

---

# SPRAWOZDANIE Z PRZEBIEGU NEGOCJACJI REFUNDACYJNYCH

---

Produktu leczniczego **OXLUMO** (*Iumazyran*),  
we wskazaniu:  
Leczenie chorych na pierwotną hiperoksalurię typu 1 (ICD-10: E74.8)



WARSZAWA, 02 GRUDNIA 2021 ROKU

## Wstęp

Komisja Ekonomiczna przeprowadziła negocjacje w sprawie ustalenia warunków refundacji produktu leczniczego **Oxlumo (lumazyran)**, we wskazaniu *Leczenie chorych na pierwotną hiperoksalurię typu 1 (ICD-10: E74.8)*.

Negocjacje odbyły się w dniach: 20.09.2021 r., 05.10.2021 r. oraz w dniu 19.10.2021 r. Komisja działała kierując się zasadami gospodarności, rzetelności, obiektywizmu, legalizmu oraz równoważenia interesów świadczeniobiorców, wnioskodawców oraz płatnika świadczeń zdrowotnych. Pomimo przeprowadzenia trzech tur negocjacji nie osiągnięto porozumienia. Komisja Ekonomiczna podjęła negatywną uchwałę w zakresie rekomendacji objęcia refundacją produktu leczniczego **Oxlumo (lumazyran)** na warunkach proponowanych przez wnioskodawcę.

Uchwała Komisji Ekonomicznej została podjęta z uwzględnieniem:

1. opinii Rady Przejrzystości nr 35/2021 z dnia 22 lutego 2021 r. w sprawie technologii lekových ocenianych pod kątem uwzględnienia na wykazie technologii lekových o wysokim poziomie innowacyjności;
2. opracowania analitycznego oceny technologii w ramach Funduszu Medycznego 014/2020 AOTMiT z 19 lutego 2021 r. wraz z opisem programu lekowego w brzmieniu określonym przez AOTMiT;
3. maksymalnej i minimalnej CZN na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej w okresie roku przed złożeniem wniosku dla danej wielkości opakowania i dawki;
4. maksymalnej i minimalnej CZN uzyskanej w poszczególnych krajach UE i EFTA w ramach finansowania ze środków publicznych w okresie roku przed złożeniem wniosku dla danej wielkości opakowania i dawki;
5. informacji o rabatach i upustach oraz porozumieniach cenowych w innych państwach UE i EFTA ujawnionych przez wnioskodawcę lub dostępnych w domenie publicznej;
6. kosztu terapii przy zastosowaniu wnioskowanego preparatu w porównaniu z innymi możliwymi do zastosowania w danym wskazaniu terapiami/ technologiami medycznymi, w tym dostępnymi lub refundowanymi w Polsce;
7. wpływu na budżet płatnika publicznego po uwzględnieniu 5% marży hurtowej i 8% podatku od towarów i usług;
8. wysokości progu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość ustalonego w wysokości trzykrotności PKB na jednego mieszkańca (obecne uwarunkowania refundacyjne) oraz sześciokrotności PKB na jednego mieszkańca (projekt nowelizacji ustawy refundacyjnej), podczas gdy art. 19 ust. 2 pkt 7 ustawy o refundacji *expressis verbis* wskazuje, że w toku negocjacji Komisja Ekonomiczna bierze pod uwagę wysokość progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jego jakość, ustalonego w wysokości trzykrotności Produktu Krajowego Brutto na jednego mieszkańca, o którym mowa w art. 6 ust. 1 ustawy z dnia 26 października 2000 r. o sposobie obliczania wartości rocznego produktu krajowego brutto, a w przypadku braku możliwości wyznaczenia tego kosztu - koszt uzyskania dodatkowego roku życia;
9. publikacji pt. „Still diagnosed too late and under-recognized? The first comprehensive report on primary hyperoxaluria in Poland”<sup>1</sup>.

---

<sup>1</sup> Autorzy artykułu: Przemysław Sikora, Marcin Zaniew, Ryszard Grenda, Katarzyna Jobs, Jacek Rubik, Jan Zawadzki, Marek Mysłak, Magdalena Durlik, Florian Erger, Beata Bieniaś, Bernd Hoppe, Bodo B. Beck; artykuł opublikowany w Polskie Archiwum Medycyny Wewnętrznej – grudzień 2020; 130 (12); źródło <https://www.researchgate.net/publication/346651162> dostęp on line w dniu 19 października 2021 r.

## Podstawowe informacje o technologii leczniczej <sup>2</sup>.

### CHARAKTERYSTYKA TECHNOLOGII MEDYCZNEJ

Produkt leczniczy, roztwór do wstrzykiwań, 94,5 mg/0,5 ml, 1 fiolka. Kod ATC: A16AX - Inne leki stosowane w chorobach przewodu pokarmowego i zaburzeniach metabolizmu. Produkt leczniczy **Oxlumo** ma status leku sierocego.

Zalecana dawka *lumazyranu* obejmuje dawki nasycające podawane raz w miesiącu przez 3 miesiące, a następnie dawki podtrzymujące. Dawkowanie ustala się w oparciu o masę ciała.

Produkt leczniczy **Oxlumo** jest wyłącznie do stosowania podskórnego i powinien być podawany przez fachowy personel medyczny.

Oxlumo jest stosowany w leczeniu pierwotnej hiperoksalurii typu 1 (ang. *primary hyperoxaluria type 1*, PH1) we wszystkich grupach wiekowych.

W międzynarodowej klasyfikacji rozpoznań ICD-10 pierwotna hiperoksaluria typu 1 znajduje się pod kodem E74.8 (oksaluria).

### OCENA POTRZEBY ZDROWOTNEJ

Zgodnie z danymi GBD z 2019 r. dla Polski brak jest szczegółowych danych dotyczących obciążenia PH1 w populacji, natomiast dane dla szerszej populacji (zaburzenia endokrynologiczne, metaboliczne, krwi i odporności) wskazują, że szacowany wskaźnik (na 100 tys.) utraty lat życia w pełnym zdrowiu w przypadku mężczyzn wynosi 43,39, a w przypadku kobiet 33,75.

W odnalezionych wytycznych (PTU 2018 i EAU 2020) nie wskazano na możliwość zastosowania terapii *lumazyranem*. Jednocześnie należy mieć na uwadze, że omawiany lek został zarejestrowany w listopadzie 2020 roku, natomiast najnowsze wytyczne opublikowane zostały w marcu 2020 r. Wytyczne polskie jako opcję terapeutyczną wskazują wymuszenie obfitej diurezy, ograniczenie spożycia szczawianów i regularne przyjmowanie wapnia. Zarówno w polskich jak i w europejskich wytycznych wskazano na możliwość stosowania pirydoksyny w celu obniżenia stężenia szczawianów w moczu, a także cytrynianów, które zmniejszają proces krystalizacji. Podsumowując odnalezione wytyczne, obecnie leczenie hiperoksalurii polega na przestrzeganiu odpowiedniej diety i stosowaniu pirydoksyny.

Zgodnie z odnalezionymi wytycznymi klinicznymi w leczeniu hiperoksalurii jedyną dostępną opcją terapeutyczną jest pirydoksyna, która wg obwieszczenia Ministra Zdrowia z 21.12.2020 r. nie jest na ten moment finansowana ze środków publicznych. Obecnie w Polsce zgodnie z Urzędowym Wykazem Produktów Leczniczych Dopuszczonych do Obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej, według stanu na dzień 1 stycznia 2020 r. (Dziennik Urzędowy Ministra Zdrowia z 2020, poz. 48) *pirydoksyna* jest dostępna w dwóch produktach leczniczych dostępnych bez recepty, z których tylko w jednym (Vitaminum B6 Teva), leczenie hiperoksalurii jest wskazaniem zarejestrowanym.

Przedmiotowe wskazanie nie było poddane wcześniejszej ocenie w AOTMiT.

### WIELKOŚĆ POPULACJI DOCELOWEJ

Częstość występowania PH1 szacuje się na około 1 na 120 000 żywych urodzeń, a występowanie wynosi od 1 do 3/1 000 000 w Ameryce Północnej i Europie. Decyzja o statusie leku sierocego została oparta na podstawie szacunkowej częstości występowania 0,05/10 000 osób w Unii Europejskiej. Uznano, że odpowiada to łącznie około 2600 osobom (w rejonie Europejskiej Wspólnoty Gospodarczej).

Oszacowana liczebność populacji kwalifikującej się do leczenia produktem **Oxlumo** wynosi od 38 do 114 pacjentów. Oszacowania przeprowadzono na podstawie danych dotyczących występowania choroby w Ameryce Północnej i Europie oraz ogólnej populacji Polski, dlatego należy je traktować z ostrożnością.

---

<sup>2</sup> za opracowaniem analitycznym AOTMiT Nr. 014/2020 z 19 lutego 2021 roku



## 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 dotyczący kosztów dostępnej opcji terapeutycznej w leczeniu chorych na pierwotną hiperoksalurię typu 1 (ICD-10: E74.8).

Propozycje Komisji Ekonomicznej stanowiły realizację przyjętej strategii negocjacyjnej, która wynikała zarówno z realizacji kryteriów wymienionych w art. 19 ust. 1 ustawy o refundacji (zgodnie z którymi mają być prowadzone negocjacje z wnioskodawcą), jak również realizacji obowiązku ustalenia w czasie negocjacji klinicznie istotnych punktów końcowych i ustalenia mechanizmów podziałów ryzyka opartych o wyniki kliniczne, zgodnie z art. 36 ust. 3 ustawy o refundacji. Komisja Ekonomiczna poszukiwała porozumienia równoważącego interes Wnioskodawcy i płatnika publicznego, które konsumowałoby właściwości technologii i przesłanki strategii negocjacyjnej

W trakcie procesu negocjacyjnego Komisja uwzględniła również niepewności wskazane w *opracowaniu analitycznym oceny technologii w ramach Funduszu Medycznego 014/2020 AOTMiT z 19 lutego 2021 r.*

## 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 **Oxlumo** wszystkich pacjentów spełniających kryteria włączenia do programu lekowego.
2. Uzgodnienie sposobu oceny efektywności produktu **Oxlumo**, poprzez referencję do istotnych punktów klinicznych umożliwiających określenie instrumentów podziału ryzyka opartego na wynikach klinicznych.
3. Uzyskanie efektywnego kosztu leczenia produktem **Oxlumo** dla pacjentów pozytywnie odpowiadających na leczenie.
4. Osiągnięcie racjonalnych, akceptowalnych i mieszczących się w granicach rozsądku relacji pomiędzy uzyskiwanymi efektami leczenia produktem **Oxlumo** a ponoszonymi przez płatnika publicznego kosztami

jego finansowania, przy uwzględnieniu wysokości progu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego 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

Podczas ostatniego spotkania negocjacyjnego w dniu 19 października 2021 r. wnioskodawca przedstawił następujące propozycje:

Propozycja wnioskodawcy:

## Propozycja Komisji Ekonomicznej (ostatnia tura negocjacji przeprowadzona w dniu 19 października 2021 r.) – dla programu lekowego opracowanego przez AOTMiT):

### 1. **CZN: 21.700,00 zł**

### 2. **RSS:**

- CHB nie wyższa niż 24.608,00 zł dla świadczeniodawców (wynikająca z sześciokrotności PKB) - za pacjenta skutecznie leczonego uznany miałby być pacjent, u którego stężenie szczawianów w dobowej zbiórce moczu nie przekracza Górnej Granicy Normy zapisanej w ChPL-u. Dodatkowo zespół zaproponował, aby badanie poziomu kwasu szczawowego prowadzone było co miesiąc w okresie od włączenia do programu do 6 miesiąca leczenia, a następnie w okresach trzy miesięcznych.
- zwrot kosztów leczenia następuje w okresie, w którym pacjent objęty jest programem i wystąpiła konieczność hospitalizacji lub innej interwencji medycznej z powodu hiperoksalurii typu 1 lub jej powikłań, lub kiedy poziom szczawianów w dobowej zbiórce moczu przekroczył górny poziom normy. Zwrot dotyczy środków wydatkowanych w okresie od ostatniego pomiaru poziomu szczawianów, czyli za okres 3 miesięcy.
- CAP w 1 roku obowiązywania decyzji na 135 fiolkach x CHB: 24.608,00 zł co statuuje poziom CAP-u na poziomie 3.322.080,00 zł, a w 2 roku obowiązywania decyzji na 288 fiolkach x CHB: 24.608,00 zł co daje poziom CAP-u na kwocie 7.087.104,00 zł, po przekroczeniu, którego każda następną fiolka **Oxlumo** będzie dostarczana po 1,08 zł.

## Wynik negocjacji

**NIE** osiągnięto porozumienia w zakresie:

- ceny zbytu netto wnioskowanego produktu leczniczego,
- **instrumentów dzielenia ryzyka: CHB oraz wartości i warunków płatności;**
- **świadczenia gwarantowanego objętego programem lekowym**, tj. nie uzgodniono treści programu lekowego w zakresie kryteriów włączenia i wyłączenia z programu lekowego, monitorowania leczenia, oceny skuteczności leczenia i monitorowania programu lekowego.

Wnioskodawca, w opinii Komisji Ekonomicznej, nie przedstawił RSS opartego o wyniki kliniczne i klinicznie istotne punkty końcowe, do czego był zobowiązany zgodnie z art. 36 ust. 3 ustawy o refundacji. Propozycja przedstawiona przez Wnioskodawcę jako tzw. RSS kliniczny, w ocenie KE nie spełnia wymagań ustawowych.

## Podsumowanie





Wnioskodawca nie wyraził zgody na zaproponowany przez Komisję Ekonomiczną instrument dzielenia ryzyka oparty o efekty kliniczne, który miałby polegać na zwrocie poniesionych kosztów w przypadku, w którym pacjent objęty jest programem i wystąpiła konieczność hospitalizacji lub innej interwencji medycznej z powodu hiperoksalurii typu 1 lub jej powikłań, lub w którym poziom szczawianów w dobowej zbiórce moczu przekroczył górny poziom normy. Zwrot dotyczy środków wydatkowanych w okresie od ostatniego pomiaru poziomu szczawianów czyli za okresie 3 miesięcy.

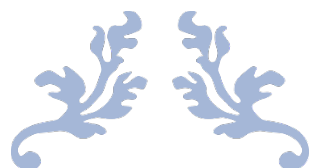
Ponadto Wnioskodawca w trakcie negocjacji nie wyraził zgody na przyjęcie opisu programu lekowego w brzmieniu opracowanym przez AOTMiT, zawierającym kryteria włączenia i wyłączenia zdefiniowane w oparciu o protokoły badań klinicznych Illuminate A i Illuminate B.

Propozycja wnioskodawcy, przedstawiona w piśmie z 12 września 2021 r., stanowiąca wynik negocjacji, nie równoważy interesu firmy interesem pacjentów i możliwościami finansowymi płatnika publicznego. Przyjęcie oferty wnioskodawcy na proponowanych warunkach skutkowałoby istotnym ograniczeniem możliwości finansowania innych terapii w chorobach rzadkich, co byłoby rażąco nieefektywne ekonomicznie. Brak efektywności cenowej i kosztowej terapii przewlekłej bez zdefiniowanych obiektywnych kryteriów jej zakończenia.

Oferta Wnioskodawcy stanowiąca wynik negocjacji nie równoważny interesu Wnioskodawcy interesem pacjentów i płatnika publicznego, a jej przyjęcie skutkowałoby istotnym ograniczeniem możliwości finansowania innych terapii, w tym w chorobach rzadkich i stanowiłoby naruszenie przepisów ustawy o refundacji dotyczących proggu efektywność kosztowej, jak również przepisów ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych gwarantujących równy dostęp do świadczeń.

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.

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 **Oxlumo**. Tym samym Komisja Ekonomiczna **NIE REKOMENDUJE OBJĘCIA** refundacją innowacyjnej technologii lekowej pod nazwą **Oxlumo** na zaproponowanych przez wnioskodawcę warunkach.



---

# ZAŁĄCZNIK DO SPRAWOZDANIA

---

PROGRAM LEKOWY





## LECZENIE CHORYCH NA PIERWOTNĄ HIPEROKSALURIĘ TYPU 1 (ICD-10: E74.8) <sup>3</sup>

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE	BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU
<p><b>1. Kryteria kwalifikacji</b></p> <ol style="list-style-type: none"><li>1) potwierdzenie choroby PH1 badaniem molekularnym;</li><li>2) średnie dobowe wydalanie szczawianu z moczem <math>\geq 0,70</math> mmol / 24 godz. / 1,73 m<sup>2</sup> na podstawie dobowej zbiórki moczu (DZM);</li><li>3) w przypadku przyjmowania witaminy B6 (pirydoksyny) – zachowanie stabilnego schematu przez co najmniej 90 dni;</li><li>4) pisemna świadoma zgoda pacjenta na leczenie;</li></ol> <p><b>2. Kryteria stanowiące przeciwwskazania do włączenia do programu</b></p> <ol style="list-style-type: none"><li>1) kliniczne objawy pozanerkowej oksalozji układukowej;</li><li>2) klinicznie istotne nieprawidłowe wyniki badań laboratoryjnych (ALAT i AspAT &gt; 2xULN; bilirubina całkowita &gt;1,5xULN; INR &gt; 1,5ULN);</li><li>3) zakażenie wirusem HIV lub WZW B lub WZW C;</li><li>4) GFR &lt;30 ml/min/1,73 m<sup>2</sup>;</li><li>5) przeszczepienie nerki lub wątroby;</li><li>6) alergia na wiele leków, oligonukleotyd lub GalNAc (n-acetylogalaktozamina);</li><li>7) nietolerancja wstrzyknięć podskórnych;</li><li>8) ciąża, planowanie ciąży;</li><li>9) karmienie piersią;</li></ol>	<p><b>1. Dawkowanie</b></p> <p>Dawka produktu leczniczego <b>Oxlumo</b> 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:</p> <ol style="list-style-type: none"><li>1) masa ciała poniżej 10 kg:<ul style="list-style-type: none"><li>▪ dawka nasycająca 6 mg/kg m.c.</li><li>▪ dawka podtrzymująca 3 mg/kg m.c. raz w miesiącu</li></ul></li><li>2) masa ciała od 10 kg do mniej niż 20 kg<ul style="list-style-type: none"><li>▪ dawka nasycająca 6 mg/kg m.c.</li><li>▪ dawka podtrzymująca 6 mg/kg m.c. raz na 3 miesiące</li></ul></li><li>3) masa ciała 20 kg i więcej<ul style="list-style-type: none"><li>▪ dawka nasycająca 3 mg/kg m.c.</li><li>▪ dawka podtrzymująca 3 mg/kg m.c. raz na 3 miesiące</li></ul></li></ol> <p>Szczegółowe warunki stosowania są opisane w ChPL</p>	<p><b>1. Badania przy kwalifikacji</b></p> <ol style="list-style-type: none"><li>1) pomiar wzrostu (pacjenci pediatryczni) i masy ciała;</li><li>2) pomiar parametrów życiowych (ciśnienie krwi, temperatura, częstość oddechów, tętno);</li><li>3) elektrokardiografia;</li><li>4) gazometria;</li><li>5) poziom hormonu folikulotropowego;</li><li>6) test ciążyowy dla kobiet w wieku rozrodczym;</li><li>7) badanie DNA dla mutacji PH1/AGXT;</li><li>8) badania przesiewowe w kierunku HIV oraz HBV, HCV;</li><li>9) kliniczna ocena laboratoryjna;<ul style="list-style-type: none"><li>▪ 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 znormalizow. współczynnik (INR);</li><li>▪ badanie moczu: dobowy 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</li></ul></li></ol>

<sup>3</sup> Wersja opracowana przez AOTMiT stanowiąca podstawę do procesu negocjacji

<p>10) odmowa stosowania antykoncepcji przez kobiety w wieku rozrodczym;</p> <p>11) historia nadużywania alkoholu w ciągu ostatnich 12 miesięcy lub niemożność lub niechęć do ograniczenia spożycia alkoholu w trakcie leczenia;</p> <p>12) uczestnictwo w innym badaniu klinicznym;</p> <p><b>3. Określenie czasu leczenia w programie</b> Leczenie trwa do czasu podjęcia przez lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia</p> <p><b>4. Kryteria wyłączenia z programu</b></p> <p>1) nieprawidłowe wyniki badań laboratoryjnych (ALAT i AspAT &gt; 2xULN; bilirubina całkowita &gt;1,5xULN; INR &gt; 1,5ULN);</p> <p>2) brak odpowiedzi na terapię, tj. uzyskanie podczas leczenia:</p> <p>a. GFR &lt;30 ml/min/1,73 m<sup>2</sup>)</p> <p>b. średniego dobowego wydalania szczawianu z moczem ≥0,70 mmol / 24 godz. / 1,73 m<sup>2</sup></p> <p>3) wystąpienie nadwrażliwości na lek</p> <p>4) ciąża;</p> <p>5) karmienie piersią</p>		<p>mikroskopowa, azotyny, RBC (erytrocyty), urobilinogen, leukocyty;</p> <p>10) USG nerek;</p> <p>11) dodatkowe badania funkcji wątroby (jeśli jest potrzeba);</p> <p><b>2. Monitorowanie leczenia</b></p> <p>2.1. Wizyta w 1., 2., 3., 6., 7., 8., 9., msc. leczenia:</p> <p>1) Test ciążowy u kobiet w wieku rozrodczym</p> <p>2.2. Na każdej wizycie (co około miesiąc do 24 msc., później co 6 msc.)</p> <p>1) pomiar masy ciała;</p> <p>2) oznaczenie parametrów życiowych (ciśnienie krwi, temperatura, częstość oddechów, tętno);</p> <p>2.3. Na każdej wizycie przed podaniem leku (oprócz wizyt w 27 i 57 msc.), na wizycie pierwszej oraz w 6 msc. leczenia po podaniu leku;</p> <p>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)</p> <p>2) badanie moczu: dobowy 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</p>
-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------	--	------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------

		<p>2.4. Co około 6 miesięcy</p> <ol style="list-style-type: none"><li>1) pomiar wzrostu (pacjenci pediatryczni);</li></ol> <p>2.5. Co około 3 miesiące do 12 msc. leczenia, później raz w roku;</p> <ol style="list-style-type: none"><li>1) elektrokardiografia;</li></ol> <p>2.6. Co około 3 miesiące do 12 msc. leczenia, później raz w roku</p> <ol style="list-style-type: none"><li>1) USG nerek</li></ol> <p>2.7. W razie potrzeby</p> <ol style="list-style-type: none"><li>1) dodatkowe badania funkcji wątroby</li><li>2) gazometria</li></ol> <p><b>3. Monitorowanie programu</b></p> <ol style="list-style-type: none"><li>1) gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia;</li><li>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:<ol style="list-style-type: none"><li>a. procentowe obniżenie stężenia szczawianów w dobowej zbiorce moczu od wartości początkowej (okres 6 miesięcy) skorygowane o masę ciała,</li><li>b. procentowa zmiana w wydalaniu szczawianu z moczem,</li><li>c. zmiana estymowanego współczynnika przesączania kłębuszkowego (eGFR);</li></ol></li><li>3) Przekazywanie informacji sprawozdawczo-rozliczeniowych do NFZ. Informacje przekazuje się do</li></ol>
--	--	------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------

		NFZ w formie papierowej lub w formie elektronicznej, zgodnie z wymaganiami opublikowanymi przez Narodowy Fundusz Zdrowia.
--	--	---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------