

**LECZENIE ATYPOWEGO ZESPOŁU HEMOLITYCZNO-MOCZNICOWEGO (aHUS) (ICD-10 D 59.3)****ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO**

<b>ŚWIADCZENIOBIORCY</b>	<b>Schemat dawkowania</b>	<b>Badania diagnostyczne wykonywane w ramach programu</b>
<p><b>1. Kryteria włączenia</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 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> <p>1) pacjenci z aHUS z następującymi objawami mikroangiopatii zakrzepowej:</p> <p style="padding-left: 20px;">a) trombocytopenia oraz hemoliza: liczba płytek <math>&lt;150 \times 10^9/L</math> lub <math>\geq 25\%</math> spadek w stosunku do stanu wyjściowego i podwyższone stężenie LDH lub rozpad krwinek czerwonych (obecność schistocytów) lub niskie stężenie haptoglobiny lub anemia hemolityczna</p> <p style="padding-left: 20px;">lub</p> <p style="padding-left: 20px;">b) biopsja tkankowa potwierdzająca mikroangiopatię zakrzepową</p>	<p><b>1. Dawkowanie</b></p> <p>Dawkowanie preparatu ekulizumab zgodnie z aktualną Charakterystyką Produktu Leczniczego.</p>	<p><b>1. Badania przy kwalifikacji:</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) aktywność ADAMTS13;</li> <li>2) badanie STEC (PCR lub hodowla bakteryjna);</li> <li>3) wykonanie badania potwierdzającego lub wykluczającego ciążę (u kobiet w wieku rozrodczym);</li> <li>4) dehydrogenaza mleczanowa całkowita (LDH);</li> <li>5) stężenie haptoglobiny (Hp) lub schistocyty;</li> <li>6) morfologia krwi z rozmazem;</li> <li>7) Test Coombsa;</li> <li>8) aminotransferaza asparaginowa (AspAT);</li> <li>9) aminotransferaza alaninowa (AlAT);</li> <li>10) bilirubina całkowita;</li> <li>11) bilirubina frakcje;</li> <li>12) fosfataza alkaliczna;</li> <li>13) badanie ogólne moczu;</li> <li>14) stężenie kreatyniny;</li> <li>15) stężenie mocznika;</li> <li>16) stężenie kwasu moczowego;</li> <li>17) w przypadku występowania u pacjentów:       <ol style="list-style-type: none"> <li>a) objawów neurologicznych           <ul style="list-style-type: none"> <li>- rezonans magnetyczny z angiografią</li> <li>lub</li> <li>- tomografia komputerowa ośrodkowego układu nerwowego;</li> </ul> </li> </ol> </li> </ol>

<p>oraz</p> <p>c) związane z mikroangiopatią zakrzepową uszkodzenie narządów:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- zaburzenia czynności nerek potwierdzone poziomem kreatyniny w surowicy &gt;górna granica normy dla wieku lub hemodializa lub proteinuria lub albuminuria lub</li> <li>- powikłania pozanerkowe wywołane mikroangiopatią tkankową, takie jak: powikłania sercowo-naczyniowe, neurologiczne, żołądkowo-jelitowe lub płucne</li> </ul> <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"> <li>a) aktywność ADAMTS-13 &gt;5%,</li> <li>b) negatywny wynik badania STEC (Shiga-Toxin Escherichia coli) w teście (PCR) lub hodowli bakteryjnej;</li> </ul> <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 po wykonaniu szczepienia przeciw meningokokom - profilaktyka antybiotykowa.</p>		<p>b) objawów ze strony układu pokarmowego</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- amylaza,</li> <li>- lipaza,</li> <li>- usg jamy brzusznej;</li> </ul> <p>c) objawów ze strony układu sercowo-naczyniowego:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- troponina T lub troponina I,</li> <li>lub</li> <li>- EKG</li> <li>lub</li> <li>- echo serca</li> <li>lub</li> <li>- cewnikowanie serca;</li> </ul> <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><b>2. Monitorowanie leczenia</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) W czasie leczenia początkowego (tj. przez pierwsze 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.</li> <li>2) Począwszy od 5 tygodnia monitorowanie leczenia opisane w pkt 1 odbywa się co 2 tygodnie.</li> <li>3) Po upływie 3 miesięcy monitorowanie leczenia opisane w pkt 1 odbywa się raz w miesiącu.</li> <li>4) Po upływie 1 roku leczenia monitorowanie leczenia opisane w pkt 1 odbywa się raz na 3 miesiące.</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</li> </ol>
---	--	---

<p><b>2. Określenie czasu leczenia w programie</b></p> <ol 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 Atypowego 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.</li><li>3) Chorzy, u których konieczne jest ponowne włączenie leczenia po decyzji Zespołu koordynacyjnego ds. Leczenia Atypowego Zespołu Hemolityczno-mocznicowego będą włączani do programu bez konieczności ponownej kwalifikacji.</li></ol> <p><b>3. Kryteria wyłączenia</b></p> <ol style="list-style-type: none"><li>1) ciąża – jeśli dalsze leczenie nie jest bezwzględnie konieczne;</li><li>2) karmienie piersią;</li><li>3) wystąpienie ciężkich działań niepożądanych związanych z lekiem;</li><li>4) nadwrażliwość na ekulizumab, białka mysie lub substancje pomocnicze;</li><li>5) niestosowanie się pacjenta do zaleceń lekarskich;</li><li>6) wycofanie przez pacjenta zgody na leczenie.</li></ol>		<p>przedstawianie na żądanie kontrolera Narodowego Funduszu Zdrowia;</p> <ol style="list-style-type: none"><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>
---	--	---