

Załącznik nr 12
do zarządzenia Nr 59/2011/DGL Prezesa NFZ
z dnia 10 października 2011 roku

Nazwa programu:

LECZENIE PIERWOTNYCH NIEDOBORÓW ODPORNOŚCI U DZIECI

ICD – 10 D80 w tym D80.0, D80.1, D80.3, D80.4, D80.5, D80.6, D80.8, D80.9
D81 w całości
D82 w tym: D82.0, D82.1, D82.3, D82.8, D82.9
D83 w tym: D83.0, D83.1, D83.3, D83.8, D83.9
D89

Dziedzina medycyny: Pediatria
 Immunologia Kliniczna

I. Cel programu:

1. Profilaktyka zakażeń bakteryjnych, wirusowych i grzybiczych.
2. Przeciwdziałanie rozwojowi przewlekłych zmian zapalnych u dzieci z wrodzonymi zaburzeniami odporności.

II. Opis problemu medycznego:

Wrodzone niedobory odporności ujawniają się klinicznie zazwyczaj w okresie niemowlęco – dziecięcym i stanowią poważny problem diagnostyczny i terapeutyczny. Wieloletnie badania kliniczne nad dziećmi z pierwotnymi niedoborami odporności humoralnej udowodniły, że niedobór IgG jest wskazaniem do rozpoczęcia terapii substytucyjnej.

Pacjenci z pierwotnymi niedoborami odporności stanowią istotną grupę chorych z ciężkimi, uporczywie nawracającymi, a także przewlekłymi zakażeniami różnych narządów oraz zakażeniami uogólniającymi się, które mogą prowadzić do kalectwa lub nawet śmierci.

Pacjenci wymagają stałego leczenia substytucyjnego.

Epidemiologia:

Uśredniona częstość tych chorób to około 1 dziecko na 6 tys. urodzonych. Ponad 50% tych dzieci ma upośledzoną syntezę przeciwciał, co predysponuje je do wszelkiego typu zakażeń.

III. Opis programu:

1. Substancje czynne finansowane w ramach programu:

Preparaty immunoglobulin zawierających pełne niemodyfikowane cząsteczki IgG - fiołki zawierające lek do wlewów i.v. i do podań podskórnych.

Opis działania leku

Mechanizm działania: substytucja – uzupełnienie brakujących cząstek IgG.

2. Kryteria włączenia do programu:

- rozpoznanie pierwotnych zaburzeń odporności - *według definicji WHO (World Health Organization report on Primary Immunodeficiencies, Clinical and Experimental Immunology, Vol. 99 (Suppl.1), 1995)*,
- wykluczenie innych przyczyn zaburzeń odporności,
- stężenie IgG poniżej 400mg/dl jest wskazaniem do rozpoczęcia terapii substytucyjnej.

3. Schemat podawania leków:

1.1 Pierwsze podanie immunoglobulin w dawce 0,6-0,8 g/kg m.c. we wlewie i.v. w celu znormalizowania poziomu stężenia IgG w surowicy (dawka może być podzielona na dwa wlewy w odstępie 24 godzin).

1.2 Kontynuacja leczenia substytucyjnego wlewami w dawce do 0,4 g/kg m. c. w odstępach 4 tygodniowych (modyfikacja dawki odpowiednio do udokumentowanego, osiągniętego ochronnego poziomu IgG w surowicy).

W przypadku postaci farmaceutycznej do podań podskórnych 1,6 g preparat powinien umożliwić osiągnięcie stałego poziomu IgG. Świadczeniobiorca może wymagać podania dawki nasycającej co najmniej 0,2 do 0,5 g/kg m.c. w okresie tygodnia (0,1 do 0,15 g/kg masy ciała w okresie jednego dnia.) Po osiągnięciu stałego poziomu skumulowanej dawki miesięcznej rzędu 0,4 do 0,8 g/kg m.c. należy oznaczyć stężenia minimalne w celu dostosowania dawek i odstępu pomiędzy dawkami.

Dawkowanie preparatów gammaglobulin do podawania podskórnego:

Podskórne preparaty gammaglobulin wydawane są przez szpital (Poradnia Immunologii Klinicznej) do domu. Świadczeniobiorca samodzielnie lub z pomocą podaje je przez

pompę infuzyjną 1 raz w tygodniu. Sumaryczna miesięczna dawka odpowiada dawkom preparatów dożylnych. Świadczeniobiorca przetacza sobie ¼ dawki miesięcznej.

Określenie czasu leczenia w programie:

Czas leczenia w programie określa lekarz na podstawie kryteriów wyłączenia z programu.

4. Monitorowanie programu

Na monitorowanie programu składa się:

a) monitorowanie leczenia

W celu przeprowadzenia kwalifikacji pacjenta do udziału w programie i monitorowania leczenia świadczeniodawca jest zobowiązany wykonać w wyznaczonych terminach badania, których lista i harmonogram wykonania zawiera załącznik nr 1 do programu.

Dane dotyczące monitorowania leczenia należy gromadzić w dokumentacji pacjenta i każdorazowo przedstawiać na żądanie kontrolerom NFZ.

W dokumentacji pacjenta zarówno ambulatoryjnej jak i szpitalnej należy umieścić następujące informacje dotyczące programu:

- informacje dotyczące monitorowania leczenia programem,
- informacja na temat zakończenia leczenia i osiągniętego efektu terapeutycznego.

b) przekazywanie do NFZ zakresu informacji sprawozdawczo-rozliczeniowych ujętych w załączniku nr 4 do umowy.

5. Kryteria wyłączenia z programu:

- nadwrażliwość na immunoglobuliny lub inny składnik preparatu.

Towarzyszący niedoborowi IgG niedobór IgA z występowaniem przeciwciał przeciwko IgA wymaga leczenia w ośrodku z oddziałem intensywnej terapii.

6. Wymagania wobec świadczeniodawców udzielających świadczeń w ramach programu terapeutycznego, ujęto w załączniku nr 3 do Zarządzenia.

Załącznik nr 1 do programu

BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU

1. Badania przy kwalifikacji

- 1) morfologia krwi z rozmazem;
- 2) ALAT;
- 3) AspAT;
- 4) oznaczanie subpopulacji limfocytów;
- 5) oznaczanie poziomu immunoglobulin i podklas IgG lub swoistych przeciwciał;
- 6) proteinogram;
- 7) badanie czynności fagocytarnych i neutralizacji patogenów;
- 8) badanie ekspresji cząstek adhezyjnych;
- 9) badanie składowych dopełniacza;
- 10) test stymulacji limfocytów.

W przypadku preparatów gammaglobulin do podawania dożylnego lub podskórnego: badania wirusologiczne (zakażenia HBV, HCV) – przed włączeniem leczenia.

2. Monitorowanie leczenia

2.1 Immunoglobuliny dożylne

Badanie przeprowadzane przed każdym podaniem leku zgodnie z harmonogramem dawkowania co 4 tyg.:

- a) morfologia krwi z rozmazem,
- b) ALAT,
- c) AspAT,
- d) poziom IgG w surowicy.

Raz na 3 miesiące (przed podaniem immunoglobulin); w przypadku braku komplikacji raz na pół roku:
- oznaczanie stężenia immunoglobulin IgG i podklas IgG lub swoistych przeciwciał w surowicy krwi.

W przypadku wskazań dodatkowo:

- a) IgA w surowicy krwi,
- b) IgM w surowicy krwi.

Raz na 6 miesięcy:

- USG jamy brzusznej.

Powikłania infekcyjne stanowią wskazania do wykonania badań:

- a) oznaczanie stężenia immunoglobulin IgG i podklas IgG lub swoistych przeciwciał w surowicy krwi.
- b) IgA w surowicy krwi,
- c) IgM w surowicy krwi,
- d) USG jamy brzusznej.

2.2 Immunoglobuliny podskórne

Badania kontrolne są wykonywane standardowo co 4-6 miesięcy:

- a) badania efektywności leczenia (stężenie IgG i podklas IgG lub swoistych przeciwciał),
- b) morfologia krwi z rozmazem,
- c) AlAT,
- d) AspAT.

Raz na 6 miesięcy:

- USG jamy brzusznej.

Raz na rok:

- badania wirusologiczne (zakażenia HBV, HCV).