Załącznik Nr 9 do zarządzenia Nr 143/2023/DGL  
Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia  
z dnia 2 października 2023 r.

**Zakres działania zespołu koordynacyjnego odpowiedzialnego za kwalifikację i weryfikację skuteczności leczenia nocnej napadowej hemoglobinurii (PNH)**

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **1.** | **Charakterystyka świadczenia** | |
| 1.1 | kompetencje zespołu | Kwalifikacja i weryfikacja skuteczności leczenia nocnej napadowej hemoglobinurii |
| 1.2 | zakres świadczenia – programy lekowe objęte weryfikacją leczenia przez zespół koordynacyjny | Leczenie chorych z nocną napadową hemoglobinurią (PNH) |
| 1.3 | choroby i problemy zdrowotne (wg ICD 10) objęte świadczeniem | D 59.5 - Nocna napadowa hemoglobinuria |
| 1.4 | świadczenia skojarzone | nie dotyczy |
| 1.5 | oznaczenie zespołu koordynacyjnego odpowiadającego za kwalifikację i weryfikację leczenia | Zespół Koordynacyjny do Spraw Leczenia Nocnej Napadowej Hemoglobinurii |
| 1.6 | jednostka koordynująca | Instytut Matki i Dziecka  01-211 Warszawa  ul. Kasprzaka 17a |
| 1.7 | kwalifikacje lekarzy specjalistów – członków zespołu koordynacyjnego | lekarze specjaliści w dziedzinie hematologii lub onkologii i hematologii dziecięcej, lub pediatrii |
| 1.8 | zasady weryfikacji skuteczności leczenia chorych wymagających udzielenia świadczenia | 1) kryteria kwalifikacji i weryfikacji zostały określone w opisie programu lekowego;  2) kwalifikacja i weryfikacja skuteczności leczenia ekulizumabem w zakresie nocnej napadowej hemoglobinurii (PNH) dokonywana jest w oparciu o wnioski przedłożone za pośrednictwem elektronicznego systemu monitorowania programów lekowych;  3) kwalifikacja i weryfikacja skuteczności leczenia rawulizumabem lub pegcetakoplanem w zakresie nocnej napadowej hemoglobinurii (PNH) dokonywana jest w oparciu o wnioski określone w pkt. 2 |
| 1.9 | specyfikacja zasadniczych procedur medycznych wykonywanych w trakcie udzielania świadczenia (wg ICD 9 CM) | 89.00 - porada lekarska, konsultacja, asysta |

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
| **2. Wzory dokumentów niezbędnych dla kwalifikacji pacjenta do leczenia w programie lekowym Leczenie chorych z nocną napadową hemoglobinurią (PNH)** | | | |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |

**Wniosek o zakwalifikowanie pacjenta do leczenia w programie lekowym Leczenie chorych z nocną napadową hemoglobinurią (PNH) – rawulizumab lub pegcetakoplan**

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |

**Dane personalne pacjenta i nazwa jednostki kierującej:**

|  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- |
| Imię i nazwisko | | | PESEL | |
|  |  |  | |  | |
|  |  |  | |  | |

Data wystawienia wniosku:

Świadczeniodawca wystawiający wniosek:

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |

**Dane do kwalifikacji:**

Wiek pacjenta: ............................

Kwalifikacja pacjenta do leczenia rawulizumabem

pacjent nie leczony uprzednio ekulizumebem

pacjent stabilny klinicznie po terapii ekulizumebem

Kwalifikacja pacjenta do leczenia pegcetakoplanem

W przypadku kwalifikacji pacjenta leczonego wcześniej ekulizumabem proszę podać:

|  |  |
| --- | --- |
| Nr pacjenta w systemie SMPT: |  |
| Okres leczenia ekulizumabem: |  |

**Badania:**

|  |  |
| --- | --- |
| **Nazwa badania** | **Wynik badania**  **(zgodnie z opisem programu lekowego)**  - do wniosku można dołączyć kopię wyników badań |
| badanie granulocytów oraz erytrocytów w cytometrze przepływowym pod kątem obecności klonu PNH |  |
| test ciążowy u kobiet w wieku rozrodczym |  |
| aktywność dehydrogenazy mleczanowej (LDH) |  |
| morfologia krwi z rozmazem / morfologia krwi obwodowej z rozmazem i z liczbą retikulocytów |  |
| czas częściowej tromboplastyny po aktywacji (APTT) |  |
| czas protrombinowy (PT) |  |
| fibrynogen |  |
| odczyn Coombsa |  |
| oznaczenie grupy krwi |  |
| stężenie kreatyniny w surowicy krwi |  |
| stężenie mocznika w surowicy krwi |  |
| aktywność aminotransferazy asparaginowej (AspAT) |  |
| aktywność aminotransferazy alaninowej (AlAT) |  |
| stężenie bilirubiny całkowitej i bezpośredniej w surowicy krwi |  |
| stężenie haptoglobiny (Hp) w surowicy krwi |  |
| stężenie sodu w surowicy krwi |  |
| stężenie potasu w surowicy krwi |  |
| badanie ogólne moczu |  |
| badania obrazowe naczyń w przypadku podejrzenia zakrzepicy żylnej lub tętniczej lub incydentów zatorowych w zależności od umiejscowienia: ultrasonogram (USG) lub tomografia komputerowa (TK) lub magnetyczny rezonans jądrowy (MRI) |  |
| trepanobiopsja |  |

**Informacje o spełnieniu kryteriów kwalifikacji** - zgodnie z opisem programu lekowego – proszę uzupełnić właściwe pole lub wpisać nie dotyczy

|  |
| --- |
| **Leczenie rawulizumabem** |
| **Zdiagnozowana nocna napadowa hemoglobinuria z obecnością klonu PNH >1% oznaczonego w badaniu cytometrii przepływowej i co najmniej jeden z poniższych:** |
| a) objawy hemolizy związane z PNH oraz (łącznie):  • aktywnością dehydrogenazy mleczanowej (LDH) ≥1,5 przekraczająca górną granicę normy (GGN),  • co najmniej jedno z powikłań związanych z hemolizą:  - niewydolność nerek,  - nadciśnienie płucne lub duszność,  - znaczne zmęczenie ocenione wg FACIT upośledzające codzienną aktywność,  - hemoglobinuria,  - bóle brzucha,  - niedokrwistość (stężenie hemoglobiny < 10g/dL),  - dysfagia,  - zaburzenia erekcji,  b) zakrzepica lub poważne zdarzenie naczyniowe w tym:  • zakrzepowe zapalenie żył głębokich/zakrzepica żył głębokich,  • zator tętnicy płucnej,  • zdarzenia mózgowo-naczyniowe,  • amputacja,  • zawał mięśnia sercowego,  • napad przemijającego niedokrwienia,  • niestabilna dławica piersiowa,  • zakrzepica żyły nerkowej,  • zakrzepica żył krezkowych,  • zakrzepica żyły wrotnej,  • zgorzel,  • ostre zamknięcia naczyń obwodowych; |
| Uwagi: |
| **Leczenie pegcetakoplanem** |
| **zdiagnozowana nocna napadowa hemoglobinuria z obecnością klonu PNH >1% oznaczonego w badaniu cytometrii przepływowej**  **obecność niedokrwistości w trakcie leczenia inhibitorem C5 przez co najmniej 3 miesiące u pacjentów, którzy w chwili rozpoczęcia leczenia inhibitorem C5 spełniali kryteria kwalifikacji do programu lekowego;**  **nieobecność niewyleczonego zakażenia wywołanego przez bakterie otoczkowe, w tym Neisseria meningitidis, Streptococcus pneumoniae i Haemophilus influenzae;** |
| Uwagi: |
|  |
|  |

**Informacja o szczepieniach i profilaktyka antybiotykowa:**

|  |
| --- |
|  |
|  |
|  |
|  |

**Dodatkowe informacje wynikające z opisu programu lekowego tj.:**

-  *nieobecność istotnych schorzeń współistniejących stanowiących przeciwskazanie do terapii stwierdzonych przez lekarza prowadzącego w oparciu o aktualną ChPL*

-  *brak przeciwwskazań do stosowania określonej w aktualnej ChPL substancji czynnej ujętej w programie lekowym*

-  *w przypadku kobiet oraz poddanych leczeniu mężczyzn będących partnerami kobiet w wieku rozrodczym wymagana jest zgoda na świadomą kontrolę urodzeń, zgodnie z aktualną Charakterystyką Produktu Leczniczego (zwanej dalej ChPL) leku, którym odbywa się leczenie w programie lekowym;*

-  *w przypadku kwalifikacji do rawulizumabu u pacjentów wcześniej leczonych ekulizumabem - stosowanie ekulizumabu przez co najmniej 6 ostatnich miesięcy;*

Proszę odnieść się do powyższych kryteriów:

|  |
| --- |
|  |
|  |
|  |
|  |

**Uwagi:**

.....................................................................................................................................................

.....................................................................................................................................................

.....................................................................................................................................................

|  |  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- | --- |
|  |  |  | | |  |
|  |  |  | | |  |
| Data: ………………………… | | | | ……………..……………………………… | |
|  | | |  | *nadruk lub pieczątka zawierające imię i nazwisko lekarza, numer prawa wykonywania zawodu oraz jego podpis* | |

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |

**Wniosek o kontynuację leczenia pacjenta w programie lekowym Leczenie chorych nocną napadową hemoglobinurią – rawulizumab lub pegcetakoplan**

- skierowanie wniosku do Zespołu Koordynacyjnego zgodnie z kryteriami określonymi w opisie programu lekowego w części

|  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- |
|  |  |  |  |
|  |  |  |  |

**Dane personalne pacjenta i nazwa jednostki kierującej:**

|  |  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- | --- |
| Imię i nazwisko | | |  | | |
| PESEL | | |  | | |
| Wiek pacjenta | | |  | | |
| Data wystawienia wniosku | | |  | | |
| Świadczeniodawca wystawiający wniosek | | |  | | |
| Stosowany u pacjenta lek | | |  | | |
|  |  |  | |  |
|  |  |  | |  |

**Badania:**

|  |  |
| --- | --- |
| **Nazwa badania** | **Wynik badania**  - do wniosku można dołączyć kopię wyników badań |
| badanie obecności klonów PNH w cytometrze przepływowym |  |
| aktywność dehydrogenazy mleczanowej (LDH) |  |
| morfologia krwi z rozmazem |  |
| odczyn Coombsa |  |
| stężenie kreatyniny w surowicy krwi |  |
| stężenie mocznika w surowicy krwi |  |
| aktywność aminotransferazy asparaginowej (AspAT) |  |
| aktywność aminotransferazy alaninowej (AlAT) |  |
| stężenie bilirubiny całkowitej |  |

**Ocena skuteczności zastosowanej terapii po 3 miesiącach terapii:**

|  |
| --- |
|  |
|  |
|  |

**Dodatkowe informacje:**

|  |
| --- |
|  |
|  |
|  |
|  |

**Uwagi:**

.....................................................................................................................................................

.....................................................................................................................................................

.....................................................................................................................................................

|  |  |  |  |  |  |
| --- | --- | --- | --- | --- | --- |
|  |  |  | | |  |
|  |  |  | | |  |
| Data: ………………………… | | | | ……………..……………………………… | |
|  | | |  | *nadruk lub pieczątka zawierające imię i nazwisko lekarza, numer prawa wykonywania zawodu oraz jego podpis* | |

........................ dnia……………………..

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
|  |  |  |

**Decyzja dotycząca kwalifikacji do leczenia w programie lekowym Leczenie chorych z nocną napadową hemoglobinurią (PNH)**

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
|  |  |  |
|  |  |  |

Przewodniczący Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Nocnej Napadowej Hemoglobinurii

Pan/Pani: ......................................................................................................................................

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
|  |  |  |

Dotyczy pacjenta:

Imię i nazwisko: ……………………………………………PESEL: ………………………….

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
|  |  |  |

Świadczeniodawca wnioskujący: ………………………………………………………………

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
|  |  |  |

Lek: rawulizumab

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
|  |  |  |

Decyzja: Pozytywna/Negatywna/Przerwanie terapii

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
|  |  |  |
|  |  |  |
| Data decyzji:……………………. | ……………………………...…………………………………. | |
|  | Podpis Przewodniczącego Zespołu Koordynacyjnego ds. Leczenia Nocnej Napadowej Hemoglobinurii | |
|  |  |  |
|  |  |  |

Dodatkowe informacje:

|  |
| --- |
|  |
|  |
|  |
|  |

Administrator danych osobowych, przetwarzający dane niezbędne przy realizacji programu lekowego zobowiązany jest do stosowania przepisów Rozporządzenia Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2016/679 z dnia 27 kwietnia 2016 r. w sprawie ochrony osób fizycznych w związku z przetwarzaniem danych osobowych i w sprawie swobodnego przepływu takich danych oraz uchylenia dyrektywy 95/46/WE (Ogólne rozporządzenie o ochronie danych - RODO).

**Załącznik do wniosku o zakwalifikowanie pacjenta do leczenia w programie lekowym Leczenie chorych nocną napadową hemoglobinurią (PNH)**

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
|  |  |  |

Wyrażam zgodę na przetwarzanie moich danych osobowych w celach wynikających  
z art. 188 oraz art. 188c ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych.

Zostałam(em) poinformowana(y) o istocie choroby, możliwości wystąpienia objawów niepożądanych i powikłań zastosowanej terapii oraz o możliwości zaprzestania terapii.

Mając powyższe na uwadze, wyrażam zgodę na leczenie rawulizumabem/pegcetakoplanem\* oraz zobowiązuję się do przyjmowania tego leku zgodnie z zaleceniami lekarskimi, oraz stawienia się na badania kontrolne w wyznaczonych terminach.

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
|  |  |  |
|  |  |  |
|  |  |  |
| Data ........................................... | .................................................................. | |
|  | Podpis pacjenta (w przypadku dziecka podpis rodziców lub opiekuna) | |
|  |  |  |
|  |  |  |
|  |  |  |
| Data ........................................... | .................................................................. | |
|  | Podpis lekarza | |
|  |  |  |
|  |  |  |
|  |  |  |

Administrator danych osobowych, przetwarzający dane niezbędne przy realizacji programu lekowego zobowiązany jest do stosowania przepisów Rozporządzenia Parlamentu Europejskiego i Rady (UE) 2016/679 z dnia 27 kwietnia 2016 r. w sprawie ochrony osób fizycznych w związku z przetwarzaniem danych osobowych i w sprawie swobodnego przepływu takich danych oraz uchylenia dyrektywy 95/46/WE (Ogólne rozporządzenie o ochronie danych — RODO).

*\*niepotrzebne skreślić*