Załącznik B.81.

**LECZENIE MIELOFIBROZY PIERWOTNEJ ORAZ MIELOFIBROZY WTÓRNEJ W PRZEBIEGU CZERWIENICY PRAWDZIWEJ I NADPŁYTKOWOŚCI SAMOISTNEJ (ICD-10 D47.1)**

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO** | | |
| **ŚWIADCZENIOBIORCY** | **SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE** | **BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU** |
| Leczenie powiększenia śledziony związanego z chorobą lub objawów występujących u dorosłych pacjentów z pierwotnym włóknieniem szpiku (znanym zarówno jako przewlekłe idiopatyczne włóknienie szpiku), włóknieniem szpiku poprzedzonym czerwienicą prawdziwą lub włóknieniem szpiku poprzedzonym nadpłytkowością samoistną.  **1. Kryteria kwalifikacji**  1.1 Rozpoznanie:   1. pierwotnej mielofibrozy (PMF)   lub   1. mielofibrozy w przebiegu czerwienicy prawdziwej (Post-PV MF), lub 2. mielofibrozy w przebiegu nadpłytkowości samoistnej (Post-ET MF)   – zgodnie z kryteriami Światowej Organizacji Zdrowia z roku 2008 oraz IWGMRT (do rozpoznania wymagany jest wynik badania morfologii krwi obwodowej z rozmazem ocenionym mikroskopowo oraz wynik trepanobiopsji szpiku);  1.2 Pacjenci z grupy ryzyka:   1. pośredniego – 2   lub   1. wysokiego   – wg IPSS (ang. International Prognostic Scoring System);  1.3 Splenomegalia (powiększenie śledziony ≥5 cm poniżej lewego łuku żebrowego) w badaniu palpacyjnym oraz w badaniu ultrasonograficznym;  1.4 Pacjenci z liczbą płytek krwi > 50 tysięcy/µl;  1.5 Wystąpienie co najmniej 2 z 6 poniżej wymienionych objawów ogólnych ocenianych w skali MPN-SAF TSS:   1. poty nocne (≥4 pkt), 2. utrata masy ciała (>10% w okresie ostatnich 6 miesięcy) (≥4 pkt), 3. gorączka o nieznanej etiologii (>37,5°C) (≥4 pkt), 4. bóle kostne(≥4 pkt), 5. świąd (≥4 pkt), 6. zmęczenie (≥4 pkt);   1.6 Wiek: 18 lat i więcej;  1.7 Stan sprawności:   1. od 0 do 2, oceniany wg Eastern Cooperative Oncology Group   lub   1. od 1- 2 wg WHO   – w momencie włączenia do programu;  1.8 Brak wcześniejszej splenektomii;  1.9 Pacjenci bez współistniejących ciężkich chorób systemowych w zakresie układu sercowo-naczyniowego, nerek, wątroby – upośledzających istotnie stan ogólny pacjenta oraz ciężkich zakażeń bakteryjnych, wirusowych i grzybiczych;  1.10 Adekwatna wydolność narządowa określona na podstawie badań laboratoryjnych krwi:   1. wyniki badań czynności wątroby:    * stężenie bilirubiny całkowitej nieprzekraczające 2- krotnie górnej granicy normy (z wyjątkiem pacjentów z zespołem Gilberta),    * aktywność transaminaz (alaninowej i asparaginowej) w surowicy nieprzekraczające 2,5-krotnie górnej granicy normy, 2. stężenie kreatyniny nieprzekraczające 2-krotnie górnej granicy normy.   Kryteria kwalifikacji muszą być spełnione łącznie.  **2. Określenie czasu leczenia w programie:**  Leczenie trwa do czasu podjęcia przez lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu (+ dodatkowe 28 dni na odstawienie leku), zgodnie z kryteriami wyłączenia.  **3. Kryteria wyłączenia z programu**  3.1 Brak lub utrata odpowiedzi po leczeniu rozumiane jako:   1. brak jakiegokolwiek zmniejszenia w badaniu przedmiotowym powiększonej w momencie kwalifikacji śledziony – po 3 miesiącach leczenia, 2. brak zmniejszenia w badaniu USG powiększonej w momencie kwalifikacji śledziony, o co najmniej 25 % długości jej wyjściowego powiększenia (powyżej normy w danym ośrodku) – po 6 miesiącach leczenia lub 3. pojawienie się nowych lub nasilenie wyjściowych objawów ogólnych związanych z chorobą, wymienionych w kryteriach kwalifikacji do programu, ocenianych w skali MPN-SAF TSS – po:    * 3 miesiącach leczenia lub    * 6 miesiącach leczenia, lub    * każdych kolejnych 6 miesiącach leczenia;   3.2 Nieakceptowalna toksyczność, nieustępująca pomimo redukcji dawki leku i przerw w leczeniu według zasad określonych w Charakterystyce Produktu Leczniczego;  3.3 Transformacja w ostrą białaczkę;  3.4 Utrata uzyskanej odpowiedzi na terapię po każdych 6 miesiącach leczenia. | 1. **Dawkowanie ruksolitynibu:**   Dawkowanie leku odbywa się zgodnie z zasadami określonymi w Charakterystyce Produktu Leczniczego. | 1. **Badania przy kwalifikacji do leczenia ruksolitynibem**    1. badanie podmiotowe i przedmiotowe  ze szczególnym uwzględnieniem:       1. oceny wielkości śledziony,       2. masy ciała,       3. objawów ogólnych ocenianych przy użyciu formularza MPN-SAF TSS:    * poty nocne (≥4 pkt),    * utrata masy ciała (>10% w okresie ostatnich 6 miesięcy) (≥4 pkt),    * gorączka o nieznanej etiologii (>37,5°C) (≥4 pkt),    * bóle kostne (≥4 pkt),    * świąd (≥4 pkt),    * zmęczenie (≥4 pkt);    1. morfologia krwi z rozmazem ocenionym mikroskopowo;    2. aktywność transaminaz wątrobowych;    3. stężenie bilirubiny;    4. stężenie kreatyniny w surowicy;    5. trepanobiopsja szpiku, jeżeli nie była wykonana w okresie 6 miesięcy przed kwalifikacją;    6. USG jamy brzusznej z oceną wymiarów śledziony. 2. **Monitorowanie leczenia ruksolitynibem:**     1. badanie podmiotowe i przedmiotowe ze szczególnym uwzględnieniem:       1. oceny wielkości śledziony,       2. masy ciała,       3. objawów ogólnych ocenianych przy użyciu formularza MPN-SAF TSS:    * poty nocne (≥4 pkt),    * utrata masy ciała (>10% w okresie ostatnich 6 miesięcy) (≥4 pkt),    * gorączka o nieznanej etiologii (>37,5°C) (≥4 pkt),    * bóle kostne (≥4 pkt),    * świąd (≥4 pkt),    * zmęczenie (≥4 pkt);    1. morfologia krwi;    2. aktywność transaminaz wątrobowych;    3. stężenie bilirubiny;    4. stężenie kreatyniny w surowicy;    5. USG jamy brzusznej z oceną wymiarów śledziony.   Częstość wykonywania badań:   * 1. morfologia krwi i parametry biochemiczne:      1. co 2-4 tygodnie – do czasu ustabilizowania dawki ruksolitynibu, a następnie w zależności od wskazań klinicznych oraz zgodnie z zasadami określonymi w ChPL;      2. co 1-2 tygodnie przez 6 tygodni lub do czasu ustabilizowania funkcji wątroby – u pacjentów z niewydolnością wątroby;   2. wszystkie badania kontrolne:      1. po 3 miesiącach leczenia, następnie      2. po 6 miesiącach leczenia, następnie      3. nie rzadziej niż po każdych kolejnych 6 miesiącach leczenia.  1. **Monitorowanie programu**    1. gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawienie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia;    2. uzupełnianie 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. |