

**LECZENIE NOCNEJ NAPADOWEJ HEMOGLOBINURII (PNH) (ICD-10 D59.5)**

<b>ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO</b>		
<b>ŚWIADCZENIOBIORCY</b>	<b>SCHEMAT DAWKOWANIA LEKU W PROGRAMIE</b>	<b>BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU</b>
<p><b>1. Kryteria kwalifikacji</b></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 Nocnej Napadowej Hemoglobinurii, 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 Nocnej Napadowej Hemoglobinurii, 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>Zdiagnozowana nocna napadowa hemoglobinuria z obecnością klonu NNH &gt;1% oznaczonego w badaniu cytometrii przepływowej i co najmniej jeden z poniższych:</p> <p>1) objawy hemolizy związane z NNH oraz (łącznie):</p> <p>a) aktywnością dehydrogenazy mleczanowej (LDH) <math>\geq 1,5</math> przekraczająca górną granicę normy (GGN)</p> <p>b) co najmniej jedno z powikłań związanych z hemolizą:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- niewydolność nerek,</li> <li>- nadciśnienie płucne,</li> <li>- znaczne zmęczenie ocenione wg FACIT upośledzające codzienną aktywność;</li> </ul> <p>2) zakrzepica lub poważne zdarzenie naczyniowe w tym:</p>	<p><b>1. Dawkowanie</b></p> <p>Zgodnie z aktualną Charakterystyką Produktu Leczniczego.</p>	<p><b>1. Badania przy kwalifikacji:</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) badanie granulocytów oraz erytrocytów w cytometrze przepływowym pod kątem obecności klonu PNH;</li> <li>2) wykluczenie ciąży u kobiet w wieku rozrodczym;</li> <li>3) aktywność dehydrogenazy mleczanowej (LDH);</li> <li>4) morfologia krwi obwodowej z rozmazem;</li> <li>5) czas częściowej tromboplastyny po aktywacji (APTT);</li> <li>6) czas protrombinowy (PT);</li> <li>7) fibrynogen;</li> <li>8) odczyn Coombsa;</li> <li>9) oznaczenie grupy krwi;</li> <li>10) stężenie kreatyniny w surowicy;</li> <li>11) stężenie mocznika w surowicy;</li> <li>12) aminotransferaza asparaginowa (AspAT);</li> <li>13) aminotransferaza alaninowa (AlAT);</li> <li>14) bilirubina całkowita i bezpośrednia;</li> <li>15) stężenie haptoglobiny (Hp);</li> <li>16) stężenie Na+;</li> <li>17) stężenie K+;</li> <li>18) badanie ogólne moczu;</li> <li>19) badanie wolnej hemoglobiny w moczu;</li> <li>20) badania obrazowe naczyń w przypadku podejrzenia zakrzepicy żyłnej lub tętniczej lub incydentów zatorowych w zależności od umiejscowienia: ultrasonogram (USG) lub</li> </ol>

<ul style="list-style-type: none"> <li>a) zakrzepowe zapalenie żył głębokich/zakrzepica żył głębokich,</li> <li>b) zator tętnicy płucnej,</li> <li>c) zdarzenia mózgowo-naczyniowe,</li> <li>d) amputacja,</li> <li>e) zawał mięśnia sercowego,</li> <li>f) napad przemijającego niedokrwienia,</li> <li>g) niestabilna dławica piersiowa,</li> <li>h) zakrzepica żyły nerkowej,</li> <li>i) zakrzepica żył kręzkowych,</li> <li>j) zakrzepica żyły wrotnej,</li> <li>k) zgorzel,</li> <li>l) ostre zamknięcia naczyń obwodowych;</li> </ul> <p>3) 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 ekulizumabem;</p> <p>4) wykonanie obowiązkowego szczepienia przeciw meningokokom, w przypadku konieczności wdrożenia leczenia przed upływem 2 tygodni po wykonaniu szczepienia przeciw meningokokom - profilaktyka antybiotykowa.</p> <p><b>2. Określenie czasu leczenia w programie</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>1) Kryteria kwalifikacji i wyłączenia z programu określają czas leczenia w programie.</li> <li>2) Zespół koordynacyjny ds. Leczenia Nocnej Napadowej Hemoglobinurii 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.</li> <li>3) Chorzy, u których konieczne jest ponowne włączenie leczenia po decyzji Zespołu koordynacyjnego ds. Nocnej Napadowej</li> </ul>		<p>tomografia komputerowa (TK) lub magnetyczny rezonans jądrowy (MRI).</p> <p><b>2. Monitorowanie leczenia</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>1) Co tydzień przez pierwsze 5 tygodni: <ul style="list-style-type: none"> <li>a) aktywność dehydrogenazy mleczanowej (LDH),</li> <li>b) morfologia krwi obwodowej z rozmazem,</li> <li>c) kreatynina,</li> <li>d) mocznik,</li> <li>e) aminotransferaza asparaginowa (AspAT),</li> <li>f) aminotransferaza alaninowa (AlAT),</li> <li>g) bilirubina całkowita.</li> </ul> </li> <li>2) Po 5 tygodniu, raz na dwa tygodnie lub częściej w uzasadnionych sytuacjach klinicznych: <ul style="list-style-type: none"> <li>a) aktywność dehydrogenazy mleczanowej (LDH),</li> <li>b) morfologia krwi obwodowej z rozmazem.</li> </ul> </li> <li>3) Po 5 tygodniu, raz na cztery tygodnie lub częściej w uzasadnionych sytuacjach klinicznych: <ul style="list-style-type: none"> <li>a) kreatynina,</li> <li>b) mocznik,</li> <li>c) aminotransferaza asparaginowa (AspAT),</li> <li>d) aminotransferaza alaninowa (AlAT),</li> <li>e) bilirubina całkowita.</li> </ul> </li> <li>4) Badanie obecności klonów PNH w cytometrze przepływowym: <ul style="list-style-type: none"> <li>a) 6 miesięcy po rozpoczęciu leczenia i następnie co 6 miesięcy przez okres 2 lat od rozpoznania;</li> <li>b) co 12 miesięcy w przypadku stabilizacji choroby i wielkości klonu.</li> </ul> </li> </ul> <p>W celu wykrycia ciężkiej hemolizy i innych reakcji, każdego pacjenta odstawiającego ekulizumab należy obserwować przez co najmniej 8 tygodni.</p>
--	--	--

Hemoglobinurii 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.

### **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.