Załącznik B.95.

**LECZENIE ATYPOWEGO ZESPOŁU HEMOLITYCZNO-MOCZNICOWEGO (aHUS) (ICD-10 D 59.3)**

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO** | | |
|  | | |
| **ŚWIADCZENIOBIORCY** | **Schemat dawkowania** | **Badania diagnostyczne wykonywane w ramach programu** |
| 1. **Kryteria włączenia**   Podczas pierwszej kwalifikacji do programu oraz gdy jest to wskazane w opisie programu, udział pacjenta w programie wymaga uzyskania akceptacji za pośrednictwem aplikacji SMPT przez Zespół Koordynacyjny do Spraw Leczenia Atypowego Zespołu Hemolityczno-mocznicowego, powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia. Do czasu aktualizacji aplikacji SMPT, dopuszcza się udział pacjenta w programie na podstawie akceptacji Zespołu Koordynacyjnego do Spraw Leczenia atypowego zespołu hemolityczno-mocznicowego, uzyskanej w inny sposób niż za pośrednictwem aplikacji SMPT. Ponadto, gdy jest to zaznaczone w opisie programu, udział pacjenta może wymagać uzyskania indywidualnej zgody Zespołu, o którym mowa powyżej.  Do leczenia ekulizumabem kwalifikowani są pacjenci z atypowem zespołem hemolityczno-mocznicowym:   * + 1. pacjenci z aHUS z następującymi objawami mikroangiopatii zakrzepowej:  1. trombocytopenia oraz hemoliza: liczba płytek <150 x 109/L lub > 25% spadek w stosunku do stanu wyjściowego i podwyższone stężenie LDH lub rozpad krwinek czerwonych (obecność schistocytów) lub niskie stężenie haptoglobiny lub anemia hemolityczna   lub   1. biopsja tkankowa potwierdzająca mikroangiopatię zakrzepową   oraz   1. związane z mikroangiopatią zakrzepową uszkodzenie narządów:  * zaburzenia czynności nerek potwierdzone poziomem kreatyniny w surowicy >górna granica normy dla wieku   lub hemodializa  lub proteinuria  lub albuminuria  lub   * powikłania pozanerkowe wywołane mikroangiopatią tkankową, takie jak:  powikłania sercowo-naczyniowe,   neurologiczne,  żołądkowo-jelitowe  lub płucne  lub   1. pacjenci z aHUS, u których stosowana jest plazmafereza/przetoczenie osocza;    * 1. pacjenci z aHUS zakwalifikowani do przeszczepu nerki;      2. u ww. grup pacjentów z aHUS wymagane są wyniki badań: 2. aktywność ADAMTS-13 >5%, 3. negatywny wynik badania STEC (Shiga-Toxin Escherichia coli) w teście (PCR) lub hodowli bakteryjnej;    * 1. w przypadku kobiet w wieku rozrodczym wymagana jest zgoda na świadomą kontrolę urodzeń w czasie leczenia i w ciągu 5 miesięcy od zastosowania ostatniej dawki ekulizumabu;      2. wykonanie obowiązkowego szczepienia przeciw meningokokom, w przypadku konieczności wdrożenia leczenia przed upływem 2 tygodni po wykonaniu szczepienia przeciw menigokokom -profilaktyka antybiotykowa. 4. **Określenie czasu leczenia w programie** 5. Kryteria kwalifikacji i wyłączenia z programu określają czas leczenia w programie. 6. Zespół koordynacyjny ds. Leczenia Atypowego Zespołu Hemolityczno-mocznicowego podejmuje decyzje o możliwości czasowego przerwania profilaktycznego leczenia ekulizumabem po 6 miesiącach leczenia u chorych z niższym ryzykiem nawrotu choroby, u których uzyskano remisję objawów i powrót prawidłowej funkcji narządów wewnętrznych. 7. Chorzy, u których konieczne jest ponowne włączenie leczenia po decyzji Zespołu koordynacyjnego ds. Leczenia Atypowego Zespołu Hemolityczno-mocznicowego będą włączani do programu bez konieczności ponownej kwalifikacji. 8. **Kryteria wyłączenia** 9. ciąża – jeśli dalsze leczenie nie jest bezwzględnie konieczne; 10. karmienie piersią; 11. wystąpienie ciężkich działań niepożądanych związanych z lekiem; 12. nadwrażliwość na ekulizumab, białka mysie lub substancje pomocnicze; 13. niestosowanie się pacjenta do zaleceń lekarskich; 14. wycofanie przez pacjenta zgody na leczenie. | 1. **Dawkowanie**   Dawkowanie preparatu ekulizumab zgodnie z aktualną Charakterystyką Produktu Leczniczego. | 1. **Badania przy kwalifikacji:** 2. aktywność ADAMTS13; 3. badanie STEC (PCR lub hodowla bakteryjna); 4. wykonanie badani potwierdzającego lub wykluczającego ciążę (u kobiet w wieku rozrodczym); 5. dehydrogenaza mleczanowa całkowita (LDH); 6. stężenie haptoglobiny (Hp) lub schistocyty; 7. morfologia krwi z rozmazem; 8. Test Coombsa; 9. aminotransferaza asparaginowa (AspAT); 10. aminotransferaza alaninowa (AlAT); 11. bilirubina całkowita; 12. bilirubina frakcje; 13. fosfataza alkaliczna; 14. badanie ogólne moczu; 15. stężenie kreatyniny; 16. stężenie mocznika; 17. stężenie kwasu moczowego; 18. w przypadku występowania u pacjentów: 19. objawów neurologicznych   - rezonans magnetyczny z angiografią  lub  - tomografia komputerowa ośrodkowego układu nerwowego;   1. objawów ze strony układu pokarmowego   - amylaza,  - lipaza,  - usg jamy brzusznej;   1. objawów ze strony układu sercowo-naczyniowego:   - troponina T lub troponina I,  lub  - EKG  lub  - echo serca  lub  - cewnikowanie serca;   1. przeciwciała przeciw czynnikowi H (anty CFH) – leczenie można wdrożyć w trakcie oczekiwania na wynik badania; 2. oznaczenie stężenia białek układu dopełniacza w surowicy i najczęstrzych mutacji genetycznych - leczenie można wdrożyć w trakcie oczekiwania na wynik badania. 3. **Monitorowanie leczenia** 4. W czasie leczenia początkowego (tj. przez pierwsze 4 tygodnie) monitorowanie leczenia obejmuje wkonywanie raz w tygodniu badań wyszczególnionych jako pozycje 4 - 17 w części badania przy kwalifikacji. Badanie wyszczególnione jako pozycja 18 – do decyzji lekarza prowadzącego. 5. Począwszy od 5 tygodnia monitorowanie leczenia opisane w pkt 1 odbywa się co 2 tygodnie. 6. Po upływie 3 miesięcy monitorowanie leczenia opisane w pkt 1 odbywa się raz w miesiącu. 7. Po upływie 1 roku leczenia monitorowanie leczenia opisane w pkt 1 odbywa się raz na 3 miesiące. 8. **Monitorowanie programu**   1) gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolera 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;   1. 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. |