Załącznik B.176.

**LECZENIE CHORYCH NA STWARDNIENIE ZANIKOWE BOCZNE (ICD-10: G12.2)**

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO** | | |
| **ŚWIADCZENIOBIORCY** | **SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW  W PROGRAMIE** | **BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE  W RAMACH PROGRAMU** |
| 1. **Kryteria kwalifikacji**   Do leczenia tofersenem kwalifikowani są pacjenci spełniający łącznie poniższe kryteria:   * + - 1. wiek:18 lat i powyżej;       2. rozpoznanie postaci genetycznej stwardnienia zanikowego bocznego (ALS, *amyotrophic lateral sclerosis*) spowodowanej mutacją w genie dysmutazy ponadtlenkowej 1 SOD1 potwierdzoną badaniem genetycznym;       3. adekwatna wydolność narządowa określona na podstawie wyników badań laboratoryjnych krwi zgodnie z zapisami aktualnej ChPL;       4. brak przeciwwskazań do nakłucia lędźwiowego;       5. brak istotnych chorób współistniejących stanowiących przeciwskazanie do terapii stwierdzonych przez lekarza prowadzącego w oparciu o aktualną ChPL;       6. wykluczenie ciąży lub karmienia piersią.   Ponadto do programu lekowego kwalifikowani są również pacjenci wymagający kontynuacji leczenia, którzy byli leczeni dotychczas w ramach innego sposobu finansowania terapii, za wyjątkiem trwających badań klinicznych, pod warunkiem, że w chwili rozpoczęcia leczenia tofersenem spełniali kryteria kwalifikacji do programu lekowego.   1. **Określenie czasu leczenia w programie**   Leczenie trwa do momentu podjęcia przez lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia w pkt.3.  Przed wyłączeniem z programu lekowego lekarz prowadzący może wystąpić o opinię do Konsultanta Krajowego w dziedzinie neurologii.   1. **Kryteria wyłączenia z programu**    * + 1. stopień ciężkości choroby, w którym terapia nosi znamiona uporczywej;        2. pojawienie się przeciwwskazań do leczenia wymienionych w Charakterystyce Produktu Leczniczego;        3. pojawienie się przeciwwskazań do nakłucia lędźwiowego;        4. drenaż płynu mózgowo-rdzeniowego;        5. wystąpienie chorób lub stanów, które uniemożliwiają kontynuację leczenia;        6. wystąpienie działań niepożądanych, które uniemożliwiają kontynuację leczenia;        7. wystąpienie nadwrażliwości na lek lub substancję pomocniczą uniemożliwiające kontynuację leczenia;        8. wystąpienie zagrażającej życiu albo nieakceptowalnej toksyczności pomimo zastosowania adekwatnego postępowania;        9. ciąża lub karmienie piersią;        10. brak współpracy lub nieprzestrzeganie zaleceń lekarskich ze strony świadczeniobiorcy lub jego prawnych opiekunów w szczególności dotyczących okresowych badań kontrolnych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo leczenia. | 1. **Dawkowanie leku w programie**   Sposób podawania oraz ewentualne czasowe wstrzymania leczenia, prowadzone zgodnie z aktualną Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL) lub przyjętą praktyką kliniczną.  Maksymalnie finansuje się 100 mg tofersenu na podanie.  Leczenie należy rozpocząć od 3 dawek nasycających podawanych w odstępach 14-dniowych.  Następnie należy podawać dawkę podtrzymującą raz na 28 dni.  W przypadku pacjentów wymagających znieczulenia ogólnego do wykonania nakłucia lędźwiowego - znieczulenie ogólne zgodnie z obowiązującymi w ośrodku procedurami. | 1. **Badania przy kwalifikacji**    * + 1. badanie genetyczne w kierunku genetycznej postaci ALS w przypadku braku wcześniejszego wyniku;        2. oznaczenie stężenia aminotransferazy alaninowej;        3. oznaczenie stężenia aminotransferazy asparaginianowej;        4. oznaczenie stężenia kreatyniny we krwi;        5. oznaczenie eGFR we krwi;        6. morfologia krwi z rozmazem;        7. koagulogram (APTT, PT, TT, fibrynogen, płytki krwi);        8. oznaczenie wskaźnika BMI;        9. spirometria lub gazometria tętnicza;        10. tomografia komputerowa głowy;        11. test ciążowy (oświadczenie o stosowaniu skutecznej antykoncepcji w trakcie trwania terapii - u kobiet w wieku reprodukcyjnym);        12. konsultacja neurologiczna z oceną stopnia ciężkości choroby w skali ALSFRS-R (ang. *Amyotrophic Lateral Sclerosis Functional Rating Scale*) wraz z określeniem wartości przy rozpoczynaniu leczenia oraz zmiany w ciągu ostatnich 3 miesięcy jeśli te dane są dostępne. 2. **Monitorowanie leczenia**   Przed podaniem każdej dawki tofersenu:   * + - 1. badanie dna oka;       2. oznaczenie wskaźnika BMI;       3. oznaczenie stężenia aminotransferazy alaninowej;       4. oznaczenie stężenia aminotransferazy asparaginianowej;       5. oznaczenie stężenia kreatyniny we krwi;       6. oznaczenie eGFR we krwi;       7. morfologia krwi z rozmazem;       8. koagulogram (APTT, PT, TT, fibrynogen, płytki krwi);       9. test ciążowy – dotyczy kobiet w wieku reprodukcyjnym.   Ocenę stopnia ciężkości choroby w skali ALSFRS-R wykonuje się co 3 miesiące.   1. **Monitorowanie programu**    * + 1. gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawienie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia;        2. uzupełnienie danych zawartych w elektronicznym systemie monitorowania programów lekowych 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:        3. wynik w skali ALSFRS-R przy rozpoczynaniu leczenia,        4. wynik w skali ALSFRS-R podczas oceny skuteczności;        5. 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. |