

LECZENIE ATYPOWEGO ZESPOŁU HEMOLITYCZNO-MOCZNICOWEGO (aHUS) (ICD-10 D 59.3)

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	SCHEMAT DAWKOWANIA	BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU
<p>1. Kryteria włączenia</p> <p>Podczas 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> <ol style="list-style-type: none"> 1) pacjenci z aHUS z następującymi objawami mikroangiopatii zakrzepowej: <ol style="list-style-type: none"> a) trombocytopenia oraz hemoliza: liczba płytek $<150 \times 10^9/L$ lub $\geq 25\%$ spadek w stosunku do stanu wyjściowego i podwyższone stężenie LDH lub rozpad krwinek czerwonych (obecność schistocytów) lub niskie stężenie haptoglobiny lub anemia hemolityczna lub b) biopsja tkankowa potwierdzająca mikroangiopatię zakrzepową oraz c) związane z mikroangiopatią zakrzepową uszkodzenie narządów: 	<p>1. Dawkowanie</p> <p>Dawkowanie preparatu ekulizumab zgodnie z aktualną Charakterystyką Produktu Leczniczego.</p>	<p>1. Badania przy kwalifikacji:</p> <ol style="list-style-type: none"> 1) aktywność ADAMTS13; u dzieci z obniżonym eGFR można wdrożyć leczenie w oczekiwaniu na wynik badania; 2) badanie STEC (PCR lub hodowla bakteryjna) w pierwszym rzucie choroby; 3) wykonanie badań potwierdzającego lub wykluczającego ciążę (u kobiet w wieku rozrodczym); 4) dehydrogenaza mleczanowa całkowita (LDH); 5) stężenie haptoglobiny (Hp) lub schistocyty; 6) morfologia krwi z rozmazem; 7) badanie ogólne moczu; 8) stężenie kreatyniny i wyliczony eGFR; 9) aminotransferaza asparaginowa (AspAT) i alaninowa (AlAT); 10) badania układu dopełniacza C3, CH50; leczenie można wdrożyć w oczekiwaniu na wynik; 11) badania genetyczne w kierunku przyczyn genetycznych aHUS; leczenie można wdrożyć w oczekiwaniu na wynik; 12) przeciwciała anty H; leczenie można wdrożyć w oczekiwaniu na wynik; 13) test Coombsa; leczenie można wdrożyć leczenie w oczekiwaniu na wynik; 14) w przypadku występowania u pacjentów: <ol style="list-style-type: none"> a) objawów neurologicznych - rezonans magnetyczny z angiografią

- zaburzenia czynności nerek potwierdzone poziomem kreatyniny w surowicy > górna granica normy dla wieku
lub hemodializa,
lub białkomocz/ albuminuria
lub
- powikłania pozanerkowe wywołane mikroangiopatią tkankową, takie jak:
powikłania sercowo-naczyniowe, lub neurologiczne, lub żołądkowo-jelitowe lub płucne

lub

- 2) pacjenci z aHUS, u których stosowana jest plazmafereza/przetoczenie osocza;
- 3) pacjenci z aHUS zakwalifikowani do przeszczepu nerki;
- 4) u ww. grup pacjentów z aHUS wymagane są wyniki badań:
 - a) aktywność ADAMTS-13 >5%,
 - b) negatywny wynik badania STEC (Shiga-Toxin Escherichia coli) w teście (PCR) lub hodowli bakteryjnej w pierwszym rzucie choroby;
- 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;
- 6) wykonanie obowiązkowego szczepienia przeciw meningokokom, w przypadku konieczności wdrożenia leczenia przed upływem 2 tygodni po wykonaniu szczepienia przeciw meningokokom - profilaktyka antybiotykowa.

2. Określenie czasu leczenia w programie

- 1) Kryteria kwalifikacji i wyłączenia z programu określają czas leczenia w programie;
- 2) Po 6 miesiącach od rozpoczęcia leczenia ośrodek prowadzący występuje do Zespołu Koordynacyjnego z wnioskiem o kontynuację lub czasowe przerwanie leczenia z uzupełnieniem wyników badań układu dopełniacza i badań genetycznych;

- lub tomografia komputerowa ośrodkowego układu nerwowego;

b) objawów ze strony układu pokarmowego:

- amylaza, lipaza oraz usg jamy brzusznej;

c) objawów ze strony układu sercowo-naczyniowego:

- troponina T lub troponina I, lub EKG, lub ECHO serca

- lub cewnikowanie serca;

2. Monitorowanie leczenia

- 1) W czasie leczenia początkowego (tj. przez pierwsze 4 tygodnie) monitorowanie leczenia obejmuje wykonywanie badań wyszczególnionych jako pozycje 4-8 w pkt. 1 oraz CH50, przed każdą infuzją (u osób > 40kg raz w tygodniu, u dzieci zgodnie z dawkowaniem preparatu w ChPL);
- 2) Począwszy od 5 tygodnia monitorowanie leczenia obejmuje wykonywanie badań wyszczególnionych jako pozycje 4-8 w pkt. 1 przed każdą infuzją (co 2 tygodnie, a u dzieci <10kg co 3 tygodnie) oraz badanie CH50 (co miesiąc, a u dzieci < 10kg, co 6 tygodni);
- 3) Po upływie 3 miesięcy monitorowanie leczenia opisane w pkt 1 odbywa się raz w miesiącu, a u dzieci < 10kg raz na 6 tygodni;
- 4) Po upływie 1 roku leczenia monitorowanie leczenia opisane w pkt 1 odbywa się raz na 3 miesiące;
- 5) U chorych z wyjściowymi dodatnimi p-ciałami antyH monitorowanie stężenia p-ciał odbywa się raz na 3 miesiące.

3. Monitorowanie w czasie czasowego przerwania leczenia

W pierwszym roku co miesiąc oraz przy każdej infekcji, a w kolejnych latach co najmniej raz na 3 miesiące (u kobiet w ciąży oraz połogu co miesiąc):

- 1) badanie moczu (białkomocz, erytrocyturia);
- 2) morfologia (Hb, liczba płytek).

<p>a) Zespół Koordynacyjny ds. leczenia aHUS podejmuje decyzje o kontynuacji leczenia ekulizumabem u chorych z wysokim ryzykiem nawrotu choroby;</p> <p>b) Zespół Koordynacyjny podejmuje decyzję o możliwości czasowego przerwania podawania ekulizumabu u chorych z niskim ryzykiem nawrotu choroby, u których uzyskano remisję objawów i powrót prawidłowej funkcji narządów wewnętrznych;</p> <p>3) Lekarz prowadzący może podjąć decyzję o czasowym zawieszeniu w podawaniu leku u kobiet ciężarnych lub karmiących piersią, zgodnie z ChPL, jeżeli dalsze leczenie nie jest bezwzględnie konieczne – lekarz prowadzący informuje Zespół Koordynacyjny o czasowym zawieszeniu oraz o ewentualnym wznowieniu leczenia;</p> <p>4) Chorzy, u których czasowo przerwano leczenie, wymagają systematycznej oceny nawrotu mikroangiopatii zakrzepowej;</p> <p>5) Chorzy, u których wystąpi nawrót choroby (określony na podstawie kryteriów włączenia punkt 1.1), będą ponownie włączani do podawania ekulizumabu na podstawie zgłoszenia lekarza prowadzącego do SMPT bez konieczności ponownej kwalifikacji przez Zespół Koordynujący.</p> <p>3. Kryteria wyłączenia</p> <p>1) brak efektu leczenia ekulizumabem (utrzymywanie się aktywnej mikroangiopatii zakrzepowej mimo 3 miesięcznego leczenia);</p> <p>2) wystąpienie ciężkich działań niepożądanych związanych z lekiem;</p> <p>3) nadwrażliwość na ekulizumab, białka mysie lub substancje pomocnicze;</p> <p>4) niestosowanie się pacjenta do zaleceń lekarskich;</p> <p>5) wycofanie przez pacjenta zgody na leczenie;</p> <p>W razie zakończenia leczenia u pacjenta z powodu zaistnienia ww. kryteriów wyłączenia, ponowne rozpoczęcie leczenia wymaga decyzji Zespołu Koordynującego.</p>		<p>4. Monitorowanie programu</p> <p>1) gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolera Narodowego Funduszu Zdrowia;</p> <p>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;</p> <p>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>
---	--	--