Załącznik B.97.

**LECZENIE DOROSŁYCH CHORYCH NA PIERWOTNĄ MAŁOPŁYTKOWOŚĆ IMMUNOLOGICZNĄ (ICD-10: D69.3)**

|  |
| --- |
| **ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO** |
| **ŚWIADCZENIOBIORCY** | **SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW** **W PROGRAMIE** | **BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU** |
| 1. **Kryteria kwalifikacji do leczenia agonistami receptora trombopoetyny (eltrombopagiem, romiplostymem lub awatrombopagiem)**
	* + 1. wiek ≥18 lat;
			2. rozpoznanie pierwotnej małopłytkowości immunologicznej (ITP);
			3. niedostateczna odpowiedź na inne sposoby leczenia farmakologicznego (kortykosteroidy, dożylne immunoglobuliny);
			4. w przypadku kwalifikacji do leczenia:
				1. eltrombopagiem lub awatrombopagiem – przeciwskazania do wykonania splenektomii w ocenie lokalnego zespołu ekspertów obejmującego hematologa, chirurga i anestezjologa w ośrodku prowadzącym leczenie albo nieskuteczność splenektomii objawiająca się liczbą płytek poniżej 30 000/μl lub objawami skazy krwotocznej;
				2. romiplostymem – nieskuteczność splenektomii objawiająca się liczbą płytek poniżej 30 000/μl lub objawami skazy krwotocznej.

Kryteria kwalifikacji muszą być spełnione łącznie.Dodatkowo, w celu kontynuacji terapii do programu lekowego mogą zostać zakwalifikowani pacjenci leczeni w ramach programu lekowego „Leczenie pediatrycznych chorych na przewlekłą pierwotną małopłytkowość immunologiczną (ICD-10 D69.3)”, którzy osiągnęli pełnoletniość, bez konieczności spełnienia pozostałych kryteriów kwalifikacji do programu lekowego - pod warunkiem niespełniania kryteriów wyłączenia z programu.1. **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 3.1. **Kryteria wyłączenia z programu**
	* + 1. nadwrażliwość na substancję czynną lub którąkolwiek substancję pomocniczą;
			2. zaburzenia czynności wątroby:
				1. wynik w skali Child-Pugh ≥ 5 – dotyczy leczenia eltrombopagiem,
				2. wynik w skali Child-Pugh ≥ 7 – dotyczy leczenia romiplostymem;
			3. istotne zwiększenie się aktywności AlAT (powyżej trzykrotności górnej granicy normy dla lokalnego laboratorium) w przypadkach, gdy przekroczenie normy:
				1. będzie narastać,

albo* + - * 1. będzie utrzymywać się ≥ 4 tygodni,

albo * + - * 1. będzie związane ze zwiększeniem stężenia bilirubiny bezpośredniej,

albo* + - * 1. będzie związane z objawami klinicznymi uszkodzenia wątroby lub objawami dekompensacji wątroby,

- dotyczy wyłącznie chorych leczonych eltrombopagiem;* + - 1. ciąża oraz karmienie piersią;
			2. brak odpowiedzi na leczenie:
				1. eltrombopagiem w dawce 75 mg podawanej przez 4 kolejne tygodnie leczenia (4 pomiary),

albo* + - * 1. romiplostymem pomimo stosowania maksymalnej dawki (10 μg/kg mc.) przez 4 kolejne tygodnie leczenia,

albo* + - * 1. awatrombopagiem w dawce 40 mg raz na dobę, podawanej przez 4 kolejne tygodnie leczenia jeśli liczba płytek krwi nie zwiększy się do ≥ 50 x 109/L;
			1. trwała remisja choroby niewymagająca jakiegokolwiek leczenia.

W przypadku pojawienia się u pacjenta działań niepożądanych lub przeciwskazań do stosowania danego leku, lekarz prowadzący może podjąć decyzję o jego zmianie.  | 1. **Dawkowanie eltrombopagu**
	* + 1. zalecana dawka początkowa eltrombopagu wynosi 50 mg raz na dobę;
			2. dawkę leku ustala się indywidualnie w zależności od liczby płytek krwi u pacjenta – sposób modyfikacji dawkowania oraz postępowanie w okresie czasowego przerwania leczenia zostały określone w aktualnej na dzień wydania decyzji Charakterystyce Produktu Leczniczego.
2. **Dawkowanie romiplostymu**
	* + 1. romiplostym powinien być podawany raz w tygodniu, jako wstrzyknięcie podskórne;
			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 u chorego - zgodnie z aktualną na dzień wydania decyzji Charakterystyką Produktu Leczniczego.
3. **Dawkowanie awatrombopagu**
	* + 1. zalecana dawka początkowa awatrombopagu wynosi 20 mg raz na dobę;
			2. dawkę leku ustala się indywidualnie w zależności od liczby płytek krwi u pacjenta;
			3. sposób modyfikacji dawkowania oraz postępowanie w okresie czasowego przerwania leczenia zostały określone w aktualnej na dzień wydania decyzji Charakterystyce Produktu Leczniczego.
 | 1. **Badania przy kwalifikacji do leczenia eltrombopagiem lub romiplostymem lub awatrombopagiem**
	* + 1. morfologia krwi z rozmazem;
			2. parametry czynności wątroby:
				1. AlAT, AspAT, bilirubina całkowita – dotyczy kwalifikacji do leczenia eltrombopagiem,
				2. AST, AlAT, bilirubina całkowita, czas protrombinowy, stężenie albumin we krwi – dotyczy kwalifikacji do leczenia romiplostymem lub awatrombopagiem;
			3. biopsja aspiracyjna szpiku i trepanobiopsja (wykonana w okresie 6 miesięcy przed kwalifikacją do programu lekowego) – w przypadku chorych w wieku powyżej 60 lat, chorych z objawami układowymi i innymi nieprawidłowymi objawami;
			4. badanie okulistyczne – dotyczy kwalifikacji do eltrombopagu;
			5. test ciążowy u kobiet w wieku rozrodczym.
2. **Monitorowanie leczenia**
	* + 1. badania przeprowadzane w okresie do osiągnięcia stabilnej liczby płytek (≥ 50 000/µl przez co najmniej 4 tygodnie):
				1. wykonywane co 1 tydzień:

morfologia krwi z rozmazem;* + - * 1. w przypadku leczenia eltrombopagiem - wykonywane co 2 tygodnie:

parametry czynności wątroby (AlAT, AspAT, bilirubina całkowita);* + - 1. badania przeprowadzane po uzyskaniu stabilnej liczby płytek:
				1. wykonywane co 1 miesiąc:

morfologia krwi z rozmazem,w przypadku leczenia eltrombopagiem: parametry czynności wątroby (AlAT, AspAT, bilirubina całkowita),w przypadku leczenia romiplostymem lub awatrombopagiem parametry czynności wątroby (AlAT, AspAT, bilirubina całkowita) – wykonywane po 6 miesiącach od rozpoczęcia leczenia romiplostymem lub awatrombopagiem;* + - 1. w przypadku pojawienia się innych niż małopłytkowość, istotnych nieprawidłowości w morfologii krwi – trepanobiopsja szpiku kostnego wraz z oceną włóknienia retikulinowego;
			2. badania przeprowadzane w okresie czasowego przerwania leczenia:
				1. wykonywane raz w tygodniu przez 4 tygodnie:

morfologia krwi z rozmazem;* + - 1. badanie okulistyczne co 3 miesiące – dotyczy leczenia eltrombopagiem.
1. **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 - rozliczeniowych do NFZ: informacje przekazuje się do NFZ w formie papierowej lub w formie elektronicznej, zgodnie z wymaganiami opublikowanymi przez NFZ.
 |