Załącznik B.112.

**LECZENIE CHORYCH NA MUKOWISCYDOZĘ (ICD-10: E84)**

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO** | | |
| **ŚWIADCZENIOBIORCY** | **SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE** | **BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE  W RAMACH PROGRAMU** |
| 1. **Kryteria kwalifikacji**   Do programu kwalifikowani są chorzy z potwierdzonym rozpoznaniem mukowiscydozy, którzy spełniają jednocześnie niżej przedstawione warunki:   * + - 1. pisemna zgoda pacjenta na udział w programie;       2. do leczenia iwakaftorem w monoterapii kwalifikowani są chorzy z potwierdzonym wystąpieniem jednej z poniżej wymienionych mutacji, w przynajmniej 1 allelu genu *CFTR*: mutacja bramkująca genu *CFTR* (klasy III): G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N lub S549R u chorych w wieku 12 miesięcy i starszych;       3. do leczenia lumakaftorem w skojarzeniu z iwakaftorem kwalifikowani są chorzy w wieku co najmniej 2 lat z potwierdzonym wystąpieniem mutacji F508del genu *CFTR* na obu allelach;       4. do leczenia tezakaftorem/iwakaftorem w skojarzeniu z iwakaftorem kwalifikowani są chorzy w wieku co najmniej 6 lat homozygotyczni pod względem mutacji F508del lub heterozygotyczni pod względem mutacji F508del i mający jedną z następujących mutacji genu *CFTR*: P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G i 3849+10kbC→T;       5. do leczenia eleksakaftorem/ tezakaftorem /iwakaftorem w skojarzeniu z iwakaftorem kwalifikowani są chorzy w wieku co najmniej 12 lat homozygotyczni pod względem mutacji F508del genu *CFTR* lub heterozygotyczni pod względem mutacji F508del z mutacją o minimalnej wartości funkcji (MF) genu *CFTR*.   Ponadto do programu lekowego kwalifikowani są również pacjenci, którzy byli leczeni terapią modulatorami receptora CFTR w ramach innego sposobu finansowania terapii, pod warunkiem, że w chwili rozpoczęcia leczenia spełniali kryteria kwalifikacji do programu lekowego.   1. **Kryteria uniemożliwiające włączenie do programu**    * + 1. przeciwwskazania do udziału w programie wynikające z przeciwwskazań do stosowania określonych w Charakterystykach Produktów Leczniczych poszczególnych substancji czynnych ujętych w programie lekowym;        2. brak zgody na monitorowanie efektów klinicznych leczenia na podstawie danych zebranych przez świadczeniodawcę lub płatnika w systemach informatycznych (pacjent powinien zostać włączony do rejestru mukowiscydozy nie później niż 12 miesięcy od włączenia do programu). 2. **Określenie czasu leczenia w programie**   Leczenie trwa do czasu podjęcia przez lekarza prowadzącego, doświadczonego w leczeniu chorych z mukowiscydozą, decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu.   1. **Kryteria wyłączenia z programu**    * + 1. wystąpienie działań niepożądanych, które w opinii lekarza prowadzącego oraz zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego, którym prowadzona jest terapia, są przeciwwskazaniami do leczenia daną substancją czynną;        2. stan po przeszczepieniu płuc;        3. aktywność aminotransferazy alaninowej lub asparaginowej 5-krotnie większa od górnej granicy normy lub 3-krotnie większa od górnej granicy normy z jednoczesnym podwyższeniem stężenia bilirubiny 2-krotnie powyżej górnej granicy normy (po zmniejszeniu i ustabilizowaniu aktywności tych parametrów, można rozważyć powrót do leczenia, bez ponownej kwalifikacji chorego);        4. okresowe przerwanie leczenia lub modyfikacja dawki w przypadku wystąpienia interakcji z innymi lekami – zgodnie z ChPL poszczególnych produktów;        5. ciężkie zaburzenia funkcjonowania wątroby (klasa C w skali Childa-Pugha) – dotyczy wyłącznie terapii eleksakaftorem/ tezakaftorem /iwakaftorem w skojarzeniu z iwakaftorem;        6. ciąża, planowanie ciąży, karmienie piersią (wyłączenie czasowe, na okres trwania ciąży, planowania ciąży i karmienia piersią). (zalecenie wynika z braku wystarczających danych bezpieczeństwa; stosowanie jest możliwe, o ile lekarz prowadzący i pacjentka wyrażą na to zgodę);        7. wycofanie zgody na monitorowanie efektów klinicznych leczenia na podstawie danych zebranych przez świadczeniodawcę lub płatnika w systemach informatycznych;        8. uporczywe zaniedbywanie zaleceń terapeutycznych lekarza prowadzącego. | 1. **Dawkowanie**   Dawkowanie leków zgodnie z Charakterystykami Produktów Leczniczych aktualnych na dzień wydania decyzji refundacyjnych. | 1. **Badania przy kwalifikacji**    1. W okresie do 3 miesięcy przed rozpoczęciem leczenia:       * 1. test potowy;         2. badanie spirometryczne (u chorych, u których rozwój psychofizyczny i stan kliniczny gwarantuje prawidłowe przeprowadzenie testu);         3. aminotransferaza alaninowa;         4. aminotransferaza asparaginowa;         5. stężenie bilirubiny w surowicy krwi;         6. badanie mikrobiologiczne plwociny lub wymazu z gardła;         7. konsultacja okulistyczna u pacjentów <18rż.    2. W okresie do 12 miesięcy przed rozpoczęciem leczenia:       * 1. badanie obrazowe klatki piersiowej. 2. **Monitorowanie leczenia**    * + 1. test potowy po 6 i 12 miesiącach po rozpoczęciu leczenia, a następnie raz w roku;        2. badanie spirometryczne (u chorych u których rozwój psychofizyczny i stan kliniczny gwarantuje prawidłowe przeprowadzenie testu) po 6 i 12 miesiącach po rozpoczęcia leczenia, a następnie raz w roku;        3. badanie mikrobiologiczne plwociny lub wymazu z gardła po 6 i 12 miesiącach od rozpoczęcia leczenia, a następnie raz w roku;        4. aktywność aminotransferazy alaninowej i asparaginowej oraz bilirubiny po 3, 6, 9 i 12 miesiącach po rozpoczęciu leczenia, a następnie raz w roku;        5. konsultacja okulistyczna raz w roku u pacjentów <18rż;        6. pomiar ciśnienia tętniczego na każdej wizycie kontrolnej – dotyczy wyłącznie leczenia lumakaftorem w skojarzeniu z iwakaftorem. 3. **Monitorowanie programu**    * + 1. Gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ).        2. Uzupełnienie danych zawartych w rejestrze (SMPT) zgodnie z opisem programu i wymogami NFZ.        3. Przekazywanie informacji sprawozdawczo-rozliczeniowych do NFZ zgodnie z wymaganiami opublikowanymi przez NFZ.        4. Obecność, lub zarejestrowanie w ciągu 12 miesięcy od rozpoczęcia leczenia pacjenta w polskiej części Europejskiego Rejestru Mukowiscydozy oraz rzetelne i terminowe wprowadzanie danych wymaganych przez protokół Rejestru. |