Załącznik B.25.

**LECZENIE PACJENTÓW Z MUKOPOLISACHARYDOZĄ TYPU II (ZESPÓŁ HUNTERA) (ICD-10 E 76.1)**

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO** | | |
| **ŚWIADCZENIOBIORCY** | **SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE** | **BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU** | |
| Kwalifikacji świadczeniobiorców do terapii dokonuje Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrarzadkich powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia.  Kwalifikacja do programu oraz weryfikacja skuteczności leczenia odbywa się, co 6 miesięcy, w oparciu o ocenę stanu klinicznego świadczeniobiorcy oraz ocenę efektywności zastosowanej terapii.  W ramach programu lekowego udostępnia się terapie:   1. *idursulfazą*   zgodnie ze wskazanymi w opisie programu warunkami i kryteriami.   * 1. **Kryteria kwalifikacji**  1. mukopolisacharydoza typu II (MPS II) zdiagnozowana na podstawie udokumentowanego, znacznego deficytu aktywności enzymu sulfatazy iduronianu w surowicy lub leukocytach krwi obwodowej lub w fibroblastach skóry; 2. adekwatna wydolność narządowa określona na podstawie wyników badań laboratoryjnych umożliwiająca w opinii lekarza prowadzącego bezpieczne rozpoczęcie terapii; 3. brak przeciwskazań do stosowania leku zgodnie z aktualną Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL); 4. nieobecność istotnych schorzeń współistniejących lub stanów klinicznych stanowiących przeciwskazanie do terapii stwierdzonych przez lekarza prowadzącego w oparciu o aktualną ChPL.   Kryteria kwalifikacji muszą być spełnione łącznie.  Ponadto do programu lekowego kwalifikowani są również pacjenci wymagający kontynuacji leczenia, którzy **byli leczeni idursulfazą w ramach innego sposobu finansowania terapii,** za wyjątkiem trwających badań klinicznych tego leku, 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 Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrarzadkich lub lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia.   * 1. **Kryteria wyłączenia**  1. stwierdzenie braku skuteczności leczenia – weryfikację skuteczności leczenia dokonuje co 6 miesięcy Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrarzadkich, na podstawie nadesłanej karty monitorowania terapii; 2. znaczna progresja choroby pojawiająca się pomimo leczenia; 3. wystąpienie zagrażającej życiu albo nieakceptowalnej toksyczności pomimo zastosowania adekwatnego postępowania; 4. obecność poważnych wrodzonych anomalii lub chorób współistniejących, które w ocenie lekarza kwalifikującego do leczenia lub Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrarzadkich, mogą uniemożliwić poprawę stanu zdrowia świadczeniobiorcy; 5. okres ciąży lub karmienia piersią; 6. wystąpienie nadwrażliwości na lek lub substancję pomocniczą uniemożliwiające kontynuację leczenia; 7. brak współpracy lub nieprzestrzeganie zaleceń lekarskich, w tym zwłaszcza dotyczących okresowych badań kontrolnych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo leczenia ze strony świadczeniobiorcy lub jego prawnych opiekunów. | 1. **Dawkowanie**   Sulfataza iduronianu podawana jest w dawce 0,5 mg/kg masy ciała, co tydzień, w postaci dożylnego wlewu, trwającego ok. 3 godzin, który może być stopniowo skracany do 1 godziny, jeśli nie występują reakcje niepożądane związane z jego podaniem. | 1. **Badania przy kwalifikacji** 2. badanie molekularne w kierunku mukopolisacharydozy typu II; 3. układ krzepnięcia; 4. gazometria; 5. oznaczenie: AST, ALT, CK, bilirubina; 6. wydalanie glikozaminoglikanów z moczem; 7. poziom przeciwciał przeciwko sulfatazie iduronianu (badanie nie jest obligatoryjne); 8. parametry życiowe; 9. pomiary antropometryczne; 10. elektroencefalografia EEG; 11. elektrokardiografia EKG; 12. echokardiografia; 13. RTG klatki piersiowej; 14. USG jamy brzusznej; 15. MRI OUN z uwzględnieniem odcinka szyjnego kręgosłupa; 16. RTG kręgosłupa; 17. diagnostyka zespołu cieśni nadgarstka (EMG); 18. badanie pulmonologiczne (wydolność oddechowa, spirometria); 19. badanie audiometryczne; 20. badanie ortopedyczne, z oceną ruchomości stawów; 21. badanie okulistyczne; 22. badanie psychologiczne z określeniem ilorazu inteligencji lub rozwoju psychoruchowego u młodszych dzieci; 23. badanie narządu ruchu oraz funkcji motorycznych; 24. test 3/6 minutowego marszu; 25. test SF36. 26. **Monitorowanie leczenia**     1. **Badania wykonywane co 6 miesięcy:** 27. układ krzepnięcia; 28. gazometria; 29. oznaczenie: AST, ALT, CK, bilirubina; 30. wydalanie glikozaminoglikanów z moczem; 31. poziom przeciwciał przeciwko sulfatazie iduronianu (badanie nie jest obligatoryjne); 32. ocena parametrów życiowych; 33. pomiary antropometryczne; 34. elektroencefalografia EEG; 35. elektrokardiografia EKG; 36. echokardiografia; 37. USG jamy brzusznej; 38. badanie pulmonologiczne (wydolność oddechowa, spirometria); 39. badanie ortopedyczne, z oceną ruchomości stawów; 40. badanie narządu ruchu oraz funkcji motorycznych; 41. badanie psychologiczne z określeniem ilorazu inteligencji lub rozwoju psychoruchowego u młodszych dzieci; 42. test 3/6 minutowego marszu; 43. test SF36.     1. **Badania wykonywane co 12 miesięcy:** 44. RTG klatki piersiowej; 45. RTG kręgosłupa; 46. MRI OUN wskazane przede wszystkim w przypadku współistniejącego wodogłowia (w zależności od decyzji lekarza); 47. badanie audiometryczne; 48. badanie okulistyczne, z oceną dna oka; 49. diagnostyka zespołu cieśni nadgarstka (EMG).   Przedłużenie leczenia następuje, co 6 miesięcy, decyzją Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrarzadkich, na  podstawie nadesłanej karty monitorowania terapii.   1. **Monitorowanie programu** 2. gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia; 3. 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 skuteczności terapii tj.: *wynik badania psychologicznego (określenie ilorazu inteligencji lub rozwoju psychoruchowego u młodszych dzieci)* oraz *wynik w teście 3/6 minutowego marszu*; 4. przekazywanie informacji sprawozdawczo-rozliczeniowych do NFZ: informacje przekazuje się do NFZ w formie papierowej lub w formie elektronicznej, zgodnie z wymaganiami opublikowanymi przez NFZ. | |