Załącznik B.95.

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

|  |
| --- |
| **ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO** |
|  |
| **ŚWIADCZENIOBIORCY** | **Schemat dawkowania** | **Badania diagnostyczne wykonywane w ramach programu** |
| 1. **Kryteria włączenia**

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.Do leczenia ekulizumabem kwalifikowani są pacjenci z atypowem zespołem hemolityczno-mocznicowym: * + 1. pacjenci z aHUS z następującymi objawami mikroangiopatii zakrzepowej:
1. trombocytopenia oraz hemoliza: liczba płytek <150 x 109/L lub > 25% spadek w stosunku do stanu wyjściowego i podwyższone stężenie LDH lub rozpad krwinek czerwonych (obecność schistocytów) lub niskie stężenie haptoglobiny lub anemia hemolityczna

lub1. biopsja tkankowa potwierdzająca mikroangiopatię zakrzepową

oraz1. związane z mikroangiopatią zakrzepową uszkodzenie narządów:
* zaburzenia czynności nerek potwierdzone poziomem kreatyniny w surowicy >górna granica normy dla wieku

lub hemodializa lub proteinuria lub albuminurialub* powikłania pozanerkowe wywołane mikroangiopatią tkankową, takie jak: powikłania sercowo-naczyniowe,

neurologiczne, żołądkowo-jelitowe lub płucnelub1. pacjenci z aHUS, u których stosowana jest plazmafereza/przetoczenie osocza;
	* 1. pacjenci z aHUS zakwalifikowani do przeszczepu nerki;
		2. u ww. grup pacjentów z aHUS wymagane są wyniki badań:
2. aktywność ADAMTS-13 >5%,
3. negatywny wynik badania STEC (Shiga-Toxin Escherichia coli) w teście (PCR) lub hodowli bakteryjnej;
	* 1. 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;
		2. wykonanie obowiązkowego szczepienia przeciw meningokokom, w przypadku konieczności wdrożenia leczenia przed upływem 2 tygodni po wykonaniu szczepienia przeciw menigokokom -profilaktyka antybiotykowa.
4. **Określenie czasu leczenia w programie**
5. Kryteria kwalifikacji i wyłączenia z programu określają czas leczenia w programie.
6. 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.
7. 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.
8. **Kryteria wyłączenia**
9. ciąża – jeśli dalsze leczenie nie jest bezwzględnie konieczne;
10. karmienie piersią;
11. wystąpienie ciężkich działań niepożądanych związanych z lekiem;
12. nadwrażliwość na ekulizumab, białka mysie lub substancje pomocnicze;
13. niestosowanie się pacjenta do zaleceń lekarskich;
14. wycofanie przez pacjenta zgody na leczenie.
 | 1. **Dawkowanie**

Dawkowanie preparatu ekulizumab zgodnie z aktualną Charakterystyką Produktu Leczniczego. | 1. **Badania przy kwalifikacji:**
2. aktywność ADAMTS13;
3. badanie STEC (PCR lub hodowla bakteryjna);
4. wykonanie badani potwierdzającego lub wykluczającego ciążę (u kobiet w wieku rozrodczym);
5. dehydrogenaza mleczanowa całkowita (LDH);
6. stężenie haptoglobiny (Hp) lub schistocyty;
7. morfologia krwi z rozmazem;
8. Test Coombsa;
9. aminotransferaza asparaginowa (AspAT);
10. aminotransferaza alaninowa (AlAT);
11. bilirubina całkowita;
12. bilirubina frakcje;
13. fosfataza alkaliczna;
14. badanie ogólne moczu;
15. stężenie kreatyniny;
16. stężenie mocznika;
17. stężenie kwasu moczowego;
18. w przypadku występowania u pacjentów:
19. objawów neurologicznych

- rezonans magnetyczny z angiografiąlub- tomografia komputerowa ośrodkowego układu nerwowego;1. objawów ze strony układu pokarmowego

- amylaza,- lipaza,- usg jamy brzusznej;1. objawów ze strony układu sercowo-naczyniowego:

- troponina T lub troponina I,lub- EKGlub - echo sercalub - cewnikowanie serca;1. przeciwciała przeciw czynnikowi H (anty CFH) – leczenie można wdrożyć w trakcie oczekiwania na wynik badania;
2. oznaczenie stężenia białek układu dopełniacza w surowicy i najczęstrzych mutacji genetycznych - leczenie można wdrożyć w trakcie oczekiwania na wynik badania.
3. **Monitorowanie leczenia**
4. W czasie leczenia początkowego (tj. przez pierwsze 4 tygodnie) monitorowanie leczenia obejmuje wkonywanie raz w tygodniu badań wyszczególnionych jako pozycje 4 - 17 w części badania przy kwalifikacji. Badanie wyszczególnione jako pozycja 18 – do decyzji lekarza prowadzącego.
5. Począwszy od 5 tygodnia monitorowanie leczenia opisane w pkt 1 odbywa się co 2 tygodnie.
6. Po upływie 3 miesięcy monitorowanie leczenia opisane w pkt 1 odbywa się raz w miesiącu.
7. Po upływie 1 roku leczenia monitorowanie leczenia opisane w pkt 1 odbywa się raz na 3 miesiące.
8. **Monitorowanie programu**

1) gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolera 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;1. 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.
 |