

Załącznik B.127.

LECZENIE DOROSŁYCH CHORYCH NA CIĘŻKĄ ANEMIEĄ APLASTYCZNĄ (ICD-10: D61)

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE	BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU
1. Kryteria kwalifikacji 1) wiek 18 lat i powyżej; 2) rozpoznanie nabytej ciężkiej postaci niedokrwistości aplastycznej; 3) oporność na wcześniejsze leczenie immunosupresyjne lub przebyte wcześniejsze intensywne leczenie i brak kwalifikacji do transplantacji krwiotwórczych komórek macierzystych; 4) liczba płytek krwi $\leq 30\ 000/\mu\text{l}$; 5) brak nieprawidłowości cytogenetycznych dotyczących chromosomu 7. Kryteria kwalifikacji muszą być spełnione łącznie. Ponadto do programu lekowego, w celu zapewnienia kontynuacji terapii, kwalifikowani są również pacjenci, którzy byli leczeni eltrombopagiem w ramach innego sposobu finansowania terapii, 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 pacjenta z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia z programu określonymi w pkt. 3.	1. Dawkowanie eltrombopagu Leczenie eltrombopagiem należy rozpocząć od dawki 50 mg raz na dobę. U pacjentów pochodzenia wschodnioazjatyckiego leczenie eltrombopagiem należy rozpocząć od dawki wynoszącej 25 mg raz na dobę. Osiągnięcie odpowiedzi hematologicznej wymaga stopniowego zwiększania dawki, na ogół do wysokości 150 mg, co może zająć do 16 tygodni od rozpoczęcia leczenia eltrombopagiem. Dawkę należy dostosowywać, w razie konieczności zwiększając ją o 50 mg co 2 tygodnie, aby uzyskać liczbę płytek krwi $\geq 50\ 000/\mu\text{l}$. U pacjentów przyjmujących dawkę 25 mg raz na dobę, przed rozpoczęciem zwiększania dawki o 50 mg, należy zwiększyć dawkę do 50 mg na dobę. Nie należy przekraczać dawki 150 mg na dobę. Należy regularnie monitorować parametry hematologiczne i czynność wątroby przez cały czas trwania leczenia eltrombopagiem i modyfikować dawkowanie eltrombopagu w zależności od liczby płytek krwi, zgodnie z zapisami zawartymi w aktualnej na dzień	1. Badania przy kwalifikacji do leczenia eltrombopagiem 1) morfologia krwi z rozmazem; 2) parametry czynności wątroby (AlAT, AspAT, bilirubina całkowita); 3) badania umożliwiające wykluczenie innych stanów klinicznych przebiegających z małopłytkowością, w szczególności MDS; 4) biopsja aspiracyjna szpiku z badaniem cytogenetycznym oraz trepanobiopsja; 5) badanie okulistyczne; 6) test ciążowy u kobiet w wieku rozrodczym. 2. Monitorowanie leczenia 1) badania przeprowadzane w okresie dostosowania dawki: wykonywane co 2 tygodnie: a) parametry czynności wątroby (AlAT, AspAT, bilirubina całkowita). W przypadku podwyższonego stężenia bilirubiny badanie jej frakcji, b) morfologia krwi z rozmazem; 2) badania przeprowadzane po ustaleniu stabilnej dawki: a) wykonywane co 1 miesiąc;

3. Kryteria wyłączenia z programu 1) nadwrażliwość na eltrombopag lub którąkolwiek substancję pomocniczą; 2) brak odpowiedzi hematologicznej po 16 tygodniach leczenia; 3) wystąpienie nieprawidłowości cytogenetycznych stanowiących przeciwwskazanie do kontynuacji leczenia eltrombopagiem; 4) wystąpienie nowych lub postępujących nieprawidłowości morfologicznych lub cytopenii; 5) Zaburzenia czynności wątroby w skali Child-Pugh ≥ 5; 6) istotne zwiększenie się aktywności ALAT ($\geq 3 \times$ GGN u pacjentów z prawidłową czynnością wątroby, lub z wynikiem $\geq 3 \times$ wartość wyjściowa lub $> 5 \times$ GGN, którykolwiek z nich jest niższy, w przypadku pacjentów ze zwiększoną aktywnością transaminaz przed rozpoczęciem leczenia) 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; 7) ciąża; 8) karmienie piersią.	wydania decyzji Charakterystyce Produktu Leczniczego. U pacjentów, którzy uzyskają odpowiedź trójliniową, w tym niezależnie od transfuzji, trwającą przynajmniej 8 tygodni: dawkę eltrombopagu można zmniejszyć o 50%. Jeśli liczba komórek nie zmieni się po 8 tygodniach przy zmniejszonej dawce leku, eltrombopag trzeba odstawić i monitorować liczbę komórek krwi (morfologię krwi). Jeśli liczba płytek krwi spadnie do wartości $< 30\ 000/\mu\text{l}$, stężenie hemoglobiny zmniejszy się do $< 9\ \text{g/dl}$ lub całkowita liczba neutrofilów wyniesie $< 0,5 \times 10^9/\text{l}$, można wznowić leczenie eltrombopagiem we wcześniej stosowanej skutecznej dawce. Kryteria i sposób modyfikacji dawkowania dla szczególnych grup pacjentów określone są w aktualnej na dzień wydania decyzji Charakterystyce Produktu Leczniczego.	– morfologia krwi z rozmazem, – parametry czynności wątroby (ALAT, AspAT, bilirubina całkowita. W przypadku podwyższonego stężenia bilirubiny badanie jej frakcji); 3) badania przeprowadzane w przypadku wystąpienia nowych lub postępujących nieprawidłowości morfologicznych lub cytopenii: a) biopsja aspiracyjna szpiku kostnego z badaniem cytogenetycznym i trepanobiopsja (z oceną włóknienia); 4) badania przeprowadzane w okresie czasowego przerwania leczenia: a) wykonywane raz w tygodniu do czasu poprawy wyników: – morfologia krwi z rozmazem; 5) badanie wykonywane co 3 miesiące: a) okresowa kontrola okulistyczna; 6) biopsja aspiracyjna szpiku kostnego z badaniem cytogenetycznym po 3 miesiącach leczenia, a następnie biopsja aspiracyjna szpiku kostnego zbadaniem cytogenetycznym i trepanobiopsja po 9 miesiącach od rozpoczęcia leczenia. 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, 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.
--	--	--