



SPRAWOZDANIE Z PRZEBIEGU NEGOCJACJI REFUNDACYJNYCH

Produktu leczniczego **LIBMELDY** (*atidarsagen autotemcel*),
we wskazaniu:

Leczenie leukodystrofii metachromatycznej odznaczającej się dwuallelowymi mutacjami genu arylosulfatazy A prowadzącymi do zmniejszenia aktywności enzymatycznej ARSA, w przypadku: dzieci z późnymi niemowlęcymi albo wczesnymi młodzieńczymi postaciami choroby, bez objawów klinicznych choroby; dzieci z wczesną młodzieńczą postacią choroby, mogące nadal poruszać się samodzielnie, przed pojawieniem się zaburzenia funkcji poznawczej.



WARSZAWA, 16 MARCA 2023 ROKU

Wstęp

Komisja Ekonomiczna przeprowadziła negocjacje w sprawie ustalenia warunków refundacji produktu leczniczego **Libmeldy** (*atidarsagen autotemcel*) w leczeniu *leukodystrofii metachromatycznej odznaczającej się dwuallelowymi mutacjami genu arylosulfatazy A prowadzącymi do zmniejszenia aktywności enzymatycznej ARSA, w przypadku: dzieci z późnymi niemowlęcymi albo wczesnymi młodzieńczymi postaciami choroby, bez objawów klinicznych choroby; dzieci z wczesną młodzieńczą postacią choroby, z objawami klinicznymi choroby, mogącymi nadal poruszać się samodzielnie i przed pojawieniem się zaburzenia funkcji poznawczych.*

Negocjacje odbyły się w dniach 01.02.2023 r. i 28.02.2023 r. W okresie od dnia 6.02.2023r. do dnia 21.02.2023 r postępowanie na wiosek firmy zostało zawieszono. *Z uwagi na stanowisko wnioskodawcy przedstawione podczas negocjacji w dniu 28.02.2023 r. nie istniała konieczność zastosowania przepisu art. 36 ust. 5 ustawy o refundacji leków.*

Komisja działała kierując się zasadami gospodarności, rzetelności, obiektywizmu, legalizmu oraz równoważenia interesów świadczeniobiorców, wnioskodawców oraz płatnika świadczeń zdrowotnych. Pomimo przeprowadzenia dwóch tur negocjacji Komisja Ekonomiczna podjęła negatywną uchwałę w zakresie rekomendacji objęcia refundacją produktu leczniczego **Libmeldy** (*atidarsagen autotemcel*) na warunkach proponowanych przez wnioskodawcę.

Uchwała Komisji Ekonomicznej została podjęta z uwzględnieniem:

1. Opinii **Rady Przejrzystości nr 25/2022 z dnia 21 lutego 2022 r** w sprawie technologii lekowych ocenianych pod kątem uwzględnienia na wykazie technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności;
2. **opracowania analitycznego** oceny technologii w ramach **Funduszu Medycznego 14/2022 AOTMiT z 9 lutego 2022 r.**;
3. **CZN** uzyskanej w poszczególnych krajach UE i EFTA w ramach finansowania ze środków publicznych;
4. instrumentu dzielenia ryzyka (**RSS**) opartego o efekty kliniczne;
5. kosztu terapii przy zastosowaniu wnioskowanego preparatu w porównaniu z innymi możliwymi do zastosowania w danym wskazaniu terapiami/technologiami medycznymi oraz kosztami innych terapii genowych refundowanych w Polsce,
6. wpływu kosztu terapii produktem **Libmeldy** (*atidarsagen autotemcel*) na budżet płatnika publicznego;
7. wysokością **progu** uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość, ustalonego w wysokości **trzykrotności PKB** na jednego mieszkańca;
8. programu lekowego: „Leczenie dzieci z leukodystrofią metachromatyczną (ICD-10: E75.2).

Podstawowe informacje o technologii leczniczej

Leukodystrofia metachromatyczna to choroba genetyczna, która dotyka centralnego układu nerwowego. Ma ona znaczący wpływ na jakość życia dzieci z tą chorobą, ich rodzin i opiekunów. Postępuje szybko, z utratą mobilności i funkcji poznawczych, i powoduje wczesną śmierć. Możliwości leczenia są ograniczone do leczenia objawów i opieki wspomagającej.

Libmeldy (*atidarsagene autotemcel*) jest zalecany, w ramach swojego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu, jako opcja leczenia leukodystrofii metachromatycznej z dwuallelowymi mutacjami w genie arylosulfatazy A (ARSA), prowadzącymi do zmniejszenia aktywności enzymatycznej ARSA u dzieci, które mają późno niemowlęce lub wczesno młodzieńcze postacie choroby, bez objawów klinicznych, oraz dla dzieci, które mają wczesno młodzieńczą postać choroby, z wczesnymi oznakami lub objawami klinicznymi, a które mogą jeszcze chodzić samodzielnie i nie mają zaburzeń poznawczych.

Libmeldy zalicza się do tzw. terapii genowych. Decyzją wykonawczą **KE z 13.04.2007 r.** terapii tej nadano status leku sierocego. Lek posiada oznaczenie czarnego trójkąta, czyli produktu podlegającego dalszemu, dodatkowemu monitorowaniu oraz wymaga przedkładania okresowych raportów o bezpieczeństwie jego stosowania. Produkt **Libmeldy** przeznaczony jest do stosowania autologicznego i powinien być podany wyłącznie jednokrotnie. Produkt ten zawiera populację komórek wzbogaconą w autologiczne komórki CD34+, obejmującą krwiotwórcze komórki macierzyste i komórki progenitorowe (HSCP) transdukowane *ex vivo* za pomocą wektora lentiwirusowego kodującego gen ludzkiej arylosulfatazy.

Obecnie głównym sposobem leczenia objawów **MLD** jest najlepsza opieka wspomagająca, która obejmuje m.in. zarządzanie skurczami mięśni, infekcjami, stosowanie leków przeciwbólowych i uspakajających, oraz wspomaganie karmienia

Stosowanie leku **Libmeldy** niesie ze sobą ryzyko poważnych działań niepożądanych, nie tylko związanych z terapią genową, ale również związanych ze stosowaniem produktów leczniczych do mobilizacji krwi obwodowej i kondycjonowania mieloablacyjnego. Aktualnie nie ma danych pozwalających na stwierdzenie, czy efekt leczenia **Libmeldy** faktycznie nastąpi.

W raporcie **EMA (EPAR 2020)** wskazano zapadalność na MLD w populacji Unii Europejskiej na **1,1 na 100 tys.** żywych urodzeń.

Ocena siły interwencji

Skuteczność terapii **Libmeldy** przedstawiono na podstawie raportu **EMA (EPAR 2020)**, w którym głównym badaniem było badanie rejestracyjne **201222** – jednoramienne badanie fazy 1 i 2 fazy, którego wyniki dla części punktów końcowych zestawiono z grupą badania **TIGET**, o naturalnej historii przebiegu choroby (grupa nieleczona). Do badania włączono **9** uczestników z postacią późno niemowlęcą (LI-MLD) i **11** uczestników z postacią wczesną młodzieńczą (EJ-MLD). Równorzędnymi punktami końcowymi była poprawa aktywności **ARSA** oraz poprawa punktacji **GMFM**. W badaniu rejestracyjnym w zakresie pierwszorzędowych punktów nie były oceniane istotne klinicznie punkty końcowe, takie jak przeżycie całkowite czy jakość życia. Nie oceniano wyleczenia. Przeżycie oceniano w ramach drugorzędowych punktów końcowych, a jakość życia nie była oceniana bezpośrednio - większość punktów końcowych stanowiły punkty surogatowe.

Należy zaznaczyć, że nie jest możliwe określenie korelacji między przywróceniem normalnej aktywności ARSA, a korzyścią kliniczną dotyczącą zmniejszenia pogorszenia funkcji motoryki dużej. Nie ma również badań potwierdzających istnienie korelacji pomiędzy poziomem ARSA, a długością życia.

W opinii niektórych ekspertów GMFC-MLD nie wychwytuje wszystkich klinicznych oznak i objawów stanu choroby np. spastyczności czy dysfunkcji przewodu pokarmowego. Pacjenci w pełnej odpowiedzi powinni pozostać w GMFC-MLD 0 przez co najmniej 12 miesięcy. Pacjenci w stabilnej częściowej odpowiedzi powinni wykazywać spadek GMFC-MLD tylko w pierwszych 12 miesiącach leczenia.

Przygotowania do negocjacji

Przed przystąpieniem do negocjacji Komisja Ekonomiczna przeanalizowała cały dostępny materiał dotyczący sprawy, ze szczególnym uwzględnieniem skuteczności, bezpieczeństwa i warunków ekonomicznych, w tym dotyczących kosztów dostępnej, refundowanej opcji terapeutycznej w leczeniu leukodystrofii metachromatycznej.

Strategia realizowana przez zespoły negocjacyjne Komisji Ekonomicznej

Biorąc pod uwagę okoliczności opisane powyżej, wyniki przedstawionych badań klinicznych oraz zidentyfikowane obszary niepewności, przyjęto następujące założenia procesu negocjacyjnego:

1. Dążenie do zapewnienia leczenia produktem leczniczym **Libmeldy** pacjentów z późno niemowlęcą postacią choroby bez objawów, którzy mogą odnieść największe korzyści z zastosowanej terapii.
2. Prowadzenie leczenia w Polsce w kwalifikowanej placówce leczniczej.
3. Uzgodnienie sposobu oceny efektywności produktu **Libmeldy** poprzez referencję do rozwoju motorycznego i funkcji poznawczych.
4. Uzyskanie efektywnego kosztu leczenia produktem **Libmeldy** na poziomie zbliżonym do kosztów innych terapii genowych refundowanych w Polsce.
5. Osiągnięcie racjonalnych, akceptowalnych i mieszczących się w granicach rozsądku relacji pomiędzy uzyskiwanymi efektami leczenia produktem **Libmeldy** a ponoszonymi przez płatnika publicznego kosztami jego finansowania, przy uwzględnieniu wysokości prognozy uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanej o jakość, w wysokości trzykrotności PKB na jednego mieszkańca.

Propozycje Komisji Ekonomicznej stanowiły realizację przyjętej strategii negocjacyjnej. Komisja Ekonomiczna poszukiwała porozumienia równoważącego interes Wnioskodawcy i płatnika publicznego, które godziłoby zalety ocenianej technologii i założenia strategii negocjacyjnej przyjętej przez KE.

Negocjacje – ostatnia faza

W piśmie z 02 marca 2023 r. skierowanym do Komisji Ekonomicznej i zamieszczonym w Systemie Obsługi List Refundacyjnych (SOLR); wnioskodawca przedstawił następujące propozycje:

Propozycja wnioskodawcy (z pisma):

CZN - 14 000 000 zł oraz

- **CZN - 14 000 000 zł**

- Wnioskodawca wyraził zgodę na propozycję uzależnienia refundacji **Libmeldy** od utworzenia w Polsce kwalifikowanej i certyfikowanej placówki leczniczej.

Proponowana przez wnioskodawcę **CZN** w wysokości **14 000 000 zł** nie uległa zmianie w czasie dwóch tur negocjacji. W oświadczeniu firma przekazała informacje o refundacji produktu w trzech krajach UE i EFTA: Niemcy CZN = _____, Włochy CZN = _____, w Wielkiej Brytanii _____ natomiast zgodnie z danymi pozostającymi w dyspozycji Komisji Ekonomicznej (EURIPID) cena **Libmeldy** w Holandii (cena WP), gdzie lek nie jest refundowany, wynosi _____ co oznacza cenę wg kursu Europejskiego Banku Centralnego z dnia 09.03.2023 r. 1 EUR

Propozycja Komisji Ekonomicznej (ostatnie negocjacje):

- **CZN = 1 055 556 zł**, w **RSS CHBMAX = 992 592 zł**, tj. propozycja warunków cenowych i kosztowych porównywalnych do warunków innych terapii genowych refundowanych w Polsce.
- **RSS kliniczny**, jeśli oparty o wskaźniki rozwoju motorycznego i funkcji poznawczych (GMFC-MLD i IQ) to wskaźniki te nie mogą ulec pogorszeniu w stosunku do ich wartości przed rozpoczęciem leczenia. Komisja Ekonomiczna zgłosiła również zastrzeżenia do proponowanych wskaźników i możliwości ustalenia ich wartości w populacji niemowlęcej. KE sugerowała przyjęcie oceny skuteczności terapii w tej populacji o powszechnie stosowane tabele rozwoju populacji pediatrycznej
- Ograniczenie populacji we wskazaniu refundowanym do populacji dzieci z późno niemowlęcymi postaciami choroby bez objawów klinicznych choroby (Li-MLD), jako populacji mogącej odnieść największe korzyści zdrowotne;

Wynik negocjacji

Nie osiągnięto porozumienia w zakresie:

- ceny zbytu netto wnioskowanego produktu leczniczego,
- zastosowania instrumentu dzielenia ryzyka, polegającego na zmniejszeniu kosztu jednostkowego opakowania dla szpitala i płatnika (**CHB**),
- instrumentu dzielenia ryzyka opartego o wyniki kliniczne,
- świadczenia gwarantowanego objętego programem lekowym, tj. zawężenia, w stosunku do proponowanej, populacji objętej leczeniem.

Proponowana CZN terapii jest ceną wyższą od funkcjonujących w Niemczech i Włoszech w systemie refundacji i prawie wyższą od ceny w Holandii, gdzie terapia nie jest refundowana oraz jest ceną znacznie wyższą od CZN innych terapii genowych refundowanych w Polsce.

Zaproponowana cena efektywna pozostaje w rażącej dysproporcji do kosztów innych terapii genowych oraz przewyższa ponad próg efektywności kosztowej 175 926 zł (3 x PKB per capita, czyli przekracza poziom PKB/na mieszkańca.) i jest kosztem nieakceptowalnym.

Istniejące niepewności dotyczące skuteczności terapii oraz nieakceptowalne warunki cenowe i kosztowe uzasadniają negatywną rekomendację Komisji Ekonomicznej. Ponadto Komisja Ekonomiczna zauważa, że produkt leczniczy posiada warunkowe pozwolenia na dopuszczenie do obrotu, a także, iż obecnie na terenie UE funkcjonuje wyłącznie 5 ośrodków certyfikowanych do podania leku **Libmeldy** i propozycja Wnioskodawcy utworzenia ośrodka w Polsce, przy niewiadomym wyniku certyfikacji, nie może przesądzać o pozytywnym wydźwięku tego elementu oferty (obecnie w Polsce nie ma ośrodka, w którym można by zastosować terapię). Dodatkowo Komisja Ekonomiczna zauważa, iż w obowiązującym porządku prawnym nie jest możliwe doprowadzenie do finansowania ze środków publicznych tej terapii w Polsce (ze względu na brak certyfikowanego ośrodka), oraz nie jest możliwe zakontraktowanie świadczeniodawcy zagranicznego (NFZ nie zawiera umów poza granicami kraju).

Przyjęcie propozycji wnioskodawcy stanowiłoby naruszenie zasad statuowanych określonych przepisami §1 Zarządzenia Ministra Zdrowia z dnia 1 września 2011 r. w sprawie Komisji Ekonomicznej, w których wskazano, że Komisja realizuje zadania kierując się względami gospodarności, rzetelności, obiektywizmu, legalizmu oraz równoważenia interesów świadczeniobiorców, podmiotów, z którymi są prowadzone negocjacje oraz płatnika świadczeń zdrowotnych.

Mając na uwadze przepis art. 36 ust. 6 ustawy, tj. w przypadku wniosków, o których mowa w art. 24 ust. 1 pkt. 1b tego aktu normatywnego, w braku porozumienia z wnioskodawcą Komisja podjęła uchwałę negatywną w sprawie objęcia refundacją i ustalenia urzędowej ceny zbytu dla leku **Libmeldy** Tym samym **Komisja Ekonomiczna nie zarekomendowała Ministrowi Zdrowia objęcia** refundacją innowacyjnej technologii lekowej pod nazwą **Libmeldy** na zaproponowanych przez wnioskodawcę warunkach.

Biorąc pod uwagę warunki zawarte w ofercie Wnioskodawcy Komisja Ekonomiczna uznała, że oferta ta nie jest do zaakceptowania w świetle realiów polskiego systemu refundacyjnego, a zaprezentowany przez Wnioskodawcę poziom oczekiwań w zakresie kosztów finansowania tej terapii jest nieakceptowalnie daleki od możliwości polskiego płatnika i budżetu.



ZAŁĄCZNIK DO SPRAWOZDANIA

PROGRAM LEKOWY VER. WNIOSKODAWCY



LECZENIE DZIECI Z LEUKODYSTROFIĄ METACHROMATYCZNĄ (ICD-10: E75.2)

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE	BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU
<p>Kwalifikacji świadczeniobiorców do terapii dokonuje zespół koordynacyjny powołany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia.</p> <p>1. Kryteria kwalifikacji</p> <p>Do programu mogą być kwalifikowani pacjenci z rozpoznaną leukodystrofią metachromatyczną:</p> <p>A. odznaczającą się dwuallelowymi mutacjami genu arylosulfatazy A prowadzącymi do zmniejszenia aktywności enzymatycznej ARSA u których spełnione zostaną kryteria a albo b oraz kryterium 2.</p> <p>a. dzieci z późnymi niemowlęcymi (LI-MLD) albo wczesnymi młodzieńczymi (EJ-MLD) postaciami choroby, bez objawów klinicznych choroby, tj.:</p> <ul style="list-style-type: none"> ▪ u pacjenta z postacią LI choroby w przypadku braku opóźnień w uzyskaniu możliwości samodzielnego stania lub opóźnień w uzyskaniu możliwości samodzielnego chodzenia związanych z nieprawidłowymi objawami w badaniu neurologicznym; ▪ u pacjenta z postacią EJ choroby w przypadku braku neurologicznych objawów przedmiotowych lub podmiotowych choroby skutkujących upośledzeniem lub pogorszeniem czynności poznawczych, motorycznych lub behawioralnych (potwierdzonych w badaniu neurologicznym, ocenie umięjętności motoryki dużej i/lub w dostosowanych do wieku testach neuropsychologicznych); <p>b. dzieci z wczesną młodzieńczą postacią choroby:</p>	<p>1. Dawkowanie</p> <p>Produkt Libmeldy musi być podawany w wyspecjalizowanej placówce leczniczej, mającej doświadczenie w przeszczepianiu krwiotwórczych komórek macierzystych.</p> <p>Schemat dawkowania atidarsagenu autotemcel zgodnie z zapisami Charakterystyki Produktu Leczniczego.</p>	<p>1. Badania przy kwalifikacji do leczenia</p> <p>A. Badanie stężenie sulfatydów;</p> <p>B. ocena aktywności białka ARSA;</p> <p>C. potwierdzenie w badaniach genetycznych mutacji genu ARSA;</p> <p>D. ocena na podstawie pełnego badania neurologicznego, oceny funkcji motorycznych i neurokognitywnych i w sposób dostosowany do wieku pacjenta;</p> <p>E. morfologia krwi obwodowej z rozmazem;</p> <p>F. ocena funkcji wątroby (AlAT, AspAT, stężenie bilirubiny w surowicy);</p> <p>G. ocena funkcji nerek (stężenie kreatyniny w surowicy i klirens kreatyniny);</p> <p>H. EKG i ECHO₂.</p> <p>2. Badania przy kwalifikacji do podania (1-2 miesiące przed procedurą)</p> <p>A. test na HIV (przeciwciała anti-HIV w surowicy);</p> <p>B. oznaczenie markerów wirusa zapalenia wątroby typu B (HBsAg, anti-HBc, anti-HBs – w przypadku dodatnich anti-HBc wykonać HBV DNA);</p> <p>C. oznaczenie markerów wirusa zapalenia wątroby typu C (anti-HCV, HCV RNA – w przypadku dodatnich anti-HCV);</p> <p>D. oznaczenie parametrów krzepnięcia krwi (PT, aPTT, INR, fibrynogen, D-dimery);</p> <p>E. oznaczenie stężenia immunoglobuliny IgG₂.</p> <p>3. Monitorowanie leczenia</p> <p>3.1. Pacjentów należy dokładnie monitorować pod kątem potencjalnych zakażeń i zdarzeń związanych z użyciem ceownika.</p>

<ul style="list-style-type: none"> ▪ pacjent może samodzielnie chodzić, co oznacza, że uzyskał wynik w Systemie Klasyfikacji funkcji Motoryki Dużej Leukodystrofii metachromatycznej (GMFC-MLD) ≤ 1; ▪ IQ wynosi ≥ 85; <p>B. możliwość przeprowadzenia procedury autologicznego przeszczepienia krwiotwórczych komórek macierzystych (HSCT).</p> <p>2. Kryteria wykluczenia</p> <ol style="list-style-type: none"> A. zakażenie HIV; B. zapalenie wątroby typu B, C; C. choroby nowotworowe; D. obecność zmian cytogenetycznych typowych dla zespołów mielodysplastycznych/ostrej białaczki szpikowej; E. krańcowa wydolność narządowa lub jakakolwiek inna choroba ciężka, która uniemożliwia terapię u pacjenta; F. wcześniejsze leczenie terapią genową z krwiotwórczymi komórkami macierzystymi; G. przeprowadzony allogeniczny HSCT w ciągu ostatnich sześciu miesięcy i/lub obecność cech pozostalości komórek dawcy po allogenicznym HSCT; H. przyjmowanie antyretrowirusowych produktów leczniczych w okresie od co najmniej miesiąca przed mobilizacją lub pobraniem szpiku kostnego. <p>3. Kryteria wyłączenia z programu</p> <ol style="list-style-type: none"> A. wystąpienie nieodwracalnych, bezwzględnych przeciwskażeń do podania atidarsagenu. <p>4. Określenie czasu leczenia w programie</p> <p>U chorych można zastosować jednokrotne podanie atidarsagenu.</p>	<p>3.2. Monitorowanie parametrów życiowych przed rozpoczęciem infuzji, co około 10 min w trakcie infuzji oraz co godzinę przez 3 godziny po jej zakończeniu.</p> <p>3.3. Po zakończeniu infuzji należy zastosować standardowe procedury postępowania z pacjentami po przeszczepieniu HSPC. Należy utrzymywać stężenie immunoglobuliny G na poziomie powyżej 5 g/l, aby zapobiec potencjalnym zakażeniom późnym (występującym po upływie ponad 100 dni od leczenia) związanym z ciężką hipogammaglobulinemią, wynikającym z aferezy/poboru szpiku kostnego i kondycjonowania. Wszelkie produkty krwiopochodne, których podanie jest konieczne w ciągu 3 miesięcy po podaniu produktu Libmeldy, należy poddać napromienianiu.</p> <p>3.4. Nieprzyjęcie się przeszczepu neutrofilii to krótkotrwałe, ale potencjalnie istotne zagrożenie, definiowane jako niepowodzenie uzyskania bezwzględnej liczby neutrofilii wynoszącej >500 komórek/μl, z towarzyszącym brakiem przesłanek na regenerację szpiku kostnego (tj. szpiku hipokomórkowego) do dnia 60 po podaniu produktu Libmeldy. W przypadku nieprzyjęcia się przeszczepu należy podać zgodnie z lokalnymi standardami nietransdukowane, zapasowe komórki macierzyste.</p> <p>3.5. Należy monitorować pacjentów pod kątem przedmiotowych i podmiotowych objawów cytopenii przez co najmniej 6 tygodni od podania infuzji. W przypadku utrzymywania się cytopenii po upływie 6 do 7 tygodni, pomimo stosowania produktów leczniczych mobilizujących granulocyty, należy podać w infuzji nietransdukowane, zapasowe komórki macierzyste. Jeśli cytopenia utrzymuje się pomimo podania nietransdukowanych, zapasowych komórek macierzystych, należy rozważyć inne możliwości leczenia.</p> <p>3.6. Należy monitorować liczbę erytrocytów do momentu przyjęcia się przeszczepu tych komórek i uzyskania odnowy. Zgodnie z opinią lekarza i praktyką stosowaną w placówce należy podawać pomocnicze transfuze erytrocytów i płytek krwi. W przypadku wystąpienia objawów klinicznych sugerujących niedokrwistość należy bezzwłocznie rozważyć wykonanie badania morfologii krwi i innych, odpowiednich badań.</p> <p>3.7. Należy monitorować liczbę płytek krwi do momentu przyjęcia się przeszczepu tych komórek i uzyskania odnowy. Zgodnie z opinią</p>
---	---

		<p>lekarza i praktyką stosowaną w placówce należy podawać pomocnicze transfuzje płytek krwi.</p> <p>3.8. W czasie kondycjonowania, do momentu ustąpienia stresu metabolicznego u pacjenta, należy monitorować równowagę kwasowo-zasadową.</p> <p>3.9. Monitorowanie objawów zakażenia mykoplazmą.</p> <p>3.10. Należy monitorować czynność i budowę tarczycy w krótkim okresie po podaniu leczenia, a następnie zgodnie z koniecznością.</p> <p>3.11. Zaleca się prowadzenie monitorowania w kierunku AAA (triple A syndrome) przed zastosowaniem leczenia, w okresie od 1 do 2 miesięcy po podaniu terapii genowej, a następnie po 6 miesiącach, po roku, po 3, 5, 7, 9, 12 i 15 latach od zastosowania leczenia. W przypadku wystąpienia choroby lub znaczącej jej progresji zaleca się dodatkowe monitorowanie w kierunku AAA.</p> <p>4. Monitorowanie programu</p> <p>A. gromadzenie dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia;</p> <p>B. 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;</p> <p>C. przekazywanie informacji sprawozdawczo-rozliczeniowych do NFZ: informacje przekazuje się do NFZ w formie papierowej lub w formie elektronicznej, zgodnie z wymaganiami opublikowanymi przez NFZ.</p>
--	--	--