

Załącznik B.78.

**LECZENIE PIERWOTNYCH NIEDOBORÓW ODPORNOŚCI (PNO) U PACJENTÓW DOROSŁYCH (ICD-10: D 80 w tym D 80.0, D 80.1, D 80.3, D 80.4, D 80.5, D 80.6, D 80.8, D 80.9; D81.9; D 82 w tym: D 82.0, D 82.1, D 82.3, D 82.8, D 82.9; D 83 w tym: D 83.0, D 83.1, D 83.8, D 83.9; D 89.9) Z ZASTOSOWANIEM IMMUNOGLOBULINY LUDZKIEJ NORMALNEJ PODAWANEJ Z REKOMBINOWANĄ HIALURONIDAZĄ LUDZKĄ**

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE	BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU
<p><b>1. Kryteria włączenia do programu:</b></p> <ol style="list-style-type: none"><li>1) rozpoznanie pierwotnego niedoboru odporności wymagającego (zgodnie z obowiązującymi kryteriami) terapii substytucyjnej z wykorzystaniem preparatów immunoglobulin (Ig), potwierdzone przez lekarza specjalistę immunologii klinicznej;</li><li>2) wykluczenie innych przyczyn zaburzeń odporności;</li><li>3) stężenie IgG poniżej dolnej granicy normy dla wieku (z wyjątkiem D80.3 i D80.6);</li><li>4) wiek <math>\geq</math> 18 lat.</li></ol> <p>Kryteria kwalifikacji muszą być spełnione łącznie.</p> <p><b>2. Kryteria włączenia do programu pacjentów leczonych uprzednio w ramach programu lekowego lub w ramach jednorodnych grup pacjentów (JGP)</b></p>	<p><b>1. Substancja czynna:</b> immunoglobulina ludzka normalna w podaniu z rekombinowaną hialuronidazą ludzką (Ig+rHuPH20)</p> <p><b>2. Sposób podania:</b> podskórnie (SCIg)</p> <p><b>3. Dawkowanie:</b></p> <p>Dawkowanie, sposób podania i wybór preparatu powinny być ustalone indywidualnie dla każdego pacjenta, w zależności od odpowiedzi na terapię, w aspekcie osiągnięcia odpowiednich parametrów laboratoryjnych oraz zadowalającego stanu klinicznego.</p> <p><b>SCIg</b> (podanie podskórne) - dawka 0,4 - 0,8 g/kg m.c./miesiąc w odstępach od 1 -do 6 tygodni; zaleca się aby na początku leczenia odstęp między dawkami stopniowo wydłużać od podawania dawki co tydzień do podawania dawki co 3 lub 4 tygodnie; skumulowaną dawkę miesięczną Ig 10% należy podzielić na 1. tydzień, 2. tydzień itd., zgodnie z planowanymi odstępami między infuzjami produktu leczniczego.</p>	<p><b>1. Badania przy kwalifikacji:</b></p> <ol style="list-style-type: none"><li>1) poziom IgG, IgA, IgM, IgE w surowicy krwi, ew. podklas IgG, w zależności od wskazań klinicznych;</li><li>2) morfologia krwi z rozmazem;</li><li>3) poziom glukozy w surowicy krwi;</li><li>4) oznaczenie w żyłnej krwi obwodowej liczebności subpopulacji oraz ocena funkcji limfocytów, w zależności od wskazań klinicznych;</li><li>5) ocena funkcji wątroby: poziom aminotransferazy alaninowej (AlAT), aminotransferazy asparaginianowej (AspAT), fosfatazy alkalicznej (ALP) oraz gamma-glutamylotranspeptydazy (GGTP);</li><li>6) ocena funkcji nerek: ogólne badanie moczu, poziom kreatyniny w surowicy, ocena GFR;</li><li>7) poziom białka C-reaktywnego (CRP);</li><li>8) poziom dehydrogenazy mleczanowej (LDH);</li><li>9) ocena wzrostu, masy ciała oraz ciśnienia tętniczego krwi;</li></ol>

<p>Do programu włączani są również pacjenci, którzy uprzednio byli leczeni przetoczeniami immunoglobulin w ramach innego programu lekowego lub w ramach JGP, pod warunkiem, że w chwili rozpoczęcia terapii substytucyjnej z wykorzystaniem Ig spełniali kryteria włączenia do programu. Jeżeli nie można ocenić, czy w chwili rozpoczęcia terapii substytucyjnej pacjenci spełniali kryteria włączenia do programu, to leczenie można kontynuować w ramach programu lekowego, pod warunkiem, że przeprowadzone badania lub ocena kliniczna pozwolą na potwierdzenie, że chory spełnia kryteria włączenia do programu.</p> <p><b>3. Określenie czasu leczenia w programie:</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) terapia substytucyjna Ig pacjentów zakwalifikowanych do programu jest prowadzona do czasu podjęcia przez lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia;</li> <li>2) możliwa jest, wynosząca do 6 miesięcy przerwa dotycząca substytucji Ig, niewymagająca ponownej kwalifikacji pacjenta do udziału w programie lekowym. Decyzje odnośnie długości przerwy podejmuje specjalista immunologii klinicznej, na podstawie stanu klinicznego pacjenta oraz wybranych parametrów laboratoryjnych oznaczanych w trakcie monitorowania leczenia;</li> </ol>	<p>Dawkowanie powinno prowadzić do osiągnięcia poziomu IgG w wysokości co najmniej 5,0 g/l (mierzonego w surowicy przed kolejnym podaniem leku lub podczas wizyt kontrolnych).</p> <p>Podanie podskórne może mieć miejsce w warunkach domowych. W takiej sytuacji musi zostać rozpoczęte w warunkach szpitalnych, według następującego schematu:</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) pacjent odbywa minimum cztery wizyty w odstępach zgodnych z dawkowaniem leku; przed każdą wizytą określany jest poziom IgG.</li> <li>2) Wizyty mają na celu edukację pacjenta w zakresie administrowania SCIG -samodzielnego lub przez opiekuna prawnego</li> <li>3) pacjent lub opiekunowie prawni pacjenta muszą być poinstruowani odnośnie sposobu używania sprzętu do podawania leku, techniki podawania leku, prowadzenia dziennika leczenia oraz rozpoznawania działań niepożądanych i czynności, które należy podjąć w przypadku ich wystąpienia,</li> <li>4) pacjent otrzymuje preparaty SCIG (wraz z niezbędnym sprzętem medycznym umożliwiającym podanie preparatu i środkami zabezpieczającymi jałowość procedury) w ośrodku prowadzącym terapię PNO danego pacjenta,</li> <li>5) preparat do podawania podskórnego może być wydany dla celów terapii domowej na okres substytucji nie przekraczający 3 miesięcy.</li> </ol>	<ol style="list-style-type: none"> <li>10) USG, RTG, TK lub MRI (w zależności od wskazań klinicznych): klatki piersiowej, zatok obocznych nosa lub czołowych, jamy brzusznej;</li> <li>11) badania wirusologiczne: HBs-antygen oraz diagnostyka HCV i HIV metodą PCR;</li> <li>12) badanie wirusologiczne EBV metodą PCR w zależności od wskazania klinicznego.</li> </ol> <p>W przypadku pacjentów nowo zakwalifikowanych do programu lekowego, lecz otrzymujących uprzednio terapię substytucyjną Ig, należy przeprowadzić badania diagnostyczne zgodnie z harmonogramem monitorowania w trakcie programu lekowego.</p> <p><b>2. Monitorowanie leczenia:</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) poziom IgG (ew. podklas IgG, w zależności od wskazań klinicznych) w surowicy krwi, mierzony przed kolejnym podaniem lub wizytą kontrolną lub wydaniem kolejnej dawki preparatu, co 1-6 miesięcy oraz po przerwie w terapii substytucyjnej;</li> <li>2) liczebność subpopulacji limfocytów w żyłnej krwi obwodowej - w zależności od wskazań klinicznych;</li> <li>3) morfologia krwi z rozmazem, co 3-6 miesięcy;</li> <li>4) poziom glukozy we krwi, co 3-6 miesięcy;</li> <li>5) ocena funkcji wątroby: poziomy ALAT, AspAT, ALP oraz GGTP, co 3-6 miesięcy;</li> <li>6) ocena funkcji nerek: ogólne badanie moczu, poziom kreatyniny, GFR, co 3-6 miesięcy;</li> <li>7) poziom CRP, co 3-6 miesięcy;</li> <li>8) poziom LDH, co 3-6 miesięcy;</li> <li>9) masa ciała na każdej wizycie;</li> <li>10) ciśnienie krwi na każdej wizycie;</li> </ol>
--	--	---

3) weryfikacja wskazań do dalszej terapii substytucyjnej za pomocą Ig u danego pacjenta jest przeprowadzana raz w roku przez lekarza specjalistę immunologii klinicznej.

#### 4. Kryteria wyłączenia:

- 1) wystąpienie powikłań, stanowiących bezwzględne przeciwwskazanie do substytucyjnego leczenia Ig, stwierdzone przez lekarza specjalistę immunologii klinicznej lub
- 2) negatywna weryfikacja wskazań do dalszej terapii substytucyjnej za pomocą Ig u danego pacjenta przez lekarza specjalistę immunologii klinicznej lub
- 3) brak zgody pacjenta lub jego opiekuna prawnego na kontynuację udziału w programie lekowym.

11) USG, RTG, TK lub MRI: klatki piersiowej, zatok obocznych nosa lub czołowych, jamy brzusznej (rodzaj badania i częstość wykonywania zależą od wskazań klinicznych);

12) badania wirusologiczne: HBs-antygen oraz diagnostyka HCV lub HIV metodą PCR, w zależności od wskazań klinicznych do decyzji lekarza prowadzącego

13) badanie wirusologiczne EBV metoda PCR w zależności od wskazania klinicznego.

#### 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.