Załącznik B.81.

**LECZENIE MIELOFIBROZY PIERWOTNEJ ORAZ MIELOFIBROZY WTÓRNEJ W PRZEBIEGU CZERWIENICY PRAWDZIWEJ I NADPŁYTKOWOŚCI SAMOISTNEJ (ICD-10 D47.1)**

|  |
| --- |
| **ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO** |
| **ŚWIADCZENIOBIORCY** | **SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE** | **BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU** |
| Leczenie powiększenia śledziony związanego z chorobą lub objawów występujących u dorosłych pacjentów z pierwotnym włóknieniem szpiku (znanym zarówno jako przewlekłe idiopatyczne włóknienie szpiku), włóknieniem szpiku poprzedzonym czerwienicą prawdziwą lub włóknieniem szpiku poprzedzonym nadpłytkowością samoistną.**1. Kryteria kwalifikacji**1.1 Rozpoznanie: 1. pierwotnej mielofibrozy (PMF)

lub 1. mielofibrozy w przebiegu czerwienicy prawdziwej (Post-PV MF), lub
2. mielofibrozy w przebiegu nadpłytkowości samoistnej (Post-ET MF)

– zgodnie z kryteriami Światowej Organizacji Zdrowia z roku 2008 oraz IWGMRT (do rozpoznania wymagany jest wynik badania morfologii krwi obwodowej z rozmazem ocenionym mikroskopowo oraz wynik trepanobiopsji szpiku); 1.2 Pacjenci z grupy ryzyka:1. pośredniego – 2

lub 1. wysokiego

– wg IPSS (ang. International Prognostic Scoring System);1.3 Splenomegalia (powiększenie śledziony ≥5 cm poniżej lewego łuku żebrowego) w badaniu palpacyjnym oraz w badaniu ultrasonograficznym;1.4 Pacjenci z liczbą płytek krwi > 50 tysięcy/µl; 1.5 Wystąpienie co najmniej 2 z 6 poniżej wymienionych objawów ogólnych ocenianych w skali MPN-SAF TSS: 1. poty nocne (≥4 pkt),
2. utrata masy ciała (>10% w okresie ostatnich 6 miesięcy) (≥4 pkt),
3. gorączka o nieznanej etiologii (>37,5°C) (≥4 pkt),
4. bóle kostne(≥4 pkt),
5. świąd (≥4 pkt),
6. zmęczenie (≥4 pkt);

1.6 Wiek: 18 lat i więcej;1.7 Stan sprawności:1. od 0 do 2, oceniany wg Eastern Cooperative Oncology Group

lub1. od 1- 2 wg WHO

– w momencie włączenia do programu;1.8 Brak wcześniejszej splenektomii; 1.9 Pacjenci bez współistniejących ciężkich chorób systemowych w zakresie układu sercowo-naczyniowego, nerek, wątroby – upośledzających istotnie stan ogólny pacjenta oraz ciężkich zakażeń bakteryjnych, wirusowych i grzybiczych; 1.10 Adekwatna wydolność narządowa określona na podstawie badań laboratoryjnych krwi: 1. wyniki badań czynności wątroby:
	* stężenie bilirubiny całkowitej nieprzekraczające 2- krotnie górnej granicy normy (z wyjątkiem pacjentów z zespołem Gilberta),
	* aktywność transaminaz (alaninowej i asparaginowej) w surowicy nieprzekraczające 2,5-krotnie górnej granicy normy,
2. stężenie kreatyniny nieprzekraczające 2-krotnie górnej granicy normy.

Kryteria kwalifikacji muszą być spełnione łącznie. **2. Określenie czasu leczenia w programie:**Leczenie trwa do czasu podjęcia przez lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu (+ dodatkowe 28 dni na odstawienie leku), zgodnie z kryteriami wyłączenia.**3. Kryteria wyłączenia z programu**3.1 Brak lub utrata odpowiedzi po leczeniu rozumiane jako:1. brak jakiegokolwiek zmniejszenia w badaniu przedmiotowym powiększonej w momencie kwalifikacji śledziony – po 3 miesiącach leczenia,
2. brak zmniejszenia w badaniu USG powiększonej w momencie kwalifikacji śledziony, o co najmniej 25 % długości jej wyjściowego powiększenia (powyżej normy w danym ośrodku) – po 6 miesiącach leczenia lub
3. pojawienie się nowych lub nasilenie wyjściowych objawów ogólnych związanych z chorobą, wymienionych w kryteriach kwalifikacji do programu, ocenianych w skali MPN-SAF TSS – po:
	* 3 miesiącach leczenia lub
	* 6 miesiącach leczenia, lub
	* każdych kolejnych 6 miesiącach leczenia;

3.2 Nieakceptowalna toksyczność, nieustępująca pomimo redukcji dawki leku i przerw w leczeniu według zasad określonych w Charakterystyce Produktu Leczniczego;3.3 Transformacja w ostrą białaczkę; 3.4 Utrata uzyskanej odpowiedzi na terapię po każdych 6 miesiącach leczenia.  | 1. **Dawkowanie ruksolitynibu:**

Dawkowanie leku odbywa się zgodnie z zasadami określonymi w Charakterystyce Produktu Leczniczego.  | 1. **Badania przy kwalifikacji do leczenia ruksolitynibem**
	1. badanie podmiotowe i przedmiotowe ze szczególnym uwzględnieniem:
		1. oceny wielkości śledziony,
		2. masy ciała,
		3. objawów ogólnych ocenianych przy użyciu formularza MPN-SAF TSS:
	* poty nocne (≥4 pkt),
	* utrata masy ciała (>10% w okresie ostatnich 6 miesięcy) (≥4 pkt),
	* gorączka o nieznanej etiologii (>37,5°C) (≥4 pkt),
	* bóle kostne (≥4 pkt),
	* świąd (≥4 pkt),
	* zmęczenie (≥4 pkt);
	1. morfologia krwi z rozmazem ocenionym mikroskopowo;
	2. aktywność transaminaz wątrobowych;
	3. stężenie bilirubiny;
	4. stężenie kreatyniny w surowicy;
	5. trepanobiopsja szpiku, jeżeli nie była wykonana w okresie 6 miesięcy przed kwalifikacją;
	6. USG jamy brzusznej z oceną wymiarów śledziony.
2. **Monitorowanie leczenia ruksolitynibem:**
	1. badanie podmiotowe i przedmiotowe ze szczególnym uwzględnieniem:
		1. oceny wielkości śledziony,
		2. masy ciała,
		3. objawów ogólnych ocenianych przy użyciu formularza MPN-SAF TSS:
	* poty nocne (≥4 pkt),
	* utrata masy ciała (>10% w okresie ostatnich 6 miesięcy) (≥4 pkt),
	* gorączka o nieznanej etiologii (>37,5°C) (≥4 pkt),
	* bóle kostne (≥4 pkt),
	* świąd (≥4 pkt),
	* zmęczenie (≥4 pkt);
	1. morfologia krwi;
	2. aktywność transaminaz wątrobowych;
	3. stężenie bilirubiny;
	4. stężenie kreatyniny w surowicy;
	5. USG jamy brzusznej z oceną wymiarów śledziony.

Częstość wykonywania badań: * 1. morfologia krwi i parametry biochemiczne:
		1. co 2-4 tygodnie – do czasu ustabilizowania dawki ruksolitynibu, a następnie w zależności od wskazań klinicznych oraz zgodnie z zasadami określonymi w ChPL;
		2. co 1-2 tygodnie przez 6 tygodni lub do czasu ustabilizowania funkcji wątroby – u pacjentów z niewydolnością wątroby;
	2. wszystkie badania kontrolne:
		1. po 3 miesiącach leczenia, następnie
		2. po 6 miesiącach leczenia, następnie
		3. nie rzadziej niż po każdych kolejnych 6 miesiącach leczenia.
1. **Monitorowanie programu**
	1. gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawienie 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.
 |