**LECZENIE DZIECI I MŁODZIEŻY CHORYCH NA GLEJAKA O WYSOKIM STOPNIU ZŁOŚLIWOŚCI (ICD-10: C71)**

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO** | | |
| **ŚWIADCZENIOBIORCY** | **SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW**  **W PROGRAMIE** | **BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE**  **W RAMACH PROGRAMU** |
| W programie finansuje się leczenie dzieci i młodzieży chorych na glejaka o wysokim stopniu złośliwości przy wykorzystaniu substancji czynnej dabrafenib w skojarzeniu z trametynibem.   1. **Kryteria kwalifikacji** 2. dzieci powyżej 1 roku życia i młodzież; 3. masa ciała co najmniej 8 kg; 4. glejak o wysokim stopniu złośliwości, zgodnie z klasyfikacją histologiczną WHO; 5. obecność mutacji BRAF V600E; 6. choroba nawrotowa lub z progresją/brakiem odpowiedzi na leczenie pierwszego rzutu. 7. chorzy, którzy otrzymali wcześniej przynajmniej jeden cykl leczenia radioterapią i (lub) chemioterapią 8. brak wcześniejszego leczenia dabrafenibem, trametynibem, inhibitorem RAF lub inhibitorami MEK/ERK; 9. obecność zmian możliwych do zmierzenia w celu przeprowadzenia obiektywnej oceny odpowiedzi na leczenie z zastosowaniem kryteriów oceny systemu RECIST 1.1 (lub RANO w przypadku nowotworów OUN) lub obecność policzalnych zmian niemierzalnych; 10. adekwatna wydolność narządowa określona na podstawie wyników badań laboratoryjnych krwi zgodnie z zapisami aktualnej na dzień wydania decyzji ChPL; 11. nieobecność istotnych schorzeń współistniejących lub stanów klinicznych stanowiących przeciwskazanie do terapii w oparciu o aktualną na dzień wydania decyzji ChPL; 12. wykluczenie ciąży i okresu karmienia piersią (dotyczy kobiet w wieku rozrodczym)   Kryteria kwalifikacji muszą być spełnione łącznie.  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 spełniali kryteria kwalifikacji do programu lekowego.   1. **Określenie czasu leczenia w programie:**   Leczenie trwa do czasu podjęcia przez lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia.  Pacjenci pełnoletni, którzy rozpoczęli leczenie w programie przed ukończeniem 18 roku życia mogą kontynuować terapię w programie pod warunkiem ustalenia przewagi korzyści nad ryzykiem w ocenie lekarza prowadzącego zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego oraz na podstawie wskaźników odpowiedzi na leczenie.   1. **Kryteria** **wyłączenia z programu**    * + 1. stwierdzenie progresji choroby potwierdzonej w badaniu przedmiotowym (jeśli z uwagi na charakter choroby taka ocena jest możliwa i miarodajna) lub obrazowym na podstawie kryteriów RECIST 1.1. (lub RANO w przypadku przerzutów w OUN);        2. wystąpienie nieakceptowalnej lub zagrażającej życiu toksyczności, pomimo zastosowania adekwatnego postępowania;        3. wystąpienie chorób lub stanów, które w opinii lekarza prowadzącego uniemożliwiają dalsze prowadzenie leczenia;        4. wystąpienie nadwrażliwości na *dabrafenibem lub trametynibem* lub na substancję pomocniczą;        5. okres ciąży lub karmienia piersią (dotyczy kobiet w wieku rozrodczym)        6. brak współpracy lub nieprzestrzeganie zaleceń lekarskich, w tym zwłaszcza okresowych badań kontrolnych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo leczenia ze strony świadczeniobiorcy lub jego prawnych opiekunów. | 1. **Dawkowanie**   Dawkowanie oraz sposób modyfikacji dawkowania należy prowadzić zgodnie z zapisami aktualnych Charakterystyk Produktów Leczniczych (ChPL).   1. **Modyfikacja dawkowania leku**   Szczegóły dotyczące sposobu podawania, ewentualnego czasowego wstrzymania leczenia oraz ewentualnego zmniejszania dawki leku zgodnie z aktualnymi Charakterystykami Produktu Leczniczego. | 1. **Badania przy kwalifikacji do leczenia:** 2. histologiczne potwierdzenie obecności glejaka o wysokim stopniu złośliwości 3. potwierdzenie mutacji BRAF V600E z użyciem zwalidowanej metody diagnostycznej; 4. morfologia krwi z rozmazem; 5. oznaczenie stężenia kreatyniny w osoczu; 6. oznaczenie aktywności aminotransferazy alaninowej we krwi; 7. oznaczenie stężenia bilirubiny całkowitej we krwi; 8. pomiar ciśnienia krwi; 9. badanie TK lub MR w zależności od sytuacji klinicznej;   Wstępne badania obrazowe muszą umożliwić późniejszą obiektywną ocenę odpowiedzi na leczenie wg aktualnych kryteriów RECIST lub RANO.   1. konsultacja dermatologiczna w kierunku zmian skórnych. 2. **Monitorowanie leczenia**   W trakcie leczenia nie rzadziej niż raz w miesiącu wykonuje się:   1. morfologię krwi z rozmazem; 2. oznaczenie stężenia kreatyniny w osoczu; 3. oznaczenie aktywności aminotransferazy alaninowej we krwi; 4. oznaczenie stężenia bilirubiny całkowitej we krwi; 5. pomiar ciśnienia krwi; 6. oznaczenie stężenia amylazy w surowicy krwi; 7. oznaczenie stężenia lipazy w surowicy krwi; 8. konsultację dermatologiczną w kierunku nowych zmian na skórze.   W trakcie leczenia nie rzadziej niż raz na trzy miesiące wykonuje się:   1. konsultację okulistyczną; 2. konsultację kardiologiczną.   Badania monitorujące bezpieczeństwo leczenia należy wykonać zawsze w przypadku wskazań klinicznych.   1. **Monitorowanie skuteczności leczenia**   W celu monitorowania skuteczności leczenia wykonywane są badania obrazowe TK lub MRI konieczne do oceny zmian według aktualnie obowiązujących kryteriów RECIST lub RANO.  Określenie odpowiedzi na leczenie powinno być wykonywane z wykorzystaniem metody identycznej do wykorzystanej podczas kwalifikowania do leczenia.  Badania wykonuje się co 14 – 18 tygodni.  Na podstawie ww. badań w celu monitorowania skuteczności stosowanych w ramach niniejszego programu terapii określa się indywidualnie dla każdego pacjenta wskaźniki odpowiedzi na leczenie, w tym:  - całkowitą (CR) lub częściową odpowiedź (PR) na leczenie;  - stabilizację (SD) lub progresję choroby (PD);  - całkowite przeżycie (OS) i czas do progresji (PFS).  **4. Monitorowanie programu:**   1. Ocena skuteczności 2. całkowita (CR) lub częściowa odpowiedź (PR) na leczenie; 3. stabilizacja (SD) lub progresja choroby (PD); 4. całkowite przeżycie (OS) i czas do progresji (PFS). 5. Ocena bezpieczeństwa 6. działania niepożądane. 7. Gromadzenie w dokumentacji medycznej danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ); 8. Uzupełnienie danych zawartych w elektronicznym systemie monitorowania programów lekowych dostępnym za pomocą aplikacji internetowej udostępnionej przez Oddział Wojewódzki NFZ z częstotliwością zgodną z opisem programu oraz na zakończenie leczenia, w tym przekazywanie danych dotyczących oceny skuteczności terapii zawartych w punkcie 3; 9. Przekazywanie informacji sprawozdawczo-rozliczeniowych do NFZ (informacje przekazuje się do NFZ w formie papierowej lub w formie elektronicznej zgodnie z wymaganiami opublikowanymi przez NFZ). |