wosorytyd

**LECZENIE PACJENTÓW W WIEKU ≥ 2 LAT Z ACHONDROPLAZJĄ, U KTÓRYCH NASADY KOŚCI DŁUGIEJ NIE SĄ ZAMKNIĘTE (ICD-10: Q77.4)**

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO** | | |
| **ŚWIADCZENIOBIORCY** | **SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW  W PROGRAMIE** | **BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE  W RAMACH PROGRAMU** |
| 1. **Kryteria kwalifikacji**   Kwalifikacji świadczeniobiorców do terapii dokonuje Zespół Koordynacyjny powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia.  Kwalifikacja do programu odbywa się w oparciu o ocenę stanu klinicznego pacjenta:   * + - 1. wiek od 2 do 17 lat;       2. achondroplazja potwierdzona za pomocą odpowiedniego badania genetycznego;       3. zgoda rodziców lub opiekunów;       4. osoby poruszające się i zdolne do stania bez pomocy;       5. u osób aktywnych seksualnie stosowanie wysoce skutecznej metody antykoncepcji.   Ponadto do programu lekowego kwalifikowani są również pacjenci, którzy byli leczeni w ramach innego sposobu finansowania terapii, pod warunkiem, że w chwili rozpoczęcia leczenia spełniali kryteria kwalifikacji do programu lekowego.   1. **Kryteria wyłączenia z programu**    * + 1. nadwrażliwość na substancję czynną lub którąkolwiek z substancji pomocniczych;        2. hipochondroplazja lub niskorosłość z powodu innego niż achondroplazja;        3. występowanie któregokolwiek z poniższych stanów zdrowia:           1. niedoczynność lub nadczynność tarczycy,           2. cukrzyca wymagająca insulinoterapii,           3. autoimmunologiczna choroba zapalna,           4. choroba zapalna jelit,           5. neuropatia autonomiczna,        4. historia dowolnego z poniższych stanów zdrowia:           1. niewydolność nerek zdefiniowana jako stężenie kreatyniny w surowicy > 2 mg/dl,           2. przewlekła anemia,           3. choroba serca lub naczyń;        5. występujący niestabilny stan, który może wymagać interwencji chirurgicznej podczas badania (w tym postępujący ucisk rdzenia kręgowego w odcinku szyjnym lub ciężki nieleczony bezdech senny);        6. zmniejszona prędkość wzrostu (< 1,5 cm/rok) w okresie ostatnich 6 miesięcy lub dowód zamknięcia płytki wzrostu (koniec proksymalny kości piszczelowej, koniec dystalny kości udowej);        7. leczenie hormonem wzrostu, insulinopodobnym czynnikiem wzrostu 1 (IGF-1) lub sterydami anabolicznymi w ciągu ostatnich 6 miesięcy lub leczenie dłuższe niż 6 miesięcy w dowolnym momencie;        8. leczenie doustnymi kortykosteroidami w ciągu ostatnich 12 miesięcy przez okres dłuższy niż 1 miesiąc (dopuszczalne jest przyjmowanie małych dawek wziewnych steroidów w przypadku astmy lub steroidów donosowych);        9. planowana lub spodziewana operacja wydłużenia kończyn w okresie badania. Pacjenci, u których wcześniej wykonano operację wydłużania kończyn, mogą zostać zakwalifikowani, jeśli operacja miała miejsce co najmniej 18 miesięcy przed badaniem, a gojenie zakończyło się bez następstw;        10. planowana lub spodziewana operacja związana z kością (tj. operacja obejmująca przerwanie kory kostnej, z wyłączeniem ekstrakcji zęba) w okresie badania. Pacjenci, którzy przebyli wcześniej operację związaną z kością, mogą zostać zakwalifikowani, jeśli operacja miała miejsce co najmniej 12 miesięcy przed badaniem, a gojenie jest zakończone bez następstw;        11. złamanie kości długich lub kręgosłupa w ciągu 6 miesięcy przed badaniem;        12. historia ciężkiego nieleczonego bezdechu sennego;        13. nowo rozpoczęte leczenie bezdechu sennego (np. CPAP lub operacja łagodząca bezdech senny) w ciągu ostatnich 2 miesięcy przed badaniem przesiewowym;        14. historia operacji stawu biodrowego lub nietypowej dysplazji stawu biodrowego;        15. historia klinicznie istotnego urazu stawu biodrowego w ciągu 30 dni przed badaniem przesiewowym;        16. historia zsunięcia się nasady głowy kości udowej lub jałowej martwicy głowy kości udowej;        17. nieprawidłowe wyniki w badaniu klinicznym stawu biodrowego lub ocenach obrazowych, które uznano za istotne klinicznie;        18. współistniejąca choroba lub stan, który z jakiegokolwiek powodu zakłócałby udział w leczeniu oraz stan lub okoliczność, która naraża pacjenta na wysokie ryzyko złego przestrzegania zaleceń terapeutycznych lub nieukończenia leczenia;        19. wcześniejsze leczenie wosorytydem (nie dotyczy pacjentów, którzy byli leczeni lumazyranem sodowym w ramach innego sposobu finansowania terapii, pod warunkiem, że w chwili rozpoczęcia leczenia spełniali kryteria kwalifikacji do programu lekowego). 2. **Określenie czasu leczenia w programie**    * + 1. leczenie powinno rozpocząć się najszybciej jak to możliwe po potwierdzeniu choroby;        2. leczenia należy zaprzestać po potwierdzeniu braku potencjału dalszego wzrostu wskazanego przez szybkość wzrostu < 1,5 cm/rok i zamknięcie nasad kości długich;        3. brak skuteczności leczenia stwierdzony przez Zespól Koordynacyjny. | 1. **Dawkowanie**   Objętość podawanego wosorytydu w zalecanej dawce zależy do masy ciała pacjenta i stężenia wosorytydu.  Zwykle dawka dobowa wynosi 15 µg/kg masy ciała. Z powodów praktycznych oraz w celu uwzględnienia zmian farmakokinetycznych związanych z masą ciała zaleca się dobową objętość wstrzyknięcia zgodną z wytycznymi zawartymi w Charakterystyce Produktu Leczniczego. | 1. **Badania przy kwalifikacji do leczenia**    * + 1. rozpoznanie achondroplazji powinno być potwierdzone za pomocą odpowiedniego badania genetycznego;        2. ocena wzrostu, masy ciała i obwodu talii (wskaźnik BMI i WHR), zalecane: ocena składu ciała metodą bioimpedancji;        3. pomiar ciśnienia tętniczego krwi;        4. morfologia krwi z rozmazem;        5. jonogram surowicy krwi (co najmniej stężenie Na, K i Ca);        6. ocena gospodarki węglowodanowej: oznaczenie stężenia glukozy na czczo i odsetka hemoglobiny glikowanej (HbA1c) lub test doustnego obciążenia glukozą - z oceną glikemii i insulinemii;        7. cena gospodarki lipidowej: ocena stężenia triglicerydów, całkowitego cholesterolu, frakcji HDL cholesterolu i LDL cholesterolu;        8. Oznaczenie stężenia TSH i FT4;        9. ocena jakości życia poprzez użycie odpowiedniego kwestionariusza quality of life (QoL);        10. inne badania i konsultacje w zależności od potrzeb. 2. **Monitorowanie leczenia**    * + 1. pacjentów należy monitorować i oceniać regularnie co 3–6 miesięcy w celu kontroli masy ciała i rozwoju fizycznego;        2. ocena masy ciała i obwodu talii (wskaźnik BMI i WHR), zalecane: ocena składu ciała metodą bioimpedancji;        3. pomiar ciśnienia tętniczego krwi;        4. jonogram surowicy krwi (co najmniej stężenie Na, K i Ca);        5. określenie odsetka HbA1c;        6. oznaczenie stężenia TSH i FT4;        7. ocena stężenia triglicerydów, całkowitego cholesterolu, frakcji HDL cholesterolu i LDL cholesterolu;        8. ocena QoL (quality of life);        9. inne badania i konsultacje w zależności od potrzeb.   Weryfikacja skuteczności leczenia odbywa się w oparciu o w/w kryteria oraz ocenę stanu klinicznego pacjenta dokonywaną przez Zespół Koordynacyjny.   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 rejestrze (SMPT) dostępnym za pomocą aplikacji internetowej udostępnionej przez OW NFZ, z częstotliwością zgodną z opisem programu oraz na zakończenie leczenia;        3. przekazywanie informacji sprawozdawczo-rozliczeniowych do NFZ: informacje przekazuje się do NFZ w formie papierowej lub w formie elektronicznej, zgodnie z wymaganiami opublikowanymi przez NFZ. |