Załącznik B.20.

**LECZENIE NISKOROSŁYCH DZIECI Z CIĘŻKIM PIERWOTNYM NIEDOBOREM IGF-1 (ICD-10 E 34.3)**

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO** | | |
| **ŚWIADCZENIOBIORCY** | **SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE** | **BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU** |
| Świadczeniobiorców do programu kwalifikuje, według standardów diagnozowania pacjentów z ciężkim pierwotnym niedoborem insulinopodobnego czynnika wzrostu-1, Zespół Koordynacyjny ds. Stosowania Hormonu Wzrostu powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia.  **1.Kryteria kwalifikacji**   1. skrajna niskorosłość, tj. wysokość ciała poniżej -3 SD w odniesieniu do płci i wieku, na siatkach centylowych dla populacji dzieci polskich; 2. stężenie IGF-1 poniżej -2,5 SDS w odniesieniu do płci i wieku; 3. prawidłowe stężenie GH (w teście krótkiego nocnego wyrzutu tego hormonu - co najmniej 5 pomiarów stężeń hormonu wzrostu, w uzasadnionych przypadkach poszerzone o wykonanie dwóch testów stymulacji sekrecji tego hormonu); 4. wykluczenie innych, aniżeli ciężki pierwotny niedobór IGF-1, przyczyn niskorosłości (niedokrwistość, choroby wątroby, niedoczynność tarczycy, zaburzenia wchłaniania i trawienia jelitowego, obciążenia dotyczące przebiegu ciąży i porodu, itp.); 5. rozpoznanie ciężkiego pierwotnego niedoboru IGF-1 potwierdzone testem generacji somatomedyn; 6. w przypadkach wątpliwych badania molekularne w kierunku rozpoznania mutacji w obrębie receptora hormonu wzrostu, mutacji genu kodującego syntezę IGF-1 lub promotora tego genu.   **2. Określenie czasu leczenia w programie**  Leczenie trwa do czasu podjęcia przez Zespół Koordynacyjny ds. Stosowania Hormonu Wzrostu lub lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia.  **3. Kryteria wyłączenia z programu lub czasowego zaprzestania terapii preparatem rhIGF-1**   1. nawracające, zagrażające życiu stany hipoglikemii; 2. złuszczenia głowy kości udowej; 3. pseudo-tumor cerebri; 4. ujawnienia lub wznowy choroby rozrostowej; 5. brak zgody pacjenta na kontynuację leczenia; 6. niezadowalający efekt leczenia, tj. przyrost wysokości ciała pacjenta leczonego za pomocą rhIGF-1 < 3 cm/rok; 7. osiągnięcie wieku kostnego: 8. powyżej 14 lat przez dziewczynkę, 9. powyżej 16 lat przez chłopca. | **1. Dawkowanie**  Mecaserminum podawane jest w dawce 0,04 - 0,12 mg/kg masy ciała dwa razy na dobę. | **1. Badania przy kwalifikacji**   1. pomiar stężenia IGF-1; 2. pomiar stężenia IGFBP3; 3. pomiar stężenia glukozy we krwi; 4. test obciążenia glukozą z pomiarem glikemii i insulinemii; 5. pomiar odsetka glikowanej hemoglobiny HbA1c; 6. pomiar stężenia TSH, pomiar stężenia fT4; 7. jonogram surowicy krwi (co najmniej pomiar stężenia Na+); 8. konsultacja laryngologiczna z audiogramem; 9. konsultacja kardiologiczna z USG układu sercowo-naczyniowego; 10. konsultacja okulistyczna (w zależności od potrzeb); 11. RTG śródręcza z bliższą przynasadą kości przedramienia (do oceny wieku kostnego); 12. obrazowanie ośrodkowego układu nerwowego (TK z kontrastem lub MRI).   **2. Monitorowanie leczenia**  **2.1** **30 dni po rozpoczęciu leczenia**   1. pomiar stężenia IGF-1; 2. pomiar stężenia IGFBP3; 3. pomiar stężenia glukozy we krwi; 4. test obciążenia glukozą z pomiarem glikemii i insulinemii   lub   1. pomiar odsetka glikowanej hemoglobiny HbA1c.   **2.2 Co 90 dni**   1. pomiar stężenia IGF-1; 2. pomiar stężenia IGFBP3; 3. pomiar stężenia glukozy we krwi.   **2.3 Co 180 dni**   1. pomiar stężenia TSH; 2. pomiar stężenia fT4; 3. jonogram surowicy krwi (co najmniej pomiar stężenia Na+); 4. pomiar odsetka glikowanej hemoglobiny HbA1c.   lub co 365 dni   1. test obciążenia glukozą z pomiarem glikemii i insulinemii   **2.5 Co 365 dni**   1. konsultacja laryngologiczna z audiogramem; 2. konsultacja kardiologiczna z USG układu sercowo-naczyniowego; 3. RTG śródręcza z bliższą przynasadą kości przedramienia (do oceny wieku kostnego); 4. obrazowanie ośrodkowego układu nerwowego (TK z kontrastem lub MRI) - w zależności od potrzeb.   **3. Monitorowanie programu**   1. gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia; 2. uzupełnienie danych zawartych w rejestrze (SMPT) dostępnym za pomocą aplikacji internetowej udostępnionej przez OW NFZ, nie rzadziej niż co 3 miesiące oraz na zakończenie leczenia; 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. |