

## LECZENIE HIPOFOSSTEMII SPRZĘŻONEJ Z CHROMOSOMEM X (ICD-10 **X X**)

<b>ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO</b>		
<b>ŚWIADCZENIOBIORCY</b>	<b>SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE</b>	<b>BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU</b>
<p><b>1. Kryteria kwalifikowania do programu lekowego chorych z hipofosfatemią sprzężoną z chromosomem X.</b></p> <p>1.1. Rozpoznanie XLH potwierdzone obecnością mutacji PHEX u chorego lub bezpośrednio spokrewnionego członka rodziny, z którym związane jest dziedziczenie sprzężone z chromosomem X.</p> <p>1.2. Dzieci w wieku <math>\geq 1</math> r.ż. oraz młodzież, u której nie nastąpiło zamknięcie płytki wzrostowej (chrząstki nasadowej).</p> <p>1.3. Radiologicznie potwierdzona choroba kości (RSS <math>\geq 2</math>).</p> <p>1.4. Stężenie fosforanów w surowicy na czczo poniżej zakresu prawidłowego, odpowiedniego dla wieku.</p> <p>1.5. Przerwanie stosowania doustnych fosforanów i aktywnych analogów witaminy D na 1 tydzień przed rozpoczęciem leczenia burosumabem.</p> <p>1.6. Wykluczenie ciężkiego zaburzenia czynności nerek lub schyłkowej niewydolności nerek.</p> <p>Powyższe kryteria kwalifikacji muszą być spełnione łącznie.</p> <p><b>2. Kryteria uniemożliwiające włączenie do programu:</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) Przeciwwskazania do terapii zgodne z <i>Charakterystyką produktu leczniczego</i>.</li> <li>2) Nadwrażliwość na substancję czynną lub na którąkolwiek substancję pomocniczą.</li> <li>3) Hipokalcemia lub hiperkalcemia, definiowane jako poziomy wapnia w surowicy poza normami skorygowanymi względem wieku.</li> <li>4) Nadczynność przytarczyc.</li> </ol>	<p><b>1. Dawkowanie leków w programie</b></p> <p>Dawkowanie leku Crysvida (burosumab) w programie i modyfikowanie zgodne z Charakterystyką Produktu Leczniczego.</p>	<p><b>1. Badania przy kwalifikowaniu do leczenia</b></p> <p><b>1.1. Badania obrazowe dokumentujące lub wskazujące na objawy hipofosfatemii</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1.1.1. RTG kośćca;</li> <li>1.1.2. USG nerek</li> </ol> <p><b>1.2. Badania laboratoryjne i konsultacje specjalistyczne</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1.2.1. Oznaczenia stężenia fosforanów, wapnia, kreatyniny, PTH, ALP w surowicy;</li> <li>1.2.2. Oznaczenia stężenia fosforanów, wapnia, i kreatyniny w moczu.</li> <li>1.2.3. Wartość wskaźnika TmP/GFR.</li> <li>1.2.4. Wartość wskaźnika Ca/kreatynina.</li> <li>1.2.5. Dostępny wynik potwierdzający obecność mutacji w genie PHEX chorego lub bezpośrednio spokrewnionego członka rodziny, z którym związane jest dziedziczenie sprzężone z chromosomem X, w dokumentacji medycznej.</li> </ol> <p><b>2. Monitorowanie leczenia</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) Oznaczenia stężenia fosforanów, wapnia, kreatyniny, PTH, ALP w surowicy;</li> <li>2) Oznaczenia stężenia fosforanów, wapnia, i kreatyniny w moczu.</li> <li>3) Wartość wskaźnika TmP/GFR.</li> <li>4) Wartość wskaźnika Ca/kreatynina</li> <li>5) Badanie RTG;</li> </ol>

<p><b>3. Określenie czasu leczenia w programie</b></p> <p>3.1. Kryteria wczesnego przerwania leczenia oceniane w 6 mies. leczenia.</p> <p>U chorych należy przerwać leczenie, jeśli w 6 miesiącu leczenia:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>a) Brak normalizacji stężenia fosforanów w dwóch kolejnych oznaczeniach lub stężenie fosforanów podwyższyło się &lt;30% w stosunku do wartości początkowych (w warunkach, w których osiągnięto maksymalną zalecaną dawkę) oraz</li> <li>b) Brak normalizacji stężenia TmP/GFR przy dwóch kolejnych oznaczeniach LUB stężenie TmP/GFR podwyższyło się o &lt;30% w stosunku do wartości początkowych.</li> </ul> <p>3.2 Kryteria późniejszego przerwania leczenia oceniane w 12 mies. leczenia.</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>a) Nie nastąpiła poprawa w całkowitego wyniku RSS o <math>\geq 0,5</math> pkt. w 12 mies. względem wartości początkowych (momentu rozpoczęcia leczenia) lub</li> <li>b) Wynik RSS osiągnięty w czasie 12 mies. leczenia nie utrzymał się.</li> </ul> <p>3.3. Ukończenie przez chorego 18 r.ż.</p> <p><b>4. Kryteria wyłączenia z programu</b></p> <p>4.1 Nadwrażliwość na substancję czynną lub na którąkolwiek substancję pomocniczą.</p> <p>4.2 Ciężkie reakcje w miejscu wstrzyknięcia.</p>		<ul style="list-style-type: none"> <li>6) USG nerek;</li> <li>7) Ocena ciężkości krzywicy na podstawie skali RSS.</li> </ul> <p>Stężenie fosforanów w surowicy na czczo należy oznaczać co 2 tygodnie przez pierwszy miesiąc leczenia, co 4 tygodnie przez kolejne 2 miesiące, a następnie według potrzeb. Stężenie fosforanów w surowicy na czczo należy również oznaczać 2 tygodnie po każdym dostosowaniu dawki.</p> <p>Zaleca się wykonanie USG nerek na początku leczenia i co 6 miesięcy przez pierwszych 12 miesięcy terapii, a następnie co roku. Zalecane jest monitorowanie aktywności fosfataz alkalicznych w osoczu, a także stężenia wapnia, parathormonu (PTH) i kreatyniny co 6 miesięcy (co 3 miesiące u dzieci w wieku 1–2 lat) lub zgodnie ze wskazaniami.</p> <p><b>3. Monitorowanie programu</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>a) Gromadzenie w dokumentacji medycznej danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia (NFZ);</li> <li>b) Uzupełnienie danych zawartych w rejestrze (system monitorowania programów terapeutycznych - SMPT) dostępnym za pomocą aplikacji internetowej udostępnionej przez Oddział Wojewódzki NFZ z częstotliwością zgodną z opisem programu oraz na zakończenie leczenia;</li> <li>c) Przekazywanie informacji sprawozdawczo-rozliczeniowych do NFZ (informacje przekazuje się do NFZ w formie papierowej lub w formie elektronicznej zgodnie z wymaganiami opublikowanymi przez NFZ).</li> </ul>
---	--	---