lumazyran sodu

**LECZENIE CHORYCH NA PIERWOTNĄ HIPEROKSALURIĘ TYPU 1 (ICD-10: E74.8)**

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO** | | |
| **ŚWIADCZENIOBIORCY** | **MAKSYMALNE DAWKOWANIE LEKÓW**  **I CZAS LECZENIA** | **BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE**  **W RAMACH PROGRAMU** |
| 1. **Kryteria kwalifikacji**    * + 1. potwierdzenie choroby PH1 badaniem molekularnym;        2. średnie dobowe wydalanie szczawianu z moczem ≥0,70 mmol / 24 godz. / 1,73 m2 na podstawie dobowej zbiórki moczu (DZM);        3. w przypadku przyjmowania witaminy B6 (pirydoksyny) – zachowanie stabilnego schematu przez co najmniej 90 dni;        4. pisemna świadoma zgoda pacjenta na leczenie. 2. **Kryteria stanowiące przeciwskazania do włączenia do programu**    * + 1. kliniczne objawy pozanerkowej oksalozy układowej;        2. klinicznie istotne nieprawidłowe wyniki badań laboratoryjnych (ALAT i AspAT > 2xULN; bilirubina całkowita >1,5xULN; INR > 1,5ULN);        3. zakażenie wirusem HIV lub WZW B lub WZW C;        4. GFR <30 ml/min/1,73 m2;        5. przeszczepienie nerki lub wątroby;        6. alergia na wiele leków, oligonukleotyd lub GaINAc (n-acetylogalaktozamina);        7. nietolerancja wstrzyknięć podskórnych;        8. ciąża, planowanie ciąży;        9. karmienie piersią;        10. odmowa stosowania antykoncepcji przez kobiety w wieku rozrodczym;        11. historia nadużywania alkoholu w ciągu ostatnich 12 miesięcy lub niemożność lub niechęć do ograniczenia spożycia alkoholu w trakcie leczenia;        12. uczestnictwo w innym badaniu klinicznym. 3. **Określenie czasu leczenia w programie**   Leczenie trwa do czasu podjęcia przez lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia.   1. **Kryteria wyłączenia z programu**    * + 1. nieprawidłowe wyniki badań laboratoryjnych (ALAT i AspAT > 2xULN; bilirubina całkowita >1,5xULN; INR > 1,5ULN);        2. brak odpowiedzi na terapię, tj. uzyskanie podczas leczenia:           1. GFR <30 ml/min/1,73 m2)           2. średniego dobowego wydalania szczawianu z moczem ≥0,70 mmol / 24 godz. / 1,73 m2        3. wystąpienie nadwrażliwości na lek;        4. ciąża;        5. karmienie piersią. | 1. **Dawkowanie**   Dawka produktu leczniczego Oxlumo obejmuje dawki nasycające podawane raz w miesiącu przez 3 miesiące, a następnie dawki podtrzymujące podawane po miesiącu od ostatniej dawki nasycającej, zależne od masy ciała:   * + - 1. masa ciała poniżej10 kg   dawka nasycająca 6 mg / kg m.c.  dawka podtrzymująca 3 mg / kg m.c. raz w miesiącu   * + - 1. masa ciała od 10 kg do mniej niż 20 kg   dawka nasycająca 6 mg / kg m.c.  dawka podtrzymująca 6 mg / kg m.c. raz na 3 miesiące   * + - 1. masa ciała 20 kg i więcej   dawka nasycająca 3 mg / kg m.c.  dawka podtrzymująca 3 mg / kg m.c. raz na 3 miesiące  Szczegółowe warunki stosowania są opisane w ChPL. | 1. **Badania przy kwalifikacji**    * + 1. pomiar wzrostu (pacjenci pediatryczni) i masy ciała;        2. pomiar parametrów życiowych (ciśnienie krwi, temperatura, częstość oddechów, tętno);        3. elektrokardiografia;        4. gazometria;        5. poziom hormonu folikulotropowego;        6. test ciążowy dla kobiet w wieku rozrodczym;        7. badanie DNA dla mutacji PH1/AGXT;        8. badania przesiewowe w kierunku HIV oraz HBV, HCV        9. kliniczna ocena laboratoryjna:           1. badanie krwi: morfologia krwi, sód, potas, BUN (mocznik we krwi), kreatynina i eGFR (formuła MDRD dla dorosłych lub formuła Bedside Schwartz dla dzieci), albumina, kwas moczowy, wapń, glukoza, pirydoksyna (witamina B6), białko całkowite, fosforan, chlorek, dwutlenek węgla, AST, ALT, ALP, bilirubina, czas protrombinowy, czas częściowej tromboplastyny po aktywacji, międzynarodowy współczynnik znormalizowany (INR);           2. badanie moczu: dobowa zbiórka moczu (zbiórka moczu wykonywana jest pod kątem oznaczenia wydalania szczawianów), barwa i przejrzystość moczu, pH, ciężar właściwy, białko, glukoza, ciała ketonowe, albumina, bilirubina, analiza mikroskopowa, azotyny, RBC (erytrocyty), urobilinogen, leukocyty;        10. USG nerek;        11. dodatkowe badania funkcji wątroby (jeśli jest potrzeba). 2. **Monitorowanie leczenia**    1. Wizyta w 1., 2., 3., 6., 7., 8., 9., msc. leczenia:       * 1. Test ciążowy u kobiet w wieku rozrodczym.    2. Na każdej wizycie (co około miesiąc do 24 msc., później co 6 msc.):       * 1. pomiar masy ciała;         2. oznaczenie parametrów życiowych (ciśnienie krwi, temperatura, częstość oddechów, tętno).    3. Na każdej wizycie przed podaniem leku (oprócz wizyt w 27. i 57. msc.), na wizycie pierwszej oraz w 6. msc. leczenia po podaniu leku:       * 1. badanie krwi: morfologia krwi, sód, potas, BUN (mocznik we krwi), kreatynina i eGFR (formuła MDRD dla dorosłych lub formuła Bedside Schwartz dla dzieci), albumina, kwas moczowy, wapń, glukoza, pirydoksyna (witamina B6), białko całkowite, fosforan, chlorek, dwutlenek węgla, AST, ALT, ALP, bilirubina, czas protrombinowy, czas częściowej tromboplastyny po aktywacji, międzynarodowy współczynnik znormalizowany (INR);         2. badanie moczu: dobowa zbiórka moczu z oznaczeniem szczawianów, barwa i przejrzystość moczu, pH, ciężar właściwy, białko, glukoza, ciała ketonowe, albumina, bilirubina, analiza mikroskopowa, azotyny, RBC (erytrocyty), urobilinogen, leukocyty.    4. Co około 6 miesięcy:       * 1. pomiar wzrostu (pacjenci pediatryczni).    5. Co około 3 miesiące do 12 msc. leczenia, później raz w roku:       * 1. elektrokardiografia.    6. Na wizycie w 6., 12., 24., 36., 48., 60. msc. leczenia:       * 1. USG nerek.    7. W razie potrzeby:       * 1. dodatkowe badania funkcji wątroby;         2. gazometria. 3. **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 rejestrze (SMPT) dostępnym za pomocą aplikacji internetowej udostępnionej przez OW NFZ, z częstotliwością zgodną z opisem programu oraz na zakończenie leczenia, w tym przekazywanie danych dotyczących wskaźników efektywności:           1. procentowe obniżenie stężenia szczawianów w dobowej zbiórce moczu od wartości początkowej (okres 6 miesięcy) skorygowane o masę ciała,           2. procentowa zmiana w wydalaniu szczawianu z moczem,           3. zmiana estymowanego współczynnika przesączania kłębuszkowego (eGFR);        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. |