Załącznik B.121.

**LECZENIE AMIFAMPRYDYNĄ PACJENTÓW Z ZESPOŁEM MIASTENICZNYM LAMBERTA-EATONA (ICD-10: G73.1)**

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO** | | |
| **ŚWIADCZENIOBIORCY** | **SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW  W PROGRAMIE** | **BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE  W RAMACH PROGRAMU** |
| Kwalifikacji świadczeniobiorców do terapii dokonuje Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrarzadkich powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia.  Kwalifikacja do programu oraz weryfikacja skuteczności leczenia odbywa się w oparciu o ocenę stanu klinicznego świadczeniobiorcy oraz ocenę efektywności zastosowanej terapii.   1. **Kryteria kwalifikacji**   Do programu kwalifikowani są dorośli pacjenci z zespołem miastenicznym Lamberta-Eatona (LEMS), u których przeprowadzono komplet badań diagnostycznych świadczących o przeprowadzeniu diagnostyki różnicowej i dokumentujących rozpoznanie. Rozpoznanie LEMS potwierdza dodatni wynik przeciwciała przeciwko VGCC lub wykazanie cech LEMS w elektrostymulacyjnej próbie męczliwości pod postacią znamiennego torowania.   1. **Określenie czasu leczenia w programie**   Czas leczenia w programie określa lekarz na podstawie kryteriów wyłączenia z programu.   1. **Kryteria wyłączenia z programu**    * 1. ciąża i karmienie piersią;      2. nadwrażliwość na fosforan amifamprydyny lub inny składnik preparatu;      3. brak skuteczności leczenia definiowany jako brak złagodzenia objawów klinicznych przy podawaniu prawidłowej dawki amifamprydyny (ocena kliniczna);      4. padaczka;      5. niewyrównana astma oskrzelowa;      6. jednoczesne stosowanie sultoprydu;      7. jednoczesne stosowanie produktów terapeutycznych o wąskim indeksie terapeutycznym lub o których wiadomo, że mogą wydłużać odstęp QT;      8. występowanie wrodzonego zespołu QT. | 1. **Dawkowanie**    1. Zalecana dawka początkowa wynosi 15 mg na dobę podawana doustnie. Następnie dawkę można zwiększać o 5 mg co 4-5 dni do maksymalnej dawki: 60 mg na dobę.   Dawka pojedyncza nie powinna być większa niż 20 mg.   * 1. Pacjenci z zaburzeniami czynności nerek lub wątroby:      + 1. umiarkowane lub ciężkie zaburzenia czynności nerek lub wątroby – zalecana dawka początkowa wynosi 5 mg na dobę;        2. łagodne zaburzenia czynności nerek lub wątroby – 10 mg na dobę (5 mg dwa razy na dobę).   Tempo zwiększania dawki powinno być wolniejsze niż u pacjentów z prawidłową czynnością nerek i wątroby – o 5 mg co 7 dni.   * 1. W wyjątkowych okolicznościach dopuszcza się stosowanie maksymalnej dawki 80 mg na dobę. Zwiększanie dawki z 60 mg do 80 mg na dobę powinno następować o 5 mg co 7 dni. | 1. **Badania przy kwalifikacji**    1. **Pacjenci z wywiadem objawów LEMS krótszym niż 2 lata (ryzyko charakteru paranowotworowego choroby):**       1. morfologia krwi z rozmazem;       2. AlAT;       3. AspAT;       4. ocena obrazowa śródpiersia (tomografia komputerowa lub rezonans magnetyczny);       5. USG lub TK jamy brzusznej;       6. oznaczenie przeciwciał anty-VGCC (lub dodatni wynik potwierdzający rozpoznanie w przeszłości);       7. badania elektrofizjologiczne (próba męczliwości lub dodatni wynik potwierdzający rozpoznanie w przeszłości);       8. konsultacja ginekologiczna u kobiet;       9. badanie EKG;       10. oznaczenie stężenia kreatyniny.   O zestawie badań decyduje lekarz specjalista podczas kwalifikacji do programu.   * 1. **Pacjenci z wywiadem objawów LEMS dłuższym niż 2 lata:**      1. morfologia krwi z rozmazem;      2. AlAT;      3. AspAT;      4. oznaczenie przeciwciał anty-VGCC (lub dodatni wynik potwierdzający rozpoznanie w przeszłości);      5. badania elektrofizjologiczne (próba męczliwości lub dodatni wynik potwierdzający rozpoznanie w przeszłości);      6. badanie EKG;      7. oznaczenie stężenia kreatyniny.  1. **Monitorowanie leczenia– po 3 miesiącach terapii a następnie raz na 6 miesięcy**    * 1. morfologia krwi z rozmazem;      2. oznaczenie stężenia kreatyniny;      3. AlAT;      4. AspAT;      5. badanie EKG;      6. inne indywidualnie ustalone przez lekarza. 2. **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;      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. |