Załącznik B.142.

**LECZENIE DOROSŁYCH PACJENTÓW Z ZESPOŁAMI MIELODYSPLASTYCZNYMI Z TOWARZYSZĄCĄ NIEDOKRWISTOŚCIĄ ZALEŻNĄ OD TRANSFUZJI (ICD-10: D46.1)**

|  |
| --- |
| **ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO** |
| **ŚWIADCZENIOBIORCY** | **SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE** | **BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU** |
| 1. **Kryteria kwalifikacji**

Do programu kwalifikowani są pacjenci w wieku 18 lat i powyżej, z:* + - 1. anemią zależną od przetoczeń (≥2 jednostki kkcz w okresie 8 tygodni w ciągu 16 tygodni przed kwalifikacją do programu);
			2. w przebiegu zespołów mielodysplastycznych o bardzo niskim, niskim lub pośrednim ryzyku wg R-IPSS;
			3. z syderoblastami pierścieniowatymi (MDS-RS definiowane jest przy ≥15% syderoblastów pierścieniowatych lub ≥5% syderoblastów pierścieniowatych w przypadku obecności mutacji *SF3B1*);
			4. u których wystąpiła niedostateczna odpowiedź na leczenie lekami stymulującymi erytropoezę, lub którzy nie kwalifikują się do takiego leczenia - zgodnie z aktualnie obowiązującymi wytycznymi;
			5. jeśli do programu kwalifikowane są kobiety mogące zajść w ciążę muszą stosować skuteczną metodę antykoncepcji w trakcie leczenia i przez okres co najmniej 3 miesięcy po przyjęciu ostatniej dawki leku.

Wszystkie powyższe kryteria muszą być spełnione łącznie. Ponadto do programu lekowego, w celu zapewnienia kontynuacji terapii, są kwalifikowani pacjenci z anemią zależną od przetoczeń w przebiegu zespołów mielodysplastycznych o bardzo niskim, niskim lub pośrednim ryzyku (wg R-IPSS), z syderoblastami pierścieniowatymi, leczeni luspaterceptem w ramach innego sposobu finansowania terapii, jeśli w momencie włączenia luspaterceptu spełnione były ww. kryteria kwalifikacji. 1. **Określenie czasu leczenia**

Leczenie trwa do czasu podjęcia przez lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu pacjenta z programu zgodnie z kryteriami zakończenia udziału w programie. 1. **Kryteria wyłączenia**
	* + 1. brak odpowiedzi na leczenie ocenionej po 8 cyklach leczenia;

odpowiedź na leczenie definiuje się jako spełnienie co najmniej jednego z poniższych kryteriów:* + - * 1. okres niezależności od przetoczeń kkcz ≥ 8 tyg.,
				2. zmniejszenie o co najmniej 50% liczby jednostek przetoczonych przez okres min 8 tyg. względem analogicznego okresu przed włączenie pacjenta do programu,
				3. poprawa stężenia hemoglobiny o ≥ 1,5 g/dl wykazana w ≥2 kolejnych pomiarach i utrzymanej przez ≥8 tyg. w porównaniu do średniej z 2 pomiarów w okresie 16 tygodni poprzedzających włączenie pacjenta do programu;
			1. brak zmniejszenia zależności od przetoczeń po 3 cyklach leczenia przy maksymalnym poziomie dawki luspaterceptu;
			2. nadwrażliwość na luspatercept lub którąkolwiek substancję pomocniczą;
			3. wystąpienie toksyczności na nieakceptowalnym poziomie zgodnie z ChPL;
			4. progresja choroby podstawowej (MDS);
			5. ciąża;
			6. odmowa stosowania przez kobiety mogące zajść w ciążę skutecznej metody antykoncepcji.
 | 1. **Dawkowanie**

Zalecana dawka początkowa luspaterceptu to 1,0 mg/kg m.c. raz na 3 tygodnie.W przypadku pacjentów, którzy nie są niezależni od transfuzji czerwonych krwinek po podaniu co najmniej 2 kolejnych dawek w dawce początkowej wynoszącej 1,0 mg/kg m.c., dawka powinna zostać zwiększona do 1,33 mg/kg m.c.Jeśli pacjenci nie są niezależni od transfuzji czerwonych krwinek po podaniu co najmniej 2 kolejnych dawek wynoszących 1,33 mg/kg m.c., dawka powinna zostać zwiększona do 1,75 mg/kg m.c.Zwiększanie dawki nie powinno następować częściej niż co 6 tygodni (2 podania) i nie powinno przekraczać maksymalnej dawki wynoszącej 1,75 mg/kg m.c. co 3 tygodnie. Szczegółowe informacje odnośnie dawkowania oraz jego modyfikacji zawarte są w aktualnym na dzień wydania decyzji dokumencie Charakterystyki Produktu Leczniczego (ChPL).  | 1. **Badania dodatkowe przy kwalifikacji**
	* + 1. morfologia krwi obwodowej z rozmazem;
			2. oznaczenie mutacji *SF3B1* u chorych z obecnością syderoblastów pierścieniowatych ≥5% i ≤ 15%;
			3. test ciążowy przed rozpoczęciem leczenia u kobiet mogących zajść w ciąże.

Badania powinny być wykonane w ciągu nie więcej niż 4 tygodni poprzedzających rozpoczęcie leczenia.1. **Monitorowanie leczenia**
	* + 1. morfologia krwi obwodowej przed każdym podaniem luspaterceptu.
2. **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 Elektronicznym Systemie Monitorowania Programów Lekowych (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 NFZ.
 |