Załącznik B.142.

LECZENIE DOROSŁYCH PACJENTÓW Z ZESPOŁAMI MIELODYSPLASTYCZNYMI Z TOWARZYSZĄCĄ NIEDOKRWISTOŚCIĄ ZALEŻNĄ OD TRANSFUZJI (ICD-10: D46.0, D46.1)

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	**SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE**	**BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU**
W ramach programu lekowego pacjentom z zespołami mielodysplastycznymi z towarzyszącą niedokrwistością zależną od transfuzji udostępnia się terapię *luspaterceptem*, w pierwszej linii leczenia lub kolejnych liniach leczenia (po niedostatecznej odpowiedzi na leczenie lekami stymulującymi erytropoezę), zgodnie ze wskazanymi w opisie programu warunkami i kryteriami. **1. Kryteria kwalifikacji** 1) wiek 18 lat i powyżej; 2) stan sprawności 0-2 według skali ECOG; 3) zdiagnozowany zespół mielodysplastyczny (ang. myelodysplastic syndromes, MDS) o bardzo niskim, niskim lub pośrednim ryzyku wg R-IPSS; 4) niedokrwistość zależna od przetoczeń (≥3 jednostki kkcz w ciągu 16 tygodni w co najmniej 2 epizodach przetoczeń – w okresie przed kwalifikacją do programu) w przebiegu MDS; 5) stężenie endogennej erytropoetyny (eEPO) ≤500 mU/ml – nie dotyczy MDS z syderoblastami pierścieniowatymi (MDS-RS definiowane jest przy ≥15% syderoblastów pierścieniowatych lub ≥5% syderoblastów pierścieniowatych w przypadku obecności mutacji *SF3B1*);	**1. Dawkowanie leku** ***1.1. luspatercept*** Każdy cykl trwa 21 dni (3 tygodnie). Luspatercept: 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.	**1. Badania przy kwalifikacji** 1) morfologia krwi obwodowej z rozmazem; 2) oznaczenie stężenia endogennej erytropoetyny (eEPO); 3) ocena syderoblastów pierścieniowatych lub oznaczenie mutacji *SF3B1* u chorych z obecnością syderoblastów pierścieniowatych ≥5% i ≤ 15% – dotyczy rozpoznania MDS z syderoblastami pierścieniowatymi; 4) test ciążowy (u kobiet w wieku rozrodczym). Badania powinny być wykonane w ciągu nie więcej niż 4 tygodni poprzedzających rozpoczęcie leczenia. **2. Monitorowanie bezpieczeństwa i skuteczności leczenia** 1) morfologia krwi obwodowej – wykonywana przed każdym podaniem *luspaterceptu*. Ocena odpowiedzi na leczenie powinna być przeprowadzana zgodnie z aktualnymi rekomendacjami. **3. Monitorowanie programu** 1) gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich

6) brak przeciwwskazań do stosowania leku zgodnie z aktualną Charakterystyką Produktu Leczniczego; 7) adekwatna wydolność narządowa określona na podstawie wyników badań laboratoryjnych umożliwiająca w opinii lekarza prowadzącego bezpieczne rozpoczęcie terapii; 8) nieobecność istotnych schorzeń współistniejących lub stanów klinicznych stanowiących przeciwwskazanie do terapii stwierdzonych przez lekarza prowadzącego w oparciu o aktualną Charakterystykę Produktu Leczniczego; 9) wykluczenie ciąży i okresu karmienia piersią; 10) zgoda pacjenta na prowadzenie antykoncepcji zgodnie z aktualną Charakterystyką Produktu Leczniczego; 11) nieobecność aktywnych, ciężkich zakażeń. Powyższe kryteria kwalifikacji muszą być spełnione łącznie. Ponadto do programu lekowego kwalifikowani są również pacjenci wymagający kontynuacji leczenia, którzy byli leczeni substancją czynną finansowaną w programie lekowym 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** Leczenie trwa do czasu podjęcia przez lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia. **3. Kryteria wyłączenia z programu** 1) progresja choroby podstawowej (MDS); 2) brak odpowiedzi na leczenie ocenionej po 8 cyklach leczenia; odpowiedź na leczenie definiuje się jako spełnienie co	**2. Modyfikacja dawkowania leku** Szczegóły dotyczące sposobu podawania, ewentualnego czasowego wstrzymania leczenia oraz ewentualnego zmniejszania dawki leku zgodnie z aktualną Charakterystyką Produktu Leczniczego leku.	przedstawianie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia; 2) uzupełnianie 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, w tym przekazywanie danych dotyczących wybranych wskaźników skuteczności terapii, dla których jest możliwe ich określenie przez lekarza prowadzącego dla indywidualnego pacjenta, spośród: a) poprawa hematologiczna-erytroidalna (HI-E) – niezależność od przetoczeń kkcz w okresie ≥ 8 tyg. w 16-24 tygodniowym okresie obserwacji (dla chorych z małym obciążeniem transfuzjami – LTB), b) większa odpowiedź HI-E – niezależność od przetoczeń kkcz w okresie ≥ 8 tyg. w 16-24 tygodniowym okresie obserwacji (dla chorych z dużym obciążeniem transfuzjami – HTB), c) mniejsza odpowiedź HI-E – zmniejszenie o co najmniej 50% liczby przetoczonych jednostek kkcz przez okres minimum 8 tyg. w co najmniej 16-tygodniowym okresie obserwacji względem analogicznego okresu przed włączeniem pacjenta do programu (dla chorych z dużym obciążeniem transfuzjami – HTB); 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.

najmniej jednego z poniższych kryteriów: a) okres niezależności od przetoczeń kkcz ≥ 8 tygodni – kryterium dla chorych z małym (LTB) lub dużym obciążeniem transfuzjami (HTB), b) zmniejszenie o co najmniej 50% liczby przetoczonych jednostek kkcz przez okres minimum 8 tyg. w co najmniej 16-tygodniowym okresie obserwacji względem analogicznego okresu przed włączeniem pacjenta do programu – kryterium dla chorych z dużym obciążeniem transfuzjami (HTB); 3) wystąpienie chorób lub stanów, które według oceny lekarza prowadzącego uniemożliwiają dalsze prowadzenie leczenia; 4) wystąpienie nieakceptowalnej lub zagrażającej życiu toksyczności, pomimo zastosowania adekwatnego postępowania; 5) wystąpienie objawów nadwrażliwości na lek lub na którąkolwiek substancję pomocniczą leku, uniemożliwiających kontynuację leczenia; 6) okres ciąży lub karmienia piersią; 7) brak współpracy lub nieprzestrzeganie zaleceń lekarskich, w tym dotyczących okresowych badań kontrolnych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo leczenia, ze strony świadczeniobiorcy lub jego opiekuna prawnego.		