

LECZENIE PACJENTÓW Z IMMUNOLOGICZNĄ ZAKRZEPOWĄ PLAMICĄ MAŁOPLYTKOWĄ (ICD-10: M31.1)

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	SCHEMAT DAWKOWANIA	BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU
<p>W programie finansuje się leczenie epizodów nabytej zakrzepowej plamicy małopłytkowej przy użyciu kaplacyzumabu w połączeniu z wymianą osocza oraz immunosupresją. Do programu kwalifikuje lekarz prowadzący.</p> <p>1. Kryteria włączenia</p> <ol style="list-style-type: none"> 1) wiek 12 lat lub powyżej; 2) masa ciała co najmniej 40 kg; 3) kliniczne objawy epizodu immunologicznej zakrzepowej plamicy małopłytkowej (iTTP), wymagającego leczenia z zastosowaniem wymiany osocza; 4) liczba płytek $<100 \times 10^9/L$; 5) rozpad czerwonych krwinek stwierdzony na podstawie obecności schistocytów w rozmazie krwi; 6) aktywność ADAMTS13 $<10\%$ oraz obecność inhibitora anty-ADAMTS13 (leczenie może być wprowadzone w oczekiwaniu na wyniki badania ADAMTS13 na podstawie oceny stanu klinicznego i innych wyników badań wykonywanych przy kwalifikacji do programu): <ol style="list-style-type: none"> a) ocena aktywności ADAMTS13 musi być przeprowadzona na podstawie próbki osocza pobranej przed rozpoczęciem leczenia z zastosowaniem wymiany osocza, 	<p>1. Dawkowanie</p> <p>Kaplacyzumab wskazany jest do stosowania w połączeniu z wymianą osocza oraz immunosupresją.</p> <p>Dawkowanie zgodnie z aktualną Charakterystyką Produktu Leczniczego.</p>	<p>1. Badania przy kwalifikacji</p> <ol style="list-style-type: none"> 1) oznaczenie aktywności ADAMTS13 – leczenie można wdrożyć w oczekiwaniu na wynik; 2) oznaczenie obecności inhibitora anty-ADAMTS13 – leczenie można wdrożyć w oczekiwaniu na wynik; 3) oznaczenie aktywności dehydrogenazy mleczanowej (LDH); 4) oznaczenie stężenia kreatyniny; 5) oznaczenie liczby płytek krwi; 6) morfologia krwi z rozmazem (obecność schistocytów); 7) oznaczenie aktywności aminotransferazy alaninowej (ALT); 8) badania przesiewowe w kierunku WZW typu B, zawierające co najmniej testy w kierunku HbsAg i HbcAb, a w przypadku dodatniego wyniku HbsAg lub HbcAb badanie HBV-DNA; 9) badania przesiewowe w kierunku WZW typu C, zawierające co najmniej oznaczenie przeciwciał anty-HCV, a w przypadku dodatniego wyniku badania na obecność przeciwciał anty-HCV badanie HCV-RNA; 10) test na HIV (przeciwciała anty-HIV w surowicy). <p>2. Monitorowanie leczenia</p>

<p>b) wyniki badań powinny być uzyskane w ciągu 5 dni od rozpoczęcia leczenia z zastosowaniem wymiany osocza, a czas oczekiwania na wynik nie może przekroczyć 7 dni;</p> <p>7) wykluczenie atypowego zespołu hemolityczno-mocznicowego;</p> <p>8) wykluczenie innych przyczyn małopłytkowości:</p> <p>a) kliniczne dowody infekcji jelitowej wywołanej przez <i>E.coli</i>,</p> <p>b) mikroangiopatia zakrzepowa związana z przeszczepieniem krwiotwórczych komórek macierzystych, szpiku kostnego lub organu,</p> <p>c) znana lub podejrzewana posocznica,</p> <p>d) diagnoza rozsianego krzepnięcia wewnątrznaczyniowego,</p> <p>e) przewlekła małopłytkowość immunologiczna;</p> <p>9) wykluczenie wysokiego ryzyka krwawienia z innych przyczyn niż małopłytkowość;</p> <p>10) wykluczenie ciąży.</p> <p>Powyższe kryteria kwalifikacji muszą być spełnione łącznie.</p> <p>Ponadto do programu lekowego kwalifikowani są również pacjenci wymagający kontynuacji leczenia, którzy byli leczeni kaplacyzumabem 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.</p> <p>2. Określenie czasu leczenia w programie</p> <p>1) kaplacyzumab stosuje się w trakcie oraz po zakończeniu leczenia z wykorzystaniem wymiany osocza (wraz z ewentualną immunosupresją – np. rytuksymab). Etapy leczenia kaplacyzumabem obejmują:</p>		<p>1) w czasie pierwszego etapu leczenia, tj. w okresie stosowania wymiany osocza:</p> <p>a) raz dziennie:</p> <ul style="list-style-type: none"> – morfologia krwi z rozmazem, <p>b) raz w tygodniu:</p> <ul style="list-style-type: none"> – oznaczenie aktywności dehydrogenzy mleczanowej (LDH), – oznaczenie stężenia kreatyniny, – oznaczenie stężenia haptoglobiny (Hp), – oznaczenie aktywności aminotransferazy alaninowej (ALT); <p>2) w czasie drugiego etapu leczenia, tj. w czasie kolejnych 30 dni leczenia kaplacyzumabem od momentu zakończenia wymiany osocza:</p> <p>a) raz w tygodniu:</p> <ul style="list-style-type: none"> – oznaczenie aktywności ADAMTS13, – morfologia krwi z rozmazem, – oznaczenie aktywności dehydrogenzy mleczanowej (LDH), – oznaczenie stężenia kreatyniny, – oznaczenie stężenia haptoglobiny (Hp), – oznaczenie stężenia aminotransferazy alaninowej (ALT); <p>3) w czasie opcjonalnego, trzeciego etapu leczenia (przedłużonego okresu leczenia kaplacyzumabem), tj. po zakończeniu etapu pierwszego oraz drugiego:</p> <p>a) raz w tygodniu:</p> <ul style="list-style-type: none"> – oznaczenie aktywności ADAMTS13,
---	--	--

<p>a) pierwszy etap leczenia: okres stosowania wymiany osocza,</p> <p>b) drugi etap leczenia: kolejne 30 dni od momentu zakończenia wymiany osocza,</p> <p>c) opcjonalny, trzeci etap leczenia (przedłużony okres leczenia kaplacyzumabem) następujący po zakończeniu etapu pierwszego i drugiego:</p> <p>i. u pacjentów, u których po zakończeniu drugiego etapu leczenia występuje poziom aktywności ADAMTS13 < 20%,</p> <p>ii. czas trwania leczenia w etapie trzecim: leczenie kaplacyzumabem w trakcie opcjonalnego, trzeciego etapu leczenia (przedłużony okres leczenia kaplacyzumabem) stosowane jest do momentu uzyskania pierwszego wyniku oznaczenia aktywności ADAMTS13 wynoszącego $\geq 30\%$ (na podstawie próbki osocza pobranej w trakcie monitorowania trzeciego etapu leczenia), ale nie dłużej, niż przez 28 dni (4 tygodnie);</p> <p>2) chorzy, u których pojawi się nawrót iTTP (tj. kolejny epizod iTTP określony zgodnie z kryteriami włączenia) mogą być ponownie kwalifikowani do podawania pełnego cyklu leczenia kaplacyzumabem (ponownie zaczynają leczenie od etapu 1.</p> <p>Leczenie trwa do czasu podjęcia przez lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia z programu.</p> <p>3. Kryteria wyłączenia z programu</p> <p>1) wystąpienie aktywnego, istotnego klinicznie krwawienia w trakcie terapii kaplacyzumabem;</p>		<p>— oznaczenie aktywności dehydrogenazy mleczanowej (LDH),</p> <p>— oznaczenie stężenia kreatyniny,</p> <p>— morfologia krwi z rozmazem.</p> <p>3. Monitorowanie programu</p> <p>1) gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolera Narodowego Funduszu Zdrowia;</p> <p>2) uzupełnienie 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;</p> <p>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.</p>
--	--	--

<p>2) wystąpienie objawów nadwrażliwości na którąkolwiek substancję czynną lub substancję pomocniczą;</p> <p>3) wystąpienie chorób lub stanów, które w opinii lekarza prowadzącego uniemożliwiają dalsze prowadzenie leczenia;</p> <p>4) aktywność ADAMTS13 $\geq 10\%$ na podstawie oceny próbki osocza pobranej przed rozpoczęciem leczenia z zastosowaniem wymiany osocza – wynik powinien być uzyskany w ciągu 5 dni od rozpoczęcia leczenia z zastosowaniem wymiany osocza, a czas oczekiwania na wynik nie może przekroczyć 7 dni;</p> <p>5) negatywny wynik na obecność inhibitora ADAMTS13 – na podstawie oceny próbki osocza pobranej przed rozpoczęciem leczenia z zastosowaniem wymiany osocza – wynik powinien być uzyskany w ciągu 5 dni od rozpoczęcia leczenia z zastosowaniem wymiany osocza, a czas oczekiwania na wynik nie może przekroczyć 7 dni;</p> <p>6) aktywność ADAMTS13 $\geq 30\%$ na podstawie oceny próbki osocza pobranej w trakcie trwania trzeciego, opcjonalnego etapu leczenia;</p> <p>7) ciąża;</p> <p>8) wystąpienie ciężkich działań niepożądanych związanych z lekiem;</p> <p>9) brak współpracy lub nieprzestrzeganie zaleceń lekarskich, w tym zwłaszcza dotyczących okresowych badań kontrolnych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo leczenia ze strony świadczeniobiorcy lub jego prawnych opiekunów.</p>		
--	--	--

1. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 18 września 2024 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 października 2024 r.

Link do skróconej informacji o leku: https://www.campus.sanofi/dam/jcr:224c9ef0-cf40-42cb-9bb0-5c64a58993e7/Cablivi_SIL_11.2024.pdf