Załącznik B.174.

**LECZENIE CHORYCH NA ATAKSJĘ FRIEDREICHA (ICD-10: G11.1)**

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO** | | |
| **ŚWIADCZENIOBIORCY** | **SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW  W PROGRAMIE** | **BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE  W RAMACH PROGRAMU** |
| Kwalifikacji świadczeniobiorców do terapii oraz ocenę skuteczności leczenia dokonuje Zespół Koordynacyjny ds. Leczenia chorych na ataksję Friedreicha, powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia.   1. **Kryteria kwalifikacji**   Do leczenia omaweloksolonem kwalifikowani są pacjenci spełniający łącznie poniższe kryteria:   * + - 1. wiek:16 lat i powyżej;       2. rozpoznanie ataksji Friedreicha potwierdzone badaniem genetycznym;       3. adekwatna wydolność narządowa określona na podstawie wyników badań laboratoryjnych krwi zgodnie z zapisami aktualnej ChPL;       4. brak istotnych chorób współistniejących stanowiących przeciwskazanie do terapii stwierdzonych przez lekarza prowadzącego w oparciu o aktualną ChPL;       5. wykluczenie ciąży lub karmienia piersią.   Ponadto do programu lekowego kwalifikowani są również pacjenci wymagający kontynuacji leczenia, którzy byli leczeni dotychczas w ramach innego sposobu finansowania terapii, za wyjątkiem trwających badań klinicznych, pod warunkiem, że w chwili rozpoczęcia leczenia omaweloksolonem spełniali kryteria kwalifikacji do programu lekowego.   1. **Określenie czasu leczenia w programie**   U pacjentów po ukończeniu 18 r.ż., leczenie trwa do momentu określonego kryteriami wyłączenia w pkt. 3. W szczególnych przypadkach, w których w przebiegu choroby udokumentowano istotne spowolnienie postępu dysfunkcji innych niż uwzględniane w skali mFARS, na wniosek ośrodka prowadzącego, Zespół Koordynacyjny ds. Leczenia chorych na ataksję Friedreicha może podjąć decyzję o kontynuacji leczenia.  U pacjentów przed ukończeniem 18 r.ż., leczenie trwa do momentu podjęcia decyzji przez Zespół Koordynacyjny ds. Leczenia chorych na ataksję Friedreicha.  Z powodu potwierdzonej ciąży oraz w okresie karmienia piersią, możliwe jest czasowe zawieszenie leczenia z możliwością powrotu do stosowanej terapii.  Po ukończeniu 18 r.ż. nie ma konieczności ponownej kwalifikacji pacjenta do programu po przeniesieniu leczenia do ośrodka dla dorosłych.  Pacjent będący w trakcie terapii, który ukończył 18 rok życia może kontynuować terapię w pediatrycznym ośrodku realizującym program lekowy do ukończenia 20 roku życia, po uzyskaniu indywidualnej zgody dyrektora wojewódzkiego oddziału NFZ.   1. **Kryteria wyłączenia z programu**    * + 1. brak skuteczności terapii definiowany jako pogorszenie o więcej niż 2 punkty średnio rocznie w skali mFARS potwierdzone w dwóch kolejnych ocenach rocznych z zaznaczeniem, że:        2. w szczególnych przypadkach, w których w przebiegu choroby udokumentowano istotne spowolnienie postępu dysfunkcji innych niż uwzględniane w skali mFARS, na wniosek ośrodka prowadzącego, Zespół Koordynacyjny ds. Leczenia chorych na ataksję Friedreicha może podjąć decyzję o kontynuacji leczenia,        3. nie dotyczy pacjentów przed ukończeniem 18 r.ż., u których leczenie trwa do momentu podjęcia decyzji przez Zespół Koordynacyjny ds. Leczenia chorych na ataksję Friedreicha;        4. pojawienie się przeciwwskazań do leczenia wymienionych w Charakterystyce Produktu Leczniczego;        5. wystąpienie chorób lub stanów, które w opinii Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia chorych na ataksję Friedreicha uniemożliwiają kontynuację leczenia;        6. wystąpienie działań niepożądanych, które w opinii Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia chorych na ataksję Friedreicha uniemożliwiają kontynuację leczenia;        7. wystąpienie nadwrażliwości na lek lub substancję pomocniczą uniemożliwiające kontynuację leczenia;        8. wystąpienie zagrażającej życiu albo nieakceptowalnej toksyczności pomimo zastosowania adekwatnego postępowania;        9. brak współpracy lub nieprzestrzeganie zaleceń lekarskich ze strony świadczeniobiorcy lub jego prawnych opiekunów w szczególności dotyczących okresowych badań kontrolnych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo leczenia. | 1. **Dawkowanie leku w programie**   Sposób podawania oraz ewentualne czasowe wstrzymania leczenia, prowadzone zgodnie z aktualną Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL) lub przyjętą praktyką kliniczną.  Maksymalna dawka to 150 mg omaweloksolonu raz na dobę. | 1. **Badania przy kwalifikacji:**    * + 1. oznaczenie stężenia aminotransferazy alaninowej;        2. oznaczenie stężenia aminotransferazy asparaginianowej;        3. oznaczenie stężenia bilirubiny we krwi;        4. oznaczenie stężenia glukozy i HbA1c we krwi;        5. lipidogram – oznaczenie cholesterolu całkowitego, cholesterolu frakcji LDL i HDL, triglicerydów;        6. badanie stężenia peptydu natriuretycznego typu B (BNP lub NT-pro-BNP);        7. elektrokardiografia (EKG);        8. echokardiografa (ECHO);        9. konsultacja kardiologiczna;        10. pomiar masy ciała;        11. test ciążowy (oświadczenie o stosowaniu skutecznej antykoncepcji w trakcie trwania terapii - u kobiet w wieku reprodukcyjnym);        12. konsultacja neurologiczna z oceną stopnia ciężkości choroby w skali mFARS wraz z określeniem wartości przy rozpoczynaniu leczenia.   Warunkiem kwalifikacji do programu jest posiadanie dokumentacji medycznej wraz z badaniem genetycznym na podstawie której postawiono rozpoznanie ataksji Friedreicha;   1. **Monitorowanie leczenia**   Raz w miesiącu, przez pierwsze 3 miesiące leczenia, a następnie okresowo, zależnie od wskazań klinicznych należy wykonać:   * + - 1. oznaczenie stężenia aminotransferazy alaninowej;       2. oznaczenie stężenia aminotransferazy asparaginianowej;       3. oznaczenie stężenia bilirubiny we krwi.   Co 6 miesięcy, w 1. roku leczenia i raz na 12 miesięcy od 2. roku leczenia należy wykonać:   * + - 1. lipidogram – oznaczenie cholesterolu całkowitego, cholesterolu frakcji LDL i HDL, triglicerydów;       2. badanie stężenia peptydu natriuretycznego typu B (BNP lub NT-pro-BNP);       3. pomiar masy ciała.   Raz na 12 miesięcy należy wykonać:   * + - 1. elektrokardiografia (EKG);       2. echokardiografa (ECHO);       3. konsultacja kardiologiczna.   Ocenę skuteczności na podstawie redukcji stopnia ciężkości choroby w skali mFARS wykonuje się co 6 miesięcy.  Na podstawie ww. badań w celu monitorowania skuteczności leczenia Zespół Koordynacyjny ds. Leczenia chorych na ataksję Friedreicha określa dla indywidualnego pacjenta wskaźniki odpowiedzi na leczenie, w tym:  - zmiana wyniku w skali mFARS w ciągu 12 miesięcy leczenia.  Dane gromadzone są w elektronicznym systemie monitorowania programów lekowych i analizowane przez Zespół Koordynacyjny ds. Leczenia chorych na ataksję Friedreicha, który podsumowuje wyniki leczenia w programie lekowym na koniec każdego roku.   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 dostępnym za pomocą aplikacji internetowej udostępnionej przez OW NFZ, z częstotliwością zgodną z opisem programu oraz na zakończenie leczenia; w tym przekazywanie danych dotyczących wskaźników efektywności:        3. wynik w skali mFARS przy rozpoczynaniu leczenia,        4. wynik w skali mFARS podczas oceny skuteczności;        5. 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. |