

## LECZENIE MIELOFIBROZY PIERWOTNEJ ORAZ MIELOFIBROZY WTÓRNEJ W PRZEBIEGU CZERWIENICY PRAWDZIWEJ I NADPŁYTKOWOŚCI SAMOISTNEJ (ICD-10 D47.1)

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE	BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU
<p>Leczenie powiększenia śledziony związanego z chorobą lub objawów występujących u dorosłych pacjentów z pierwotnym włóknieniem szpiku (znanym zarówno jako przewlekłe idiopatyczne włóknienie szpiku), włóknieniem szpiku poprzedzonym czerwieńcą prawdziwą lub włóknieniem szpiku poprzedzonym nadpłytkowością samoistną.</p> <p><b>1. Kryteria kwalifikacji</b></p> <p>1.1 Rozpoznanie:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>a) pierwotnej mielofibrozy (PMF) lub</li> <li>b) mielofibrozy w przebiegu czerwieńcy prawdziwej (Post-PV MF), lub</li> <li>c) mielofibrozy w przebiegu nadpłytkowości samoistnej (Post-ET MF)</li> </ul> <p>– zgodnie z kryteriami Światowej Organizacji Zdrowia z roku 2008 oraz IWGMRT (do rozpoznania wymagany jest wynik badania morfologii krwi obwodowej z rozmazem ocenionym mikroskopowo oraz wynik trepanobiopsji szpiku);</p> <p>1.2 Pacjenci z grupy ryzyka:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>a) pośredniego – 2 lub</li> <li>b) wysokiego</li> </ul> <p>– wg IPSS (ang. International Prognostic Scoring System);</p>	<p><b>1. Dawkowanie ruksolitynibu:</b></p> <p>Dawkowanie leku odbywa się zgodnie z zasadami określonymi w Charakterystyce Produktu Leczniczego.</p>	<p><b>1. Badania przy kwalifikacji do leczenia ruksolitynibem</b></p> <p>1.1 badanie podmiotowe i przedmiotowe ze szczególnym uwzględnieniem:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>a) oceny wielkości śledziony,</li> <li>b) masy ciała,</li> <li>c) objawów ogólnych ocenianych przy użyciu formularza MPN-SAF TSS: <ul style="list-style-type: none"> <li>— poty nocne (<math>\geq 4</math> pkt),</li> <li>— utrata masy ciała (<math>&gt;10\%</math> w okresie ostatnich 6 miesięcy) (<math>\geq 4</math> pkt),</li> <li>— gorączka o nieznannej etiologii (<math>&gt;37,5^{\circ}\text{C}</math>) (<math>\geq 4</math> pkt),</li> <li>— bóle kostne (<math>\geq 4</math> pkt),</li> <li>— świąd (<math>\geq 4</math> pkt),</li> <li>— zmęczenie (<math>\geq 4</math> pkt);</li> </ul> </li> </ul> <p>1.2 morfologia krwi z rozmazem ocenionym mikroskopowo;</p> <p>1.3 aktywność transaminaz wątrobowych;</p> <p>1.4 stężenie bilirubiny;</p> <p>1.5 stężenie kreatyniny w surowicy;</p> <p>1.6 trepanobiopsja szpiku, jeżeli nie była wykonana w okresie 6 miesięcy przed kwalifikacją;</p>

1.3 Splenomegalia (powiększenie śledziony  $\geq 5$  cm poniżej lewego łuku żebrowego) w badaniu palpacyjnym oraz w badaniu ultrasonograficznym;

1.4 Pacjenci z liczbą płytek krwi  $> 50$  tysięcy/ $\mu\text{l}$ ;

1.5 Wystąpienie co najmniej 2 z 6 poniżej wymienionych objawów ogólnych ocenianych w skali MPN-SAF TSS:

- a) poty nocne ( $\geq 4$  pkt),
- b) utrata masy ciała ( $>10\%$  w okresie ostatnich 6 miesięcy) ( $\geq 4$  pkt),
- c) gorączka o nieznannej etiologii ( $>37,5^\circ\text{C}$ ) ( $\geq 4$  pkt),
- d) bóle kostne ( $\geq 4$  pkt),
- e) świąd ( $\geq 4$  pkt),
- f) zmęczenie ( $\geq 4$  pkt);

1.6 Wiek: 18 lat i więcej;

1.7 Stan sprawności:

- a) od 0 do 2, oceniany wg Eastern Cooperative Oncology Group lub
- b) od 1- 2 wg WHO

– w momencie włączenia do programu;

1.8 Brak wcześniejszej splenektomii;

1.9 Pacjenci bez współistniejących ciężkich chorób systemowych w zakresie układu sercowo-naczyniowego, nerek, wątroby – upośledzających istotnie stan ogólny pacjenta oraz ciężkich zakażeń bakteryjnych, wirusowych i grzybiczych;

1.10 Adekwatna wydolność narządowa określona na podstawie badań laboratoryjnych krwi:

- a) wyniki badań czynności wątroby:
  - stężenie bilirubiny całkowitej nieprzekraczające 2- krotnie górnej granicy normy (z wyjątkiem pacjentów z zespołem Gilberta),
  - aktywność transaminaz (alaninowej i asparaginowej) w surowicy nieprzekraczające 2,5-krotnie górnej granicy normy,
- b) stężenie kreatyniny nieprzekraczające 2-krotnie górnej granicy normy.

Kryteria kwalifikacji muszą być spełnione łącznie.

1.7 USG jamy brzusznej z oceną wymiarów śledziony.

## 2. Monitorowanie leczenia ruksolitynibem:

2.1. badanie podmiotowe i przedmiotowe ze szczególnym uwzględnieniem:

- a) oceny wielkości śledziony,
- b) masy ciała,
- c) objawów ogólnych ocenianych przy użyciu formularza MPN-SAF TSS:
  - poty nocne ( $\geq 4$  pkt),
  - utrata masy ciała ( $>10\%$  w okresie ostatnich 6 miesięcy) ( $\geq 4$  pkt),
  - gorączka o nieznannej etiologii ( $>37,5^\circ\text{C}$ ) ( $\geq 4$  pkt),
  - bóle kostne ( $\geq 4$  pkt),
  - świąd ( $\geq 4$  pkt),
  - zmęczenie ( $\geq 4$  pkt);

2.2. morfologia krwi;

2.3. aktywność transaminaz wątrobowych;

2.4. stężenie bilirubiny;

2.5. stężenie kreatyniny w surowicy;

2.6. USG jamy brzusznej z oceną wymiarów śledziony.

Częstość wykonywania badań:

1) morfologia krwi i parametry biochemiczne:

- a) co 2-4 tygodnie – do czasu ustabilizowania dawki ruksolitynibu, a następnie w zależności od wskazań klinicznych oraz zgodnie z zasadami określonymi w ChPL;
- b) co 1-2 tygodnie przez 6 tygodni lub do czasu ustabilizowania funkcji wątroby – u pacjentów z niewydolnością wątroby;

2) wszystkie badania kontrolne:

## 2. Określenie czasu leczenia w programie:

Leczenie trwa do czasu podjęcia przez lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu (+ dodatkowe 28 dni na odstawienie leku), zgodnie z kryteriami wyłączenia.

## 3. Kryteria wyłączenia z programu

3.1 Brak lub utrata odpowiedzi po leczeniu rozumiane jako:

- a) brak jakiegokolwiek zmniejszenia w badaniu przedmiotowym powiększonej w momencie kwalifikacji śledziona – po 3 miesiącach leczenia,
- b) brak zmniejszenia w badaniu USG powiększonej w momencie kwalifikacji śledziona, o co najmniej 25 % długości jej wyjściowego powiększenia (powyżej normy w danym ośrodku) – po 6 miesiącach leczenia lub
- c) pojawienie się nowych lub nasilenie wyjściowych objawów ogólnych związanych z chorobą, wymienionych w kryteriach kwalifikacji do programu, ocenianych w skali MPN-SAF TSS – po:
  - 3 miesiącach leczenia lub
  - 6 miesiącach leczenia, lub
  - każdych kolejnych 6 miesiącach leczenia;

3.2 Nieakceptowalna toksyczność, nieustępująca pomimo redukcji dawki leku i przerw w leczeniu według zasad określonych w Charakterystyce Produktu Leczniczego;

3.3 Transformacja w ostrą białaczkę;

3.4 Utrata uzyskanej odpowiedzi na terapię po każdych 6 miesiącach leczenia.

- a) po 3 miesiącach leczenia, następnie
- b) po 6 miesiącach leczenia, następnie
- c) nie rzadziej niż po każdych kolejnych 6 miesiącach leczenia.

## 3. Monitorowanie programu

- 1) gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawienie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia;
- 2) uzupełnianie 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.