

LECZENIE DOROSŁYCH PACJENTÓW Z POLINEUROPATIĄ W I LUB II STADIUM ZAAWANSOWANIA W PRZEBIEGU DZIEDZICZNEJ AMYLOIDOZY TRANSTYRETYNOWEJ (ICD-10: E85.1)

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE	BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU
Kwalifikacji świadczeniobiorców do terapii dokonuje Zespół Koordynujący ds. Leczenia Rzadkich Chorób Neurologicznych, powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia. Kwalifikacja do programu oraz weryfikacja skuteczności leczenia po 12 miesiącach, a następnie co 6 miesięcy odbywa się, w oparciu o ocenę stanu klinicznego świadczeniobiorcy oraz ocenę efektywności zastosowanej terapii. W programie finansuje się leczenie: 1) <i>wutrisyranem</i> zgodnie ze wskazanymi w opisie programu warunkami i kryteriami. 1. Kryteria kwalifikacji 1) wiek 18 lat i więcej; 2) rozpoznanie amyloidozy transtyretynowej (ATTR); 3) postać dziedziczna ATTR potwierdzona wynikiem badania genetycznego; 4) stwierdzona polineuropatia stadium I lub II wg klasyfikacji Coutinho (stadium I – pacjent chodzący samodzielnie z objawami polineuropatii; stadium II – pacjent chodzący z	1. Dawkowanie Zalecana i jednocześnie maksymalna dawka wutrisyranu to 25 mg podawane podskórnie co 3 miesiące. 2. Modyfikacja dawkowania Sposób podawania, zmniejszenie dawki oraz ewentualne czasowe wstrzymania leczenia lub wydłużenia odstępu pomiędzy kolejnymi dawkami prowadzone zgodnie z aktualną ChPL.	1. Badania przy kwalifikacji 1) badanie podmiotowe oraz przedmiotowe; 2) sekwencjonowanie genu transtyretyny (TTR) – w przypadku braku wyniku badania w dokumentacji medycznej; 3) potwierdzenie rozpoznania polineuropatii i ocena stopnia jej zaawansowania poprzez następujące badania: a) badanie neurologiczne z oceną siły mięśniowej, odruchów ścięgniastych, czucia dotyku, bólu, temperatury, ułożenia i wibracji za pomocą skali NIS – Neuropathy Impairment Score; b) badanie przewodnictwa nerwowego nerwów ruchowych i czuciowych 4-kończynowo; c) ocena czynności układu autonomicznego z wykorzystaniem kwestionariusza CADT (Compound Autonomic Dysfunction Test); d) ocena obecności i nasilenia bólu neuropatycznego za pomocą skali wzrokowo-analogowej (0-10) VAS - Visual Analogue Scale; e) 10-metrowy test marszowy lub test 6-minutowego chodu – w zależności od stopnia zaawansowania

jedno- lub obustronnym podparciem z objawami polineuropatii), jako skutek ATTR; 5) nieobecność zaawansowanej kardiomiopatii (klasa NYHA 3 lub 4); 6) wykluczenie występowania innej postaci amyloidozy; 7) adekwatna wydolność narządowa określona na podstawie wyników badań laboratoryjnych krwi zgodnie z zapisami aktualnej Charakterystyki Produktu Leczniczego (ChPL); 8) nieobecność istotnych schorzeń współistniejących stanowiących przeciwwskazanie do terapii stwierdzonych przez lekarza prowadzącego, w tym zaawansowanych chorób lub uszkodzeń narządów skutkujących złym rokowaniem; 9) brak przeciwwskazań do stosowania leku zgodnie z aktualną ChPL; 10) wykluczenie okresu ciąży lub karmienia piersią. Powyższe kryteria kwalifikacji muszą być spełnione łącznie. Ponadto do programu lekowego kwalifikowani są również pacjenci wymagający kontynuacji leczenia, którzy byli leczeni substancją czynną finansowaną w programie lekowym w ramach innego sposobu finansowania terapii (za wyjątkiem trwających badań klinicznych tego leku), pod warunkiem, że w chwili rozpoczęcia leczenia spełniali kryteria kwalifikacji do programu lekowego. Do programu włącza się, bez konieczności ponownej kwalifikacji, w celu zapewnienia kontynuacji terapii pacjentki wyłączone z programu w związku z ciążą, które w momencie wyłączenia spełniały pozostałe kryteria przedłużenia leczenia. 2. Określenie czasu leczenia w programie		choroby; f) określenie stadium polineuropatii wg klasyfikacji Coutinho; 4) badanie scyntygraficzne serca z zastosowaniem radioizotopu ^{99m}Tc-DPD lub ^{99m}Tc-PYP lub ^{99m}Tc-HMDP (możliwe wykorzystanie wyniku badania z dokumentacji medycznej pacjenta) lub USG serca – wybór badania do decyzji lekarza prowadzącego; 5) określenie klasy NYHA; 6) konsultacja kardiologiczna wykonana w ciągu miesiąca przed kwalifikacją oceniająca obecność kardiomiopatii w przebiegu ATTRv (na podstawie badania z pkt 4) oraz stopień jej zaawansowania (określenie klasy NYHA); 7) badania laboratoryjne krwi/ surowicy: morfologia krwi z rozmazem; układ krzepnięcia: APTT, INR; AST, ALT, TSH, bilirubina, mocznik, kreatynina, eGFR, glukoza, białko całkowite, albumina, prealbumina; 8) badanie moczu: ogólne, ocena albuminurii i proteinurii; 9) konsultacja nefrologiczna - opcjonalnie; 10) pomiar wskaźnika mBMI (modified body mass index); 11) stężenie witaminy A w surowicy krwi (badanie wykonane w ciągu ostatnich 3 miesięcy); 12) konsultacja okulistyczna ukierunkowana na zmiany związane z ATTRv i powikłaniami okulistycznymi niedoboru witaminy A; 13) hemoglobina glikowana; 14) diagnostyka białka monoklonalnego (metodą immunofiksacji) w surowicy i w moczu oraz wolne łańcuchy lekkie w surowicy krwi (FLC); 15) stężenie wit. B12 w surowicy.
---	--	---

Leczenie trwa do czasu podjęcia przez lekarza prowadzącego lub Zespół Koordynujący decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu zgodnie z kryteriami wyłączenia. Znaczna progresja choroby pomimo leczenia wutrisyranem, definiowana jako progresja polineuropatii do stadium III wg klasyfikacji Coutinho (pacjent nie chodzi samodzielnie) lub progresja objawów kardiomiopatii do klasy NYHA III lub IV, wymaga jednogłośnej zgody lekarza prowadzącego oraz Zespołu Koordynacyjnego co do zasadności kontynuacji terapii. 3. Kryteria wyłączenia 1) nieskuteczność terapii stwierdzona na wizycie monitorującej leczenie po 12 miesiącach leczenia definiowana jako progresja polineuropatii do stadium III wg klasyfikacji Coutinho; 2) znaczna progresja choroby pomimo podjętego leczenia (zgodnie z definicją przyjętą w pkt 2. <i>Określenie czasu leczenia w programie</i>), gdy w opinii lekarza prowadzącego oraz Zespołu Koordynacyjnego nie ma zasadności do kontynuacji terapii; 3) wystąpienie chorób lub stanów, które według oceny lekarza prowadzącego uniemożliwiają dalsze prowadzenie leczenia; 4) wystąpienie objawów nadwrażliwości na którykolwiek ze stosowanych leków lub na którąkolwiek substancję pomocniczą leku, uniemożliwiających kontynuację leczenia; 5) wystąpienie nieakceptowalnej lub zagrażającej życiu toksyczności, pomimo zastosowania adekwatnego postępowania; 6) okres ciąży lub karmienia piersią;		2. Monitorowanie leczenia: 1) ocena stopnia zaawansowania polineuropatii poprzez następujące oceny: a) badanie neurologiczne z oceną siły mięśniowej, odruchów ścięgnistych, czucia dotyku, bólu, temperatury, ułożenia i wibracji za pomocą skali NIS – Neuropathy Impairment Score; b) ocena czynności układu autonomicznego z wykorzystaniem kwestionariusza CADT (Compound Autonomic Dysfunction Test); c) badanie przewodnictwa nerwowego nerwów ruchowych i czuciowych 4-kończynowo; d) ocena obecności i nasilenia bólu neuropatycznego za pomocą skali wzrokowo-analogowej (0-10) VAS - Visual Analogue Scale; e) 10-metrowy test marszowy lub test 6-minutowego chodu – w zależności od stopnia zaawansowania choroby; f) określenie stadium polineuropatii wg klasyfikacji Coutinho; 2) konsultacja kardiologiczna – z określeniem klasy NYHA – wykonana w ciągu miesiąca przed wizytą monitorującą; 3) badania laboratoryjne krwi/surowicy: morfologia krwi z rozmazem; układ krzepnięcia: APTT, INR; AST, ALT, bilirubina, mocznik, kreatynina, eGFR, glukoza, białko całkowite, albumina, prealbumina; 4) badanie moczu: ogólne, ocena albuminurii i proteinurii; 5) konsultacja nefrologiczna - opcjonalnie;
--	--	--

7) brak współpracy lub nieprzestrzeganie zaleceń lekarskich, w tym dotyczących okresowych badań kontrolnych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo leczenia, ze strony świadczeniobiorcy lub jego opiekuna prawnego.		6) pomiar wskaźnika mBMI (modified body mass index); 7) konsultacja okulistyczna ukierunkowana na zmiany związane z ATTRv i powikłaniami okulistycznymi niedoboru witaminy A - opcjonalnie; 8) stężenie witaminy A – wynik do 1 miesiąca. Badania wykonuje się co 6 miesięcy, za wyjątkiem badań pkt. 1c) oraz 8 które wykonuje się nie rzadziej niż co 12 miesięcy. Weryfikacja skuteczności leczenia przez Zespół Koordynacyjny odbywa się po 12 miesiącach terapii, a następnie co 6 miesięcy. Zespół Koordynacyjny w celu monitorowania adekwatnej odpowiedzi na leczenie w programie, na podstawie danych gromadzonych w elektronicznym systemie monitorowania programów lekowych, podsumowuje wyniki leczenia w programie lekowym na koniec każdego roku. 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 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 oceny skuteczności terapii: <i>stadium polineuropatii wg klasyfikacji Coutinho</i>, <i>wynik w skali NIS</i>, <i>prealbumina</i> oraz <i>klasa NYHA</i>; 3) przekazywanie informacji sprawozdawczo-
--	--	--

		rozliczeniowych do NFZ (informacje przekazuje się do NFZ w formie papierowej lub w formie elektronicznej zgodnie z wymaganiami opublikowanymi przez NFZ).
--	--	---