

LECZENIE PEDIATRYCZNYCH CHORYCH NA PIERWOTNĄ MAŁOPLYTKOWOŚĆ IMMUNOLOGICZNĄ (ICD-10: D69.3)

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE	BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU
1. Kryteria kwalifikacji 1.1. Kryteria kwalifikacji do leczenia eltrombopagiem lub romiplostymem - wiek 1-18 lat; - rozpoznanie przewlekłej (trwającej powyżej 12 miesięcy) lub przetrwałej (rozumianej jako trwającej powyżej 6 miesięcy) pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (ITP); - niedostateczna odpowiedź na wcześniejsze leczenie farmakologiczne ITP. Kryteria kwalifikacji muszą być spełnione łącznie. Do leczenia agonistą receptora trombopoetyny (rTPO) mogą być włączani również pacjenci, którzy uzyskali niedostateczną odpowiedź lub wykazują nietolerancję na inny preparat z grupy agonistów rTPO, oraz spełniają kryteria kwalifikacji. 1.2. Kryteria kwalifikacji do leczenia rytuksymabem - wiek 1-18 lat;	1. Dawkowanie eltrombopagu - zalecana dawka początkowa eltrombopagu wynosi: 50 mg raz na dobę - dla pacjentów w wieku 6-17 lat, 25 mg raz na dobę - dla pacjentów w wieku 1-5 lat oraz dla pacjentów pochodzenia wschodnioazjatyckiego; - maksymalna dawka dobową wynosi 75 mg; - dawkę leku modyfikuje się indywidualnie w zależności od liczby płytek krwi pacjenta - zgodnie z aktualną na dzień wydania decyzji Charakterystyką Produktu Leczniczego. Celem modyfikacji dawek jest osiągnięcie minimalnej dawki pozwalającej utrzymać liczbę płytek ≥ 50 tys./μl. 2. Dawkowanie romiplostymu - romiplostym powinien być podawany raz w tygodniu jako wstrzyknięcie podskórne;	1. Badania przy kwalifikacji - morfologia krwi z rozmazem białokrwinkowym i liczbą płytek; - parametry czynności wątroby (AlAT, AspAT, bilirubina całkowita, APTT, INR, albumina); - badanie okulistyczne – dotyczy kwalifikacji do eltrombopagu; - test ciążowy u kobiet w wieku rozrodczym – jeśli dotyczy. 2. Monitorowanie leczenia - badania przeprowadzane w pierwszych 4 tygodniach leczenia oraz w okresie braku odpowiedzi: - wykonywane co 1 tydzień (dla wszystkich): - morfologia krwi z rozmazem białokrwinkowym i liczbą płytek, - wykonywane co 2 tygodnie (dotyczy leczenia eltrombopagiem): - parametry czynności wątroby (AlAT, AspAT, bilirubina całkowita, APTT, INR, albumina);

2) rozpoznanie opornej na immunosupresję małopłytkowości immunologicznej (trwającej powyżej 4 miesięcy); 3) zagrażająca życiu małopłytkowość immunologiczna z cechami krwawienia lub liczbą płytek poniżej 20 tys./μL; 4) niedostateczna odpowiedź na leczenie kortykosteroidami, IGIV lub agonistów rTPO. Kryteria kwalifikacji muszą być spełnione łącznie. Pacjenci pozostający w leczeniu w ramach tego programu lekowego, po osiągnięciu pełnoletniości mogą być leczeni w programie lekowym „Leczenie dorosłych chorych na pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10 D69.3)” bez konieczności spełnienia pozostałych kryteriów kwalifikacji do ww. programu lekowego - pod warunkiem niespełniania kryteriów wyłączenia z programu. 2. Określenie czasu leczenia w programie Leczenie trwa do czasu podjęcia przez lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu pacjenta z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia z programu określonymi w punkcie 3. W przypadku leczenia rytuksymabem czas terapii nie powinien być dłuższy niż 4 tygodnie. Obserwacja pacjenta i ocena odpowiedzi na leczenie jest prowadzona przez cały czas utrzymywania się odpowiedzi płytkowej lub co najmniej przez 8 tygodni od podania pierwszej dawki leku w przypadku braku odpowiedzi na leczenie.	2) początkowa dawka romiplostymu wynosi 1 μg/kg mc., z uwzględnieniem masy ciała pacjenta na początku leczenia; 3) następnie dawkę leku ustala się indywidualnie w zależności od liczby płytek krwi pacjenta oraz zmiany masy ciała - zgodnie z aktualną na dzień wydania decyzji Charakterystyką Produktu Leczniczego. Celem modyfikacji dawek jest osiągnięcie minimalnej dawki pozwalające utrzymać liczbę płytek ≥ 50 tys./μl. 3. Dawkowanie rytuksymabu 1) zalecana dawka: 375 mg/m² we wlewie dożylnym raz w tygodniu; 2) 30 minut przed wlewem rytuksymabu należy podać metyloprednizolon w dawce 100 mg dożylnie.	2) badania przeprowadzane od 4 tygodnia leczenia u wszystkich odpowiadających pacjentów: a) wykonywane co 1 miesiąc: – morfologia krwi z rozmazem białokrwinkowym i liczbą płytek, b) wykonywane co 3 miesiące: – parametry czynności wątroby (AlAT, AspAT, bilirubina całkowita, APTT, INR, albumina); 3) badanie przeprowadzane w przypadku wystąpienia nowych lub postępujących nieprawidłowości w morfologii krwi: a) biopsja szpiku kostnego z barwieniem oceniającym włóknienie; 4) badanie okulistyczne co 6 miesięcy – dotyczy leczenia eltrombopagiem; 5) w przypadku przerwania leczenia z powodu wzrostu liczby płytek krwi powyżej 250x10⁹/l, należy kontrolować liczbę płytek krwi 1 razy w tygodniu, aż do osiągnięcia wartości mniejszej lub równej 100x10⁹/l. 3. 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, nie rzadziej niż co 3 miesiące oraz na zakończenie leczenia; 3) przekazywanie informacji sprawozdawczo -
---	---	---

3. Kryteria wyłączenia z programu 1) nadwrażliwość na substancję czynną lub którąkolwiek substancję pomocniczą; 2) zaburzenia czynności wątroby: – wynik w skali Child-Pugh ≥ 5 – dotyczy leczenia eltrombopagiem, – wynik w skali Child-Pugh ≥ 7 – dotyczy leczenia romiplostydem; 3) wyłącznie w przypadku leczenia eltrombopagiem: istotne zwiększenie się aktywności ALAT (powyżej trzykrotności górnej granicy normy dla lokalnego laboratorium) w przypadkach, gdy przekroczenie normy: a) będzie narastać, - albo b) będzie utrzymywać się ≥ 4 tygodni, - albo c) będzie związane ze zwiększeniem stężenia bilirubiny bezpośredniej, - albo d) będzie związane z objawami klinicznymi uszkodzenia wątroby lub objawami dekompensacji wątroby; 4) okres ciąży lub karmienia piersią; 5) brak odpowiedzi na leczenie: – eltrombopagiem w dawce 75 mg podawanej przez 4 kolejne tygodnie leczenia (4 pomiary), - lub		rozliczeniowych do NFZ: informacje przekazuje się do NFZ w formie papierowej lub w formie elektronicznej, zgodnie z wymaganiami opublikowanymi przez Narodowy Fundusz Zdrowia.
--	--	---

– romiplostymem pomimo stosowania maksymalnej dawki (10 µg/kg mc.) przez 4 kolejne tygodnie leczenia; 6) 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.		
---	--	--