

Załącznik B.164.

LECZENIE PACJENTÓW Z IMMUNOLOGICZNĄ ZAKRZEPOWĄ PLAMICĄ MAŁOPŁYTKOWĄ (ICD-10: M31.1)

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	SCHEMAT DAWKOWANIA	BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU
W programie finansuje się leczenie epizodów nabytej zakrzepowej plamicy małopłytkowej przy użyciu kaplacyzumabu w połączeniu z wymianą osocza oraz immunosupresją. Do programu kwalifikuje lekarz prowadzący. 1. Kryteria włączenia 1) wiek 12 lat lub powyżej; 2) masa ciała co najmniej 40 kg; 3) kliniczne objawy epizodu immunologicznej zakrzepowej plamicy małopłytkowej (iTTP), wymagającego leczenia z zastosowaniem wymiany osocza; 4) liczba płytek $<100 \times 10^9/L$; 5) rozpad czerwonych krwinek stwierdzony na podstawie obecności schistocytów w rozmazie krwi; 6) aktywność ADAMTS13 $<10\%$ oraz obecność inhibitora anty-ADAMTS13 (leczenie może być wprowadzone w oczekiwaniu na wyniki badania ADAMTS13 na podstawie oceny stanu klinicznego i innych wyników badań wykonywanych przy kwalifikacji do programu): a) ocena aktywności ADAMTS13 musi być przeprowadzona na podstawie próbki osocza pobranej przed rozpoczęciem leczenia z zastosowaniem wymiany osocza,	1. Dawkowanie Kaplacyzumab wskazany jest do stosowania w połączeniu z wymianą osocza oraz immunosupresją. Dawkowanie zgodnie z aktualną Charakterystyką Produktu Leczniczego.	1. Badania przy kwalifikacji 1) oznaczenie aktywności ADAMTS13 – leczenie można wdrożyć w oczekiwaniu na wynik; 2) oznaczenie obecności inhibitora anty-ADAMTS13 – leczenie można wdrożyć w oczekiwaniu na wynik; 3) oznaczenie aktywności dehydrogenazy mleczanowej (LDH); 4) oznaczenie stężenia kreatyniny; 5) oznaczenie liczby płytek krwi; 6) morfologia krwi z rozmazem (obecność schistocytów); 7) oznaczenie aktywności aminotransferazy alaninowej (ALT); 8) badania przesiewowe w kierunku WZW typu B, zawierające co najmniej testy w kierunku HbsAg i HbcAb, a w przypadku dodatniego wyniku HbsAg lub HbcAb badanie HBV-DNA; 9) badania przesiewowe w kierunku WZW typu C, zawierające co najmniej oznaczenie przeciwciał anty-HCV, a w przypadku dodatniego wyniku badania na obecność przeciwciał anty-HCV badanie HCV-RNA; 10) test na HIV (przeciwciała anty-HIV w surowicy). 2. Monitorowanie leczenia

b) wyniki badań powinny być uzyskane w ciągu 5 dni od rozpoczęcia leczenia z zastosowaniem wymiany osocza, a czas oczekiwania na wynik nie może przekroczyć 7 dni; 7) wykluczenie atypowego zespołu hemolityczno-mocznicowego; 8) wykluczenie innych przyczyn małopłytkowości: a) kliniczne dowody infekcji jelitowej wywołanej przez <i>E.coli</i>, b) mikroangiopatia zakrzepowa związana z przeszczepieniem krwiotwórczych komórek macierzystych, szpiku kostnego lub organu, c) znana lub podejrzana posocznica, d) diagnoza rozlanego krzepnięcia wewnątrznaczyniowego, e) przewlekła małopłytkowość immunologiczna; 9) wykluczenie wysokiego ryzyka krwawienia z innych przyczyn niż małopłytkowość; 10) wykluczenie ciąży. Powyższe kryteria kwalifikacji muszą być spełnione łącznie. Ponadto do programu lekowego kwalifikowani są również pacjenci wymagający kontynuacji leczenia, którzy byli leczeni kapłacyzumabem 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. 2. Określenie czasu leczenia w programie 1) kapłacyzumab stosuje się w trakcie oraz po zakończeniu leczenia z wykorzystaniem wymiany osocza (wraz z ewentualną immunosupresją – np. rytuksymab). Etapy leczenia kapłacyzumabem obejmują:		1) w czasie pierwszego etapu leczenia, tj. w okresie stosowania wymiany osocza: a) raz dziennie: — morfologia krwi z rozmazem, b) raz w tygodniu: — oznaczenie aktywności dehydrogenzy mleczanowej (LDH), — oznaczenie stężenia kreatyniny, — oznaczenie stężenia haptoglobiny (Hp), — oznaczenie aktywności aminotransferazy alaninowej (ALT); 2) w czasie drugiego etapu leczenia, tj. w czasie kolejnych 30 dni leczenia kapłacyzumabem od momentu zakończenia wymiany osocza: a) raz w tygodniu: — oznaczenie aktywności ADAMTS13, — morfologia krwi z rozmazem, — oznaczenie aktywności dehydrogenzy mleczanowej (LDH), — oznaczenie stężenia kreatyniny, — oznaczenie stężenia haptoglobiny (Hp), — oznaczenie stężenia aminotransferazy alaninowej (ALT); 3) w czasie opcjonalnego, trzeciego etapu leczenia (przedłużonego okresu leczenia kapłacyzumabem), tj. po zakończeniu etapu pierwszego oraz drugiego: a) raz w tygodniu: — oznaczenie aktywności ADAMTS13,
--	--	--

a) pierwszy etap leczenia: okres stosowania wymiany osocza, b) drugi etap leczenia: kolejne 30 dni od momentu zakończenia wymiany osocza, c) opcjonalny, trzeci etap leczenia (przedłużony okres leczenia kapłacyzumabem) następujący po zakończeniu etapu pierwszego i drugiego: i. u pacjentów, u których po zakończeniu drugiego etapu leczenia występuje poziom aktywności ADAMTS13 < 20%, ii. czas trwania leczenia w etapie trzecim: leczenie kapłacyzumabem w trakcie opcjonalnego, trzeciego etapu leczenia (przedłużony okres leczenia kapłacyzumabem) stosowane jest do momentu uzyskania pierwszego wyniku oznaczenia aktywności ADAMTS13 wynoszącego $\geq 30\%$ (na podstawie próbki osocza pobranej w trakcie monitorowania trzeciego etapu leczenia), ale nie dłużej, niż przez 28 dni (4 tygodnie); 2) chorzy, u których pojawi się nawrót iTTP (tj. kolejny epizod iTTP określony zgodnie z kryteriami włączenia) mogą być ponownie kwalifikowani do podawania pełnego cyklu leczenia kapłacyzumabem (ponownie zaczynają leczenie od etapu 1. Leczenie trwa do czasu podjęcia przez lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia z programu. 3. Kryteria wyłączenia z programu 1) wystąpienie aktywnego, istotnego klinicznie krwawienia w trakcie terapii kapłacyzumabem;		— oznaczenie aktywności dehydrogenazy mleczanowej (LDH), — oznaczenie stężenia kreatyniny, — morfologia krwi z rozmazem. 3. Monitorowanie programu 1) gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolera 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; 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.
--	--	--

2) wystąpienie objawów nadwrażliwości na którąkolwiek substancję czynną lub substancję pomocniczą; 3) wystąpienie chorób lub stanów, które w opinii lekarza prowadzącego uniemożliwiają dalsze prowadzenie leczenia; 4) aktywność ADAMTS13 $\geq 10\%$ na podstawie oceny próbki osocza pobranej przed rozpoczęciem leczenia z zastosowaniem wymiany osocza – wynik powinien być uzyskany w ciągu 5 dni od rozpoczęcia leczenia z zastosowaniem wymiany osocza, a czas oczekiwania na wynik nie może przekroczyć 7 dni; 5) negatywny wynik na obecność inhibitora ADAMTS13 – na podstawie oceny próbki osocza pobranej przed rozpoczęciem leczenia z zastosowaniem wymiany osocza – wynik powinien być uzyskany w ciągu 5 dni od rozpoczęcia leczenia z zastosowaniem wymiany osocza, a czas oczekiwania na wynik nie może przekroczyć 7 dni; 6) aktywność ADAMTS13 $\geq 30\%$ na podstawie oceny próbki osocza pobranej w trakcie trwania trzeciego, opcjonalnego etapu leczenia; 7) ciąża; 8) wystąpienie ciężkich działań niepożądanych związanych z lekiem; 9) brak współpracy lub nieprzestrzeganie zaleceń lekarskich, w tym zwłaszcza dotyczących okresowych badań kontrolnych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo leczenia ze strony świadczeniobiorcy lub jego prawnych opiekunów.		
--	--	--