Załącznik B.129.FM.

**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**   Kwalifikacji świadczeniobiorców do terapii dokonuje Zespół Koordynacyjny powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia.  Kwalifikacja do programu odbywa się w oparciu o ocenę stanu klinicznego pacjenta:   * + - 1. potwierdzenie choroby PH1 badaniem molekularnym;       2. przewlekła choroba nerek w stadium I-III (eGFR>30 ml/min/1,73m2);       3. średnie dobowe wydalanie szczawianów z moczem ≥0,70 mmol /1,73 m2/24h;       4. brak efektywności terapii witaminą B6 (pirydoksyną) rozumianej jako redukcja dobowego wydalania szczawianów z moczem ≥ 30% w okresie co najmniej 3- miesięcznym;       5. pisemna świadoma zgoda pacjenta na leczenie; w przypadku pacjentów poniżej 18. roku życia – zgoda opiekuna prawnego.   Ponadto do programu lekowego kwalifikowani są również pacjenci, którzy byli leczeni w ramach innego sposobu finansowania terapii, pod warunkiem, że w chwili rozpoczęcia leczenia spełniali kryteria kwalifikacji do programu lekowego.   1. **Kryteria stanowiące przeciwskazania do włączenia do programu**    * + 1. eGFR < 30 ml/min/1,73m2;        2. klinicznie istotne nieprawidłowe wyniki badań laboratoryjnych (ALT i AST > 2xULN; bilirubina całkowita >1,5xULN; INR > 1,5ULN);        3. zakażenie wirusem HIV lub WZW B lub WZW C;        4. przeszczepienie nerki lub wątroby;        5. nietolerancja wstrzyknięć podskórnych;        6. ciąża;        7. karmienie piersią;        8. odmowa stosowania antykoncepcji przez kobiety w wieku rozrodczym;        9. historia nadużywania alkoholu w ciągu ostatnich 12 miesięcy lub niemożność lub niechęć do ograniczenia spożycia alkoholu w trakcie leczenia;        10. wcześniejsze leczenie lumazyranem sodowym (nie dotyczy pacjentów, którzy byli leczeni lumazyranem sodowym w ramach innego sposobu finansowania terapii, pod warunkiem, że w chwili rozpoczęcia leczenia spełniali kryteria kwalifikacji do programu lekowego). 2. **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 (ALT i AST > 2xULN; bilirubina całkowita >1,5xULN; INR > 1,5ULN);        2. brak skuteczności leczenia stwierdzony przez Zespól Koordynacyjny rozumiany jako brak redukcji wydalania szczawianów z moczem >30% w okresie pierwszych 6 miesięcy leczenia, w porównaniu do wartości wyjściowych;        3. osiągnięcie stadium IV lub V PChN (eGFR<30 ml/min/1,73m2);        4. wystąpienie nadwrażliwości na lek;        5. ciąża;        6. karmienie piersią;        7. zakażenie wirusem HIV lub WZW B lub WZW C. | 1. **Dawkowanie**   Stosowanie 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 poniżej 10 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 i masy ciała;        2. test ciążowy dla kobiet w wieku rozrodczym;        3. badanie DNA dla określenia mutacji genu AGXT;        4. badania przesiewowe w kierunku HIV oraz HBV, HCV;        5. ocena laboratoryjna:           1. co najmniej dwukrotna ocena dobowego wydalania szczawianów z moczem (mmol /1,73 m2/24h),           2. badania krwi: morfologia, kreatynina z oceną eGFR (formuła MDRD dla dorosłych lub wg Schwartz’a dla dzieci), mocznik, kwas moczowy, białko całkowite, albumina, AST, ALT, ALP, bilirubina, elektrolity (sód, potas, wapń, fosforany, chlorki), układ krzepnięcia (czas protrombinowy, czas częściowej tromboplastyny po aktywacji- APTT, międzynarodowy współczynnik znormalizowany- INR), gazometria krwi żylnej,           3. badanie ogólne moczu;        6. USG układu moczowego. 2. **Monitorowanie leczenia**   Po pierwszych sześciu miesiącach leczenia, lekarz dokonywać będzie oceny odpowiedzi pacjenta na leczenie.   * 1. Badania co 3 miesiące:      + 1. pomiar wzrostu (pacjenci pediatryczni) i masy ciała;        2. ocena laboratoryjna:           1. co najmniej dwukrotna ocena dobowego wydalania szczawianów z moczem (mmol /1,73 m2/24h),           2. badania krwi: morfologia, kreatynina z oceną eGFR (formuła MDRD dla dorosłych lub wg Schwartz’a dla dzieci), mocznik, kwas moczowy, białko całkowite, albumina, AST, ALT, ALP, bilirubina, elektrolity (sód, potas, wapń, fosforany, chlorki), układ krzepnięcia (czas protrombinowy, czas częściowej tromboplastyny po aktywacji- APTT, międzynarodowy współczynnik znormalizowany- INR), gazometria krwi żylnej,           3. badanie ogólne moczu,           4. USG układu moczowego, w przypadku uznania za konieczne przez lekarza prowadzącego.   Weryfikacja skuteczności leczenia odbywa się w oparciu o w/w kryteria oraz ocenę stanu klinicznego pacjenta dokonywaną przez Zespół Koordynacyjny.   1. **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. procentowa zmiana dobowego wydalania szczawianów z moczem (mmol/1,73m2/24h),           2. zmiana funkcji nerek za pomocą oceny współczynnika 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. |