Załącznik B.112.

**LECZENIE MUKOWISCYDOZY (ICD-10 E84)**

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO** | | |
| **ŚWIADCZENIOBIORCY** | **SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE** | **BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE  W RAMACH PROGRAMU** |
| 1. **Kryteria kwalifikacji**   Do leczenia kwalifikowani są chorzy, spełniający łącznie wszystkie poniższe kryteria:   * + 1. potwierdzone rozpoznanie mukowiscydozy;     2. potwierdzone wystąpienie 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. regularna opieka ośrodka specjalizującego się w opiece nad chorymi na mukowiscydozę (minimum 3 udokumentowane konsultacje lekarskie w ciągu ostatnich 12 miesięcy);     4. pozytywna opinia minimum 2 lekarzy, w tym jednego z co najmniej 10-letnim doświadczeniem klinicznym w pracy z chorymi na mukowiscydozę.  1. **Kryteria uniemożliwiające włączenie do programu**    * 1. nadwrażliwość na iwakaftor lub jakąkolwiek substancję pomocniczą zawartą w leku;      2. stan po przeszczepieniu narządu;      3. ciąża, planowanie ciąży, karmienie piersią;      4. aktywność aminotransferazy alaninowej lub asparaginowej 5-krotnie większa od górnej granicy normy;      5. dziedziczna nietolerancja galaktozy, niedobór laktazy (typu Lapp) lub z zespół złego wchłaniania glukozy-galaktozy;      6. konieczność stosowania silnych induktorów izoenzymu CYP3A takich jak: ryfampicyna, ryfabutyna, fenobarbital, karbamazepina, fenytoina i ziele dziurawca;      7. brak zgody na monitorowanie efektów klinicznych leczenia na podstawie danych zebranych przez świadczeniodawcę lub płatnika w systemach informatycznych. 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 objawów nadwrażliwości na iwakaftor lub którykolwiek ze składników preparatu;      2. przeszczepienie narządu;      3. aktywność aminotransferazy alaninowej lub asparaginowej 5-krotnie większa od górnej granicy normy (po ustabilizowaniu aktywności tych enzymów na poziomie poniżej 5-krotności górnej granicy normy, można rozważyć powrót do leczenia, bez ponownej kwalifikacji chorego);      4. konieczność stosowania silnych induktorów izoenzymu CYP3A, takich jak : ryfampicyna, ryfabutyna, fenobarbital, karbamazepina, fenytoina i ziele dziurawca;      5. ciężkie zaburzenia funkcjonowania wątroby (klasa C w skali Childa-Pugha);      6. ciąża, planowanie ciąży, karmienie piersią (wyłączenie czasowe, na okres trwania ciąży, planowania ciąży i karmienia piersią);      7. wycofanie zgody na monitorowanie efektów klinicznych leczenia na podstawie danych zebranych przez świadczeniodawcę lub płatnika w systemach informatycznych. | **Dawkowanie**  Dawkowanie leku zgodnie z aktualnie obowiązującą Charakterystyką Produktu Leczniczego Kalydecona dzień wydania decyzji refundacyjnej. | 1. **Badania przy kwalifikacji**   W okresie do 3 miesięcy przed rozpoczęciem leczenia:   * + 1. test potowy;     2. badanie spirometryczne (u chorych, u których rozwój psychofizyczny gwarantuje prawidłowe przeprowadzenie testu);     3. aminotransferaza alaninowa;     4. aminotransferaza asparaginowa;     5. badanie mikrobiologiczne plwociny lub wymazu z gardła;     6. konsultacja okulistyczna.   W okresie do 12 miesięcy przed rozpoczęciem leczenia   * + 1. RTG klatki piersiowej.  1. **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 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 po 3, 6, i 12 miesiącach od rozpoczęcia leczenia, a następnie raz w roku;      5. konsultacja okulistyczna raz w roku. 2. **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. |