

LECZENIE UZUPEŁNIAJĄCE L-KARNITYNĄ W WYBRANYCH CHOROBYCH METABOLICZNYCH (E 71.1, E 71.3, E 72.3)

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE	BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU
<p>Kwalifikacji chorych do terapii dokonuje Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrazadkowych powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia.</p> <p>Kwalifikacja do programu oraz weryfikacja skuteczności leczenia co 6 miesięcy odbywa się, w oparciu o ocenę stanu klinicznego świadczeniobiorcy oraz ocenę efektywności zastosowanej terapii.</p> <p>Do programu lekowego kwalifikowani są również pacjenci, których leczenie L-karnityną było finansowane w ramach innego sposobu finansowania terapii, pod warunkiem że w chwili rozpoczęcia leczenia spełniali kryteria kwalifikacji do programu lekowego</p> <p>1. Kryteria kwalifikacji</p> <p>1.1. 3-metylokrotonylo-glicynuria (MCG)</p> <p>Ostatecznie potwierdzone rozpoznanie 3-metylokrotonylo-glicynurii oraz ustalenie wskazań klinicznych i biochemicznych do zastosowania leczenia L-karnityną zgodnie z badaniami diagnostycznymi wykonywanymi w ramach programu przy kwalifikacji.</p> <p>1.2. Acyduria glutarowa I (GA I)</p> <p>Ostatecznie potwierdzone rozpoznanie acydurii glutarowej typu I oraz ustalenie wskazań klinicznych i biochemicznych do zastosowania leczenia L-karnityną</p>	<p>Leczenie należy rozpocząć w momencie ustalenia wskazań klinicznych i biochemicznych do zastosowania leczenia L-karnityną.</p> <p>Dawki L-karnityny należy dostosowywać indywidualnie do określonej jednostki chorobowej, wieku, masy ciała i stanu klinicznego pacjenta oraz do bieżącego stężenia wolnej karnityny we krwi. Okresowo – w zależności od sytuacji klinicznej – może występować konieczność zwiększenia dawki nawet do poziomu maksymalnego (stan dekomensacji) lub redukcji nawet do poziomu 0 (w sytuacji wyrównania metabolicznego). Każdorazowo o zmianie dawkowania L-karnityny decyduje lekarz prowadzący.</p> <p>1. Dawkowanie</p> <p>1.1. 3-metylokrotonylo-glicynuria (MCG)</p> <p>Zalecane dawkowanie: od 0 do 100 mg/kg m.c./doba; podzielona na co najmniej trzy dawki.</p> <p>1.2. Acyduria glutarowa I (GA I)</p>	<p>Badania diagnostyczne przy kwalifikacji oraz w ramach monitorowania leczenia L-karnityną są tożsame dla wszystkich jednostek chorobowych.</p> <p>1. Badania przy kwalifikacji:</p> <ol style="list-style-type: none"> 1) Badanie podmiotowe; 2) Badanie przedmiotowe (fizykalne); 3) Stężenie karnityny wolnej; 4) Stężenie karnityny całkowitej; 5) Profil acylkarnityn w suchej kropli krwi metodą tandemowej spektrometrii mas. <p>2. Monitorowanie leczenia (co 180 dni):</p> <ol style="list-style-type: none"> 1) Badanie podmiotowe; 2) Badanie przedmiotowe (fizykalne); 3) Stężenie karnityny wolnej; 4) Stężenie karnityny całkowitej; 5) Profil acylkarnityn w suchej kropli krwi metodą tandemowej spektrometrii mas.

<p>zgodnie z badaniami diagnostycznymi wykonywanymi w ramach programu przy kwalifikacji.</p> <p>1.3. Acyduria izowalerianowa (IVA) Ostatecznie potwierdzone rozpoznanie acydurii izowalerianowej (IVA) oraz ustalenie wskazań klinicznych i biochemicznych do zastosowania leczenia L-karnityną zgodnie z badaniami diagnostycznymi wykonywanymi w ramach programu przy kwalifikacji.</p> <p>1.4. Acyduria metylomalonowa (MMA) Ostatecznie potwierdzone rozpoznanie acydurii metylomalonowej (MMA) oraz ustalenie wskazań klinicznych i biochemicznych do zastosowania leczenia L-karnityną zgodnie z badaniami diagnostycznymi wykonywanymi w ramach programu przy kwalifikacji.</p> <p>1.5. Acyduria propionowa (PA) Ostatecznie potwierdzone rozpoznanie acydurii propionowej (PA) oraz ustalenie wskazań klinicznych i biochemicznych do zastosowania leczenia L-karnityną zgodnie z badaniami diagnostycznymi wykonywanymi w ramach programu przy kwalifikacji.</p> <p>1.6. Zaburzenia spalania długolącuchowych kwasów tłuszczowych (LC-FAOD) – LCHADD, VLCADD, deficyt MTP, deficyt CACT, deficyt CPT2 Ostatecznie potwierdzone rozpoznanie deficytu długolącuchowych kwasów tłuszczowych (LC-FAOD) – LCHADD lub VLCADD, lub deficyt MTP, lub deficyt CACT, lub deficyt CPT2 oraz ustalenie wskazań klinicznych i biochemicznych do zastosowania leczenia L-karnityną zgodnie z badaniami diagnostycznymi wykonywanymi w ramach programu przy kwalifikacji.</p> <p>1.7. Deficyt dehydrogenazy acylo-CoA średniołącuchowych kwasów tłuszczowych (MCADD)</p>	<p>Zalecane dawkowanie: od 0 do 200 mg/kg m.c./doba; podzielona na co najmniej trzy dawki.</p> <p>1.3. Acyduria izowalerianowa (IVA) Zalecane dawkowanie: od 0 do 100 mg/kg m.c./doba; podzielona na co najmniej trzy dawki.</p> <p>1.4. Acyduria metylomalonowa (MMA) Zalecane dawkowanie: od 0 do 100 mg/kg m.c./doba; podzielona na co najmniej trzy dawki.</p> <p>1.5. Acyduria propionowa (PA) Zalecane dawkowanie: od 0 do 100 mg/kg m.c./doba; podzielona na co najmniej trzy dawki.</p> <p>1.6. Zaburzenia spalania długolącuchowych kwasów tłuszczowych (LC-FAOD) – LCHADD, VLCADD, deficyt MTP, deficyt CACT, deficyt CPT2 Zalecane dawkowanie: od 0 do 30 mg/kg m.c./doba; podzielona na co najmniej trzy dawki.</p> <p>1.7. Deficyt dehydrogenazy acylo-CoA średniołącuchowych kwasów tłuszczowych (MCADD)</p>	<p>3. Monitorowanie programu</p> <ol style="list-style-type: none"> 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.
---	---	--

<p>Ostatecznie potwierdzone rozpoznanie deficytu dehydrogenazy acylo-CoA średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych (MCADD) oraz ustalenie wskazań klinicznych i biochemicznych do zastosowania leczenia L-karnityną zgodnie z badaniami diagnostycznymi wykonywanymi w ramach programu przy kwalifikacji.</p> <p>1.8. Pierwotny deficyt karnityny (CUD)</p> <p>Ostatecznie potwierdzone rozpoznanie pierwotnego deficytu karnityny (CUD) oraz ustalenie wskazań klinicznych i biochemicznych do zastosowania leczenia L-karnityną zgodnie z badaniami diagnostycznymi wykonywanymi w ramach programu przy kwalifikacji.</p> <p>1.9. 1.9. Deficyt wielu dehydrogenaz acylo-CoA (MADD)</p> <p>Ostatecznie potwierdzone rozpoznanie deficytu wielu dehydrogenaz acylo-CoA (MADD) oraz ustalenie wskazań klinicznych i biochemicznych do zastosowania leczenia L-karnityną zgodnie z badaniami diagnostycznymi wykonywanymi w ramach programu przy kwalifikacji.</p> <p>2. Określenie czasu leczenia w programie</p> <p>Przedłużenie leczenia następuje co 6 miesięcy decyzją Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrazadkich, na podstawie nadesłanej karty monitorowania terapii.</p> <p>Leczenie trwa do czasu podjęcia przez Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrazadkich lub lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia.</p> <p>3. Kryteria wyłączenia</p> <p>1) wystąpienie objawów nadwrażliwości na L-karnitynę</p>	<p>Zalecane dawkowanie: od 0 do 100 mg/kg m.c./doba; podzielona na co najmniej trzy dawki.</p> <p>1.8. Pierwotny deficyt karnityny (CUD)</p> <p>Zalecane dawkowanie: od 0 do 200 mg/kg m.c./doba; podzielona na co najmniej trzy dawki.</p> <p>1.9. Deficyt wielu dehydrogenaz acylo-CoA (MADD)</p> <p>Zalecane dawkowanie: od 0 do 100 mg/kg m.c./doba; podzielona na co najmniej trzy dawki.</p>	
--	--	--