Załącznik B.142.

**LECZENIE DOROSŁYCH PACJENTÓW Z ZESPOŁAMI MIELODYSPLASTYCZNYMI Z TOWARZYSZĄCĄ NIEDOKRWISTOŚCIĄ ZALEŻNĄ OD TRANSFUZJI (ICD-10: D46.1)**

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO** | | |
| **ŚWIADCZENIOBIORCY** | **SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW  W PROGRAMIE** | **BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU** |
| 1. **Kryteria kwalifikacji**   Do programu kwalifikowani są pacjenci w wieku 18 lat i powyżej, z:   * + - 1. anemią zależną od przetoczeń (≥2 jednostki kkcz w okresie 8 tygodni w ciągu 16 tygodni przed kwalifikacją do programu);       2. w przebiegu zespołów mielodysplastycznych o bardzo niskim, niskim lub pośrednim ryzyku wg R-IPSS;       3. z syderoblastami pierścieniowatymi (MDS-RS definiowane jest przy ≥15% syderoblastów pierścieniowatych lub ≥5% syderoblastów pierścieniowatych w przypadku obecności mutacji *SF3B1*);       4. u których wystąpiła niedostateczna odpowiedź na leczenie lekami stymulującymi erytropoezę, lub którzy nie kwalifikują się do takiego leczenia - zgodnie z aktualnie obowiązującymi wytycznymi;       5. jeśli do programu kwalifikowane są kobiety mogące zajść w ciążę muszą stosować skuteczną metodę antykoncepcji w trakcie leczenia i przez okres co najmniej 3 miesięcy po przyjęciu ostatniej dawki leku.   Wszystkie powyższe kryteria muszą być spełnione łącznie.  Ponadto do programu lekowego, w celu zapewnienia kontynuacji terapii, są kwalifikowani pacjenci z anemią zależną od przetoczeń w przebiegu zespołów mielodysplastycznych o bardzo niskim, niskim lub pośrednim ryzyku (wg R-IPSS), z syderoblastami pierścieniowatymi, leczeni luspaterceptem w ramach innego sposobu finansowania terapii, jeśli w momencie włączenia luspaterceptu spełnione były ww. kryteria kwalifikacji.   1. **Określenie czasu leczenia**   Leczenie trwa do czasu podjęcia przez lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu pacjenta z programu zgodnie z kryteriami zakończenia udziału w programie.   1. **Kryteria wyłączenia**    * + 1. brak odpowiedzi na leczenie ocenionej po 8 cyklach leczenia;   odpowiedź na leczenie definiuje się jako spełnienie co najmniej jednego z poniższych kryteriów:   * + - * 1. okres niezależności od przetoczeń kkcz ≥ 8 tyg.,         2. zmniejszenie o co najmniej 50% liczby jednostek przetoczonych przez okres min 8 tyg. względem analogicznego okresu przed włączenie pacjenta do programu,         3. poprawa stężenia hemoglobiny o ≥ 1,5 g/dl wykazana w ≥2 kolejnych pomiarach i utrzymanej przez ≥8 tyg. w porównaniu do średniej z 2 pomiarów w okresie 16 tygodni poprzedzających włączenie pacjenta do programu;       1. brak zmniejszenia zależności od przetoczeń po 3 cyklach leczenia przy maksymalnym poziomie dawki luspaterceptu;       2. nadwrażliwość na luspatercept lub którąkolwiek substancję pomocniczą;       3. wystąpienie toksyczności na nieakceptowalnym poziomie zgodnie z ChPL;       4. progresja choroby podstawowej (MDS);       5. ciąża;       6. odmowa stosowania przez kobiety mogące zajść w ciążę skutecznej metody antykoncepcji. | 1. **Dawkowanie**   Zalecana dawka początkowa luspaterceptu to 1,0 mg/kg m.c. raz na 3 tygodnie.  W przypadku pacjentów, którzy nie są niezależni od transfuzji czerwonych krwinek po podaniu co najmniej 2 kolejnych dawek w dawce początkowej wynoszącej 1,0 mg/kg m.c., dawka powinna zostać zwiększona do 1,33 mg/kg m.c.  Jeśli pacjenci nie są niezależni od transfuzji czerwonych krwinek po podaniu co najmniej 2 kolejnych dawek wynoszących 1,33 mg/kg m.c., dawka powinna zostać zwiększona do 1,75 mg/kg m.c.  Zwiększanie dawki nie powinno następować częściej niż co 6 tygodni (2 podania) i nie powinno przekraczać maksymalnej dawki wynoszącej 1,75 mg/kg m.c. co 3 tygodnie.  Szczegółowe informacje odnośnie dawkowania oraz jego modyfikacji zawarte są w aktualnym na dzień wydania decyzji dokumencie Charakterystyki Produktu Leczniczego (ChPL). | 1. **Badania dodatkowe przy kwalifikacji**    * + 1. morfologia krwi obwodowej z rozmazem;        2. oznaczenie mutacji *SF3B1* u chorych z obecnością syderoblastów pierścieniowatych ≥5% i ≤ 15%;        3. test ciążowy przed rozpoczęciem leczenia u kobiet mogących zajść w ciąże.   Badania powinny być wykonane w ciągu nie więcej niż 4 tygodni poprzedzających rozpoczęcie leczenia.   1. **Monitorowanie leczenia**    * + 1. morfologia krwi obwodowej przed każdym podaniem luspaterceptu. 2. **Monitorowanie programu**    * + 1. gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia;        2. uzupełnianie danych zawartych w Elektronicznym Systemie Monitorowania Programów Lekowych (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. |