Załącznik B.122.

**LECZENIE ZAPOBIEGAWCZE CHORYCH Z NAWRACAJĄCYMI NAPADAMI DZIEDZICZNEGO OBRZĘKU NACZYNIORUCHOWEGO O CIĘŻKIM PRZEBIEGU (ICD-10: D 84.1)**

|  |
| --- |
| **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.1. **Kryteria kwalifikacji**

Do programu kwalifikowani są pacjenci, którzy spełniają następujące kryteria:* + 1. Rozpoznany dziedziczny obrzęk naczynioruchowy (HAE) typu I lub typu II;
		2. Wiek od 12 roku życia;
		3. Udokumentowane, częste występowanie ciężkich ataków obrzęku naczynioruchowego - minimum 12 ataków (brzuch, krtań, gardło) z udokumentowanym użyciem leku ratunkowego w ciągu ostatnich 6 miesięcy.

Ponadto do programu lekowego kwalifikowani są również pacjenci powyżej 12 roku życia, którzy byli leczeni skutecznie lanadelumabem w ramach innego sposobu finansowania terapii (z wyjątkiem badań klinicznych), pod warunkiem, że w chwili rozpoczęcia leczenia spełniali kryteria kwalifikacji do programu lekowego.1. **Kryteria wyłączenia**

Kryterium wyłączenia z leczenia lanadelumabem jest spełnienie co najmniej jednego z niżej wymienionych kryteriów:* + 1. Ciąża lub karmienie piersią - lekarz prowadzący w porozumieniu z Zespołem Koordynacyjnym ds. Chorób Ultrarzadkich może podjąć decyzję o kontynuacji leczenia w przypadkach gdy przerwanie leczenia będzie nieść ze sobą wyższe ryzyko działań niekorzystnych, niż kontynuacja leczenia;
		2. Podczas 6 miesięcznej terapii średnia miesięczna występowania zagrażających życiu ataków nie zmniejszyła się o co najmniej 50% w stosunku do średniej częstości ataków w półrocznym okresie poprzedzającym leczenie;
		3. Wystąpienie objawów nadwrażliwości na lanadelumab lub którąkolwiek substancję pomocniczą.
1. **Określenie czasu leczenia w programie**

Ocenę skuteczności leczenia przeprowadza się po każdych pełnych 6 miesiącach terapii.Lekarz prowadzący podejmuje decyzję o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu.Do programu włączane są, bez konieczności ponownej kwalifikacji, pacjentki wyłączone z programu w związku z ciążą lub karmieniem piersią. | Dawka początkowa lanadelumabu to 300 mg podawane co 2 tygodnie.U pacjentów z dobrą kontrola choroby (brak objawów HAE prze więcej niż 6 miesięcy), w szczególności u tych z małą masą ciała, należy rozważyć redukcję dawki do 300 mg co 4 tygodnie.W razie nawrotu napadów dawka może być zwiększona do 300 mg co 2 tygodnie. | 1. **Badania przy kwalifikacji**
	* 1. Stężenia inhibitora C1 esterazy we krwi (co najmniej dwukrotny pomiar w odstępach minimum 4 tygodni);
		2. Aktywności inhibitora C1 esterazy we krwi – badanie wymagane gdy stężenie inhibitora C1 jest prawidłowe (co najmniej dwukrotny pomiar w odstępach minimum 4 tygodni);
		3. Stężenia składowej C4 dopełniacza (co najmniej dwukrotny pomiar w odstępach minimum 4 tygodni);
		4. Stężenia składowej C1q dopełniacza - badanie wymagane w przypadku ujemnego wywiadu rodzinnego (co najmniej dwukrotny pomiar w odstępach minimum 4 tygodni). Dotyczy pacjentów, u których pierwszy napad nastąpił powyżej 40 roku życia;
		5. Morfologia krwi;
		6. Badanie ogólne moczu;
		7. Czas kaolinowo-kefalinowy (APTT);
		8. Oznaczenie INR;
		9. Oznaczenie poziomu:
			1. aminotransferazy asparaginowej (AspAT),
			2. aminotransferazy alaninowej (AlAT),
			3. bilirubiny całkowitej;
		10. Próba ciążowa u kobiet w wieku rozrodczym.

Wyniki badań przedstawione w punktach 1, 2, 3 i 4 mogą zostać pobrane z dokumentacji medycznej pacjenta.1. **Monitorowanie leczenia**
	* 1. Morfologia krwi;
		2. Ocena częstości występowania ataków z określeniem lokalizacji i ciężkości, w tym wymagających leczenia ratunkowego;
		3. aminotransferazy AspAT i ALAT, bilirubina całkowita;
		4. Oznaczenie INR;
		5. Czas kaolinowo-kefalinowy (APTT).

Badania wykonuje się co 6 miesięcy. 1. **Monitorowanie programu**
	* 1. Gromadzenie w dokumentacji medycznej świadczeniobiorcy 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 Narodowy Fundusz Zdrowia.
 |