Załącznik B.86.

**LECZENIE PACJENTÓW Z WRODZONYMI ZESPOŁAMI AUTOZAPALNYMI (ICD-10: E85, R50.9, D89.8, D89.9)**

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO** | | |
| **ŚWIADCZENIOBIORCY** | **SCHEMAT DAWKOWANIA LEKU  W PROGRAMIE** | **BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE  W RAMACH PROGRAMU** |
| Kwalifikacji pacjentów do terapii dokonuje Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrarzadkich - Sekcja ds. Zespołów Autozapalnych i Obrzęku Naczynioruchowego powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia. Kwalifikacja do programu oraz weryfikacja skuteczności leczenia odbywa się w oparciu o analizę dokumentacji nadesłanej przez świadczeniodawcę.   1. **Kryteria kwalifikacji do leczenia w programie**   Wrodzone zespoły autozapalne:   * + - * 1. okresowe zespoły zależne od kriopiryny (CAPS, ang. Cryopyrin-Associated Periodic Syndromes), w tym:   noworodkowa zapalna choroba wieloukładowa (NOMID, ang. Neonatal-Onset Multisystem Inflammatory Disease), inna nazwa: przewlekły niemowlęcy zespół neurologiczno-skórno-stawowy (CINCA, ang. Chronic Infantile Neurological, Cutaneous, Articular Syndrome),  zespół Muckle-Wellsa (MWS, ang. Muckle-Wells Syndrome),  zespół rodzinnej pokrzywki indukowanej przez zimno (FCAS, ang. Familial Cold Autoinflammatory Syndrome);   * + - * 1. inne wrodzone zespoły autozapalne:   TRAPS i inne zespoły autozapalne mediowane przez IL-1,  FMF, po nieskuteczności leczenia maksymalną tolerowaną dawką kolchicyny;   * + - * 1. poligenowe zespoły autozapalne mediowane przez IL1:   zespól Schnitzler;   * + - * 1. amyloidoza wtórna, zależna od zmian autozapalnych.  1. **Określenie czasu leczenia w programie**   Leczenie trwa do czasu podjęcia przez Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrarzadkich - Sekcja ds. Zespołów Autozapalnych i Obrzęku Naczynioruchowego Sekcja Chorób Autozapalnych i Wrodzonego Obrzęku Naczynioruchowego lub lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia.   1. **Zakończenie leczenia w programie**   Zakończenie leczenia powinno nastąpić w przypadku spełnienia przynajmniej jednego z kryteriów określonych w pkt a-d:   * + - * 1. nieakceptowane działania niepożądane lub nadwrażliwość na anakinrę;         2. stwierdzenie nieskuteczności leczenia;         3. ciężka niewydolnością nerek (klirens kreatyniny < 30 ml/min.) - jeżeli jest to uzasadnione klinicznie w opinii Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrarzadkich - Sekcji ds. Zespołów Autozapalnych i Obrzęku Naczynioruchowego lub lekarza prowadzącego;         4. rezygnacja pacjenta z leczenia lub brak współpracy z pacjentem. | 1. **Dawkowanie**   Dawkę anakinry należy dostosować indywidualnie dla danego pacjenta zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego. | 1. **Badania przy kwalifikacji**    1. **Badania obowiązkowe**       * + 1. OB, CRP, surowiczy amyloid (SAA), prokalcytonia, ferrytyna,           2. morfologia krwi pełna z rozmazem,           3. układ krzepnięcia: APTT, INR, D-dimery, fibrynogen,           4. próby wątrobowe: AlAT, AspAT, GGTP,           5. kreatynina, mocznik w surowicy, klirens kreatyniny,           6. albuminy, proteinogram,           7. ocena ciśnienia tętniczego,           8. badanie ogólne moczu,           9. badania serologiczne w kierunku zakażeń HBV, HCV,           10. RTG klatki piersiowej,           11. USG jamy brzusznej.    2. **Badania opcjonalne, w zależności od wskazań klinicznych lub zgodnie z zaleceniami Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrarzadkich – Sekcji ds. Zespołów Autozapalnych i Obrzęku Naczynioruchowego lub lekarza prowadzącego**       * + 1. konsultacja laryngologiczna lub konsultacja laryngologiczna z badaniem słuchu,           2. konsultacja neurologiczna lub konsultacja neurologiczna z badaniem obrazowym (USG OUN lub MRI OUN),           3. badanie okulistyczne (odcinek przedni i dno oka),           4. ocena kardiologiczna lub ocena kardiologiczna z ECHO serca,           5. konsultacja stomatologiczna,           6. DZM na białko. 2. **Monitorowanie leczenia**   Weryfikacja skuteczności leczenia odbywa się co 6 miesięcy (lub w pierwszych 3 miesiącach w przypadku wątpliwości co do skuteczności terapii) od rozpoczęcia leczenia, w oparciu o ocenę stanu klinicznego pacjenta oraz ocenę efektywności zastosowanej terapii.  Decyzję o przedłużeniu lub zakończeniu leczenia podejmuje Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrarzadkich – Sekcja ds. Zespołów Autozapalnych i Obrzęku Naczynioruchowego na podstawie uzupełnionej i udostępnionej w systemie SMPT karty monitorowania terapii.   * 1. **Badania obowiązkowe**   Badania kontrolne w monitorowaniu leczenia wymienione w punktach a-g należy przeprowadzać nie rzadziej niż raz na 8 tygodni w pierwszych 6 miesiącach leczenia i nie rzadziej niż raz na 6 miesięcy w kolejnych:   * + - * 1. OB, CRP, surowiczy amyloid (SAA),         2. morfologia krwi pełna z rozmazem,         3. układ krzepnięcia: APTT, INR, D-dimery, fibrynogen,         4. próby wątrobowe: AlAT, AspAT, GGTP,         5. kreatynina, mocznik w surowicy, klirens kreatyniny,         6. badanie ogólne moczu, białko i mikroalbuminuria w moczu,         7. ocena ciśnienia tętniczego.   1. **Badania opcjonalne, w zależności od wskazań klinicznych lub zgodnie z zaleceniami Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrarzadkich – Sekcji ds. Zespołów Autozapalnych i Obrzęku Naczynioruchowego lub lekarza prowadzącego**   Badania kontrolne wymienione poniżej należy przeprowadzać nie rzadziej niż raz na 12 miesięcy w zależności od stwierdzanych u pacjenta objawów klinicznych oraz nieprawidłowości w badaniach dodatkowych stwierdzonych w trakcie kwalifikacji do leczenia:   * + - * 1. konsultacja laryngologiczna lub konsultacja laryngologiczna z badaniem słuchu,         2. konsultacja neurologiczna lub konsultacja neurologiczna z badaniem obrazowym (USG OUN lub MRI OUN),         3. badanie okulistyczne (odcinek przedni i dno oka).  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. |