu leczenia w programie w przypadku leczenia welaglucerażą alfa</b> Przedłużenie leczenia następuje co 6 miesięcy decyzją Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultraradkich, na podstawie nadesłanej karty monitorowania terapii. Leczenie trwa do czasu podjęcia przez Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultraradkich lub lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia.</p>	<p><b>1. Dawkowanie welagluceraży alfa:</b> Zalecana dawka leku wynosi 60 jednostek/kg i jest podawana co <math>14 \pm 3</math> dni. Dawka leku może być zmodyfikowana od 15 do 60 jednostek/kg podawane co <math>14 \pm 3</math> dni indywidualnie dla każdego pacjenta w oparciu o osiągnięte i utrzymane cele terapeutyczne. Maksymalna dawka leku wynosi 60 jednostek/kg podawana co <math>14 \pm 3</math> dni. 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><b>1. Badania przy kwalifikacji do leczenia welaglucerażą alfa:</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) Stwierdzenie braku lub znacznego niedoboru aktywności enzymu <math>\beta</math>-glukocerebrozydazy w leukocytach lub fibroblastach skóry, potwierdzone badaniem molekularnym;</li> <li>2) Ocena miana przeciwciał przeciwko welaglucerażie alfa (nie jest badaniem obligatoryjnym);</li> <li>3) Morfologia krwi pełna, z rozmazem;</li> <li>4) Układ krzepnięcia;</li> <li>5) Próby wątrobowe: ALAT, AspAT, bilirubina;</li> <li>6) Stężenie fosfatazy alkalicznej;</li> <li>7) Stężenie witamin B<sub>12</sub>, E, D;</li> <li>8) Stężenie cholesterolu;</li> <li>9) Chitotriozydaza;</li> <li>10) USG jamy brzusznej, z oceną wielkości (z podaniem wymiarów) wątroby i śledziony;</li> <li>11) EKG;</li> <li>12) RTG płuc;</li> <li>13) Pomiary antropometryczne;</li> <li>14) Badanie densytometryczne kości (DXA) lub MRI kości długich;</li> <li>15) Ocena jakości życia SF 36;</li> <li>16) Konsultacja ortopedyczna;</li> <li>17) Konsultacja kardiologiczna.</li> </ol> <p><b>2. Monitorowanie leczenia welaglucerażą alfa</b></p> <p><b>2.1. Raz na 180 dni</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) Ocena miana przeciwciał przeciwko welaglucerażie alfa (nie jest badaniem obligatoryjnym; decyzja o konieczności wykonania badania podejmowana jest przez Zespół</li> </ol>

<p><b>3. Kryteria wyłączenia w przypadku leczenia welaglucerażą alfa:</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) Wystąpienie objawów nadwrażliwości na welaglucerażę alfa;</li> <li>2) Znaczna progresja choroby pojawiająca się pomimo podjętego leczenia;</li> <li>3) Pacjenci z asymptomatyczną (bezobjawową) postacią choroby Gaucher'a;</li> <li>4) Pacjenci z typem II i III choroby;</li> <li>5) Dzieci poniżej 2 roku życia;</li> <li>6) Brak współpracy pacjenta przy realizacji programu.</li> </ol>		<p>Koordynacyjny ds. Chorób Ultrazadkowych);</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>2) Morfologia krwi pełna, z rozmazem;</li> <li>3) Układ krzepnięcia.</li> </ol> <p>Okresowej oceny skuteczności terapii dokonuje lekarz niezaangażowany w leczenie świadczeniobiorców z chorobą Gaucher'a.</p> <p><b>2.2. Co 365 dni</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) Chitotriozydaza;</li> <li>2) USG jamy brzusznej, z oceną wielkości (z podaniem wymiarów) wątroby i śledziony;</li> <li>3) EKG;</li> <li>4) RTG płuc;</li> <li>5) Pomiary antropometryczne (u dzieci do zakończenia fazy wzrostu);</li> <li>6) Badanie densytometryczne kości (DXA) lub MRI kości długich;</li> <li>7) Ocena jakości życia SF 36 (opcjonalnie);</li> <li>8) Konsultacja ortopedyczna (opcjonalnie);</li> <li>9) Konsultacja kardiologiczna (opcjonalnie).</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>
---	--	---