Załącznik B.123.

**LECZENIE PACJENTÓW Z CHOROBĄ WILSONA (ICD-10: E83.0)**

|  |
| --- |
| **ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO** |
| **ŚWIADCZENIOBIORCY** | **SCHEMAT DAWKOWANIA LEKU W PROGRAMIE** | **BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU** |
| Kwalifikacji świadczeniobiorców do terapii dokonuje Zespół Koordynujący ds. kwalifikacji i weryfikacji leczenia w programie leczenia choroby Wilsona.1. **Kryteria kwalifikacji**
	* 1. rozpoznanie choroby Wilsona;
		2. wiek ≥ 5 lat;
		3. w postaci neurologicznej, bezobjawowej lub skąpoobjawowej stwierdzona nietolerancja leczenia *D-penicylaminą* *i siarczanem cynku*;
		4. w postaci wątrobowej lub mieszanej z cechami istotnego uszkodzenia wątroby (hepato i/lub splenomegalia i/lub wydłużenie INR i/lub znaczny wzrost ALT i /lub cholestaza) stwierdzona nietolerancja leczenia *D-penicylaminą.*

Kryteria kwalifikacji 1), 2) i 3) lub 4) muszą być spełnione łącznie.1. **Określenie czasu leczenia w programie**

Leczenie trwa do czasu podjęcia przez lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia.1. **Kryteria wyłączenia**
	* 1. nadwrażliwość na substancję czynną lub którąkolwiek z substancji pomocniczych;
		2. wystąpienie ciężkich działań niepożądanych związanych z lekiem;
		3. niestosowanie się pacjenta do zaleceń lekarskich;
		4. ciąża – z wyłączeniem przypadków, gdy korzyści związane z leczeniem przeważają nad ryzykiem dla pacjentki oraz płodu;
		5. karmienie piersią;
		6. brak skuteczności leczenia, w tym brak poprawy neurologicznej, definiowany jako utrzymanie stanu w skali UWDRS po 6 – 12 miesiącach leczenia lub brak istotnej poprawy parametrów uszkodzenia wątroby po 6-12 miesiącach leczenia;
		7. poprawa kliniczna utrzymująca się przez co najmniej 6 miesięcy (w zakresie neurologicznym w skali UWDRS lub ustąpienie innych niż neurologiczne objawów choroby wraz z istotną poprawą parametrów definiujących czynność wątroby) powinna być podstawą do ponownej próby włączenia leczenia standardowego - brak ponownej próby włączenia leczenia standardowego wymaga uzasadnienia w historii choroby.
 | 1. **Dawkowanie**

Trientynę należy podawać zgodnie dawkowaniem określonym w aktualnej na dzień wydania decyzji o objęciu refundacją leku w tym programie Charakterystyce Produktu Leczniczego. | 1. **Badania przy kwalifikacji**
	* 1. badanie fizykalne;
		2. badanie neurologiczne (ocena stanu w skali UWDRS II i III, jeżeli obecne są zaburzenia neurologiczne);
		3. badanie oka w lampie szczelinowej w celu stwierdzenia obecności pierścienia Kaysera-Fleischera;
		4. badanie ogólne moczu;
		5. morfologia krwi obwodowej z rozmazem;
		6. stężenie miedzi wolnej, całkowitej i ceruloplazminy w osoczu, dobowe wydalanie miedzi z moczem;
		7. czas protrombinowy (PT);
		8. międzynarodowy współczynnik znormalizowany (INR);
		9. aminotransferaza asparaginowa (AspAT i alaninowa (AlAT);
		10. bilirubina całkowita i bezpośrednia;
		11. USG wątroby;
		12. MRI głowy, ocena obecności pierścienia Kayser Fleischera.
2. **Monitorowanie leczenia**

Badania przeprowadzane w pierwszym roku co 3 miesiące (w przypadku wskazań klinicznych monitorowanie może odbywać się częściej), w następnych latach co pół roku:* + 1. badanie fizykalne;
		2. badanie neurologiczne;
		3. badanie ogólne moczu;
		4. morfologia;
		5. stężenie miedzi wolnej, całkowitej i ceruloplazminy w osoczu, dobowe wydalanie miedzi z moczem;
		6. czas protrombinowy (PT);
		7. międzynarodowy współczynnik znormalizowany (INR);
		8. aminotransferaza asparaginowa (AspAT);
		9. aminotransferaza alaninowa (AlAT);
		10. bilirubina całkowita i bezpośrednia;
		11. USG wątroby.

Badania przeprowadzone raz w roku:* + 1. badanie pierścienia Kaysera Fleischera w lampie szczelinowej.

Ponadto w ramach monitorowania wykonuje się badanie MRI głowy w przypadku pogorszenia neurologicznego oraz przed zakończeniem leczenia.W szczególnych przypadkach np. chorób nerek, małych dzieci czy obawy o niestosowanie się pacjenta do zaleceń monitorowanie pacjenta może odbywać się z większą częstotliwością, a terminy wykonania badań laboratoryjnych należy dostosowywać do potrzeby.1. **Monitorowanie programu**
	* 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 elektronicznym systemie monitorowania programów lekowych (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.
 |