

Nazwa programu:

LECZENIE MUKOPOLISACHARYDOZY TYPU II

ICD-10 E-76.1 Mukopolisacharydoza typu II (MPS II, zespół Huntera)

Dziedzina medycyny: pediatria, choroby wewnętrzne

I. Cel programu:

1. Zahamowanie postępu choroby;
2. Poprawa stanu klinicznego osób chorych;
3. Poprawa funkcji motorycznych;
3. Poprawa jakości życia chorych.

II. Opis problemu medycznego:

Zespół Huntera (mukopolisacharydoza typu II — MPS typu II) należy do genetycznie uwarunkowanych chorób metabolicznych, wywoływanych zaburzeniami metabolizmu kwaśnych mukopolisacharydów (glikozoaminoglikanów). Dziedziczenie tej choroby ma charakter recesywny związany z chromosomem X. Istotą choroby jest głęboki deficyt aktywności sulfatazy iduronianu, powodujący gromadzenie się nierozłożonych substratów, z powstawaniem wtórnych zmian w obrębie komórek i tkanek.

U chorych stwierdza się głęboki deficyt aktywności sulfatazy iduronianu, z nadmiernym wydalaniem mukopolisacharydów z moczem.

Obraz kliniczny

Choroby lizosomalne charakteryzują się ogromną różnorodnością obrazu klinicznego (fenotypu). Tak jak we wszystkich mukopolisacharydozach, w zespole Huntera występuje uogólnione zajęcie tkanek pochodzenia mezenchymalnego, czego skutkiem są charakterystyczne dla tej grupy chorób zmiany kostne, opisywane jako *dysostosis multiplex*.

Klinicznie wyróżnia się dwa podtypy choroby, jeden — znacznie częściej występujący, z zajęciem ośrodkowego układu nerwowego i postępującym upośledzeniem fizycznym i umysłowym, oraz drugi, rzadszy przebiegający bez upośledzenia umysłowego.

Proces chorobowy szczególnie intensywnie przebiega w tkance łącznej. Wśród objawów klinicznych zespołu Huntera wymienia się także:

- ⇒ uszkodzenie zastawek serca i/lub uszkodzenie mięśnia sercowego,
- ⇒ przepukliny pępkowe lub pachwinowe, pojawiające się w okresie niemowlęcym,
- ⇒ przykurcze w stawach, ze znacznym ograniczeniem ich ruchomości,
- ⇒ pogrubienie kości płaskich i skrócenie oraz zniekształcenia kości długich,
- ⇒ u chorych z zajęciem OUN często stwierdza się wodogłowie,
- ⇒ powiększoną wątrobę i śledzionę,
- ⇒ nawracające infekcje górnych dróg oddechowych i ucha środkowego,
- ⇒ niedosłuch, a często głuchotę, stwierdza się u wszystkich chorych.

Chorzy z postacią ciężką dożywają zwykle drugiej dekady życia, a z postacią łagodniejszą do 3, a nawet 4 dekady życia.

Epidemiologia

Zespół Huntera należy do tzw. chorób rzadkich (*rare diseases*), które w Europie definiuje się jako występujące nie częściej niż raz na 2 000 osób. Częstość występowania wszystkich chorób lizosomalnych szacuje się na 1:7 000 do 1:8 000 żywych urodzeń. W Polsce częstość ta wynosi ok. 1:23 000 żywych urodzeń, w tym mukopolisacharydozy 1:42 000 żywych urodzeń. Według danych europejskich mukopolisacharydozę typu II diagnozuje się u 1:72 000–132 000 dzieci płci męskiej, a według danych Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Mukopolisacharydozę i Choroby Pokrewne, choroba ta dotyka jednego chłopca na 100 000 do 150 000 żywych urodzeń i stanowi około 20% wszystkich zachorowań na mukopolisacharydozy.

Obecnie pod opieką Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Mukopolisacharydozę i Choroby Pokrewne znajdują się 34 osoby z chorobą Huntera, natomiast według danych Instytutu Psychiatrii i Neurologii, z 2005 roku, ten typ mukopolisacharydozy rozpoznano u 42 osób, w tym u jednej dziewczynki.

III. Opis programu

Program obejmuje stosowanie enzymatycznego leczenia substytucyjnego przy użyciu sulfatazy iduronianu, w celu zahamowania postępu MPS typu II oraz ograniczenia powikłań związanych z tą chorobą.

1. Substancja czynna finansowana w ramach programu: sulfataza iduronianu (idursulfase)

Opis działania leku

Sulfataza iduronianu jest oczyszczoną postacią enzymu lizosomalnego sulfatazy-L-iduronianu, syntetyzowanego w linii komórek ludzkich, zapewniającego „ludzką” charakterystykę glikozylacji, która jest analogiczna do charakterystyki naturalnie występującego enzymu.

Leczenie pacjentów z zespołem Huntera za pomocą dożylnego podawania leku — Elaprase polega na dostarczaniu egzogenego enzymu do „wychwytu” przez lizosomy. Reszty mannozo-6-fosforanu (M6P), na łańcuchach oligosacharydowych, umożliwiają swoiste przyłączenie enzymu do receptorów M6P zlokalizowanych na powierzchni komórek, prowadząc do komórkowej internalizacji enzymu i ukierunkowując go do lizosomów wewnątrzkomórkowych oraz dalszego katabolizmu nagromadzonych w komórkach glikozoaminoglikanów.

2. Kryteria kwalifikacji do programu:

- mukopolisacharydoza typu II zdiagnozowana na podstawie udokumentowanego, głębokiego deficytu aktywności enzymu sulfatazy iduronianu w surowicy lub leukocytach krwi obwodowej lub w fibroblastach skóry,
- do programu kwalifikują się pacjenci powyżej ukończonego 5 roku życia.

Kwalifikacji świadczeniobiorców do terapii dokonuje Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultraradkich powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia. Kwalifikacja do programu oraz weryfikacja skuteczności leczenia odbywa się w oparciu o ocenę stanu klinicznego świadczeniobiorcy oraz ocenę efektywności zastosowanej terapii.

Określenie czasu leczenia w programie

Przedłużenie leczenia następuje, co 6 miesięcy, decyzją Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultraradkich, na podstawie nadesłanej karty monitorowania terapii.

Leczenie trwa do czasu podjęcia przez Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultraradkich lub lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia.

3. Schemat dawkowania leku w programie:

Lek podawany jest w dawce 0,5 mg/kg masy ciała, co tydzień, w postaci dożylnego wlewu, trwającego ok. 3 godzin, który może być stopniowo skracany do 1 godziny, jeśli nie występują reakcje niepożądane związane z jego podaniem.

Podawanie leku powinno być nadzorowane przez lekarza posiadającego doświadczenie w diagnozowaniu i leczeniu świadczeniobiorców z mukopolisacharydozą typu II lub innymi dziedzicznymi zaburzeniami metabolizmu.

Z uwagi na możliwość występowania objawów niepożądanych, z wstrząsem włącznie, lek należy podawać przy bezpośrednim dostępie do leków, sprzętu i aparatury ratującej życie.

4. Monitorowanie programu

Na monitorowanie programu składa się:

a) monitorowanie leczenia

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

Okresowej oceny skuteczności terapii dokonuje co najmniej co 6 miesięcy lekarz niezaangażowany w leczenie pacjenta pacjentów z chorobą Hunter. Dane dotyczące monitorowania leczenia muszą być gromadzone w dokumentacji pacjenta i co 6 miesięcy przesyłane do Oddziału Wojewódzkiego NFZ oraz celem przedłużenia lub ukończenia leczenia do sekretariatu Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrazadkowych, a ponadto każdorazowo przedstawiane na żądanie kontrolerów z NFZ.

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

c) uzupełnianie danych zawartych w rejestrze MPS typu II, który dostępny jest za pośrednictwem aplikacji internetowej udostępnionej przez Oddziały Wojewódzkie NFZ, nie rzadziej niż co 3 miesiące oraz przy kwalifikacji pacjenta do terapii i na zakończenie leczenia.

5. Kryteria wyłączenia z programu:

- ⇒ ciąża i laktacja;
- ⇒ obecność poważnych, wrodzonych anomalii rozwojowych lub chorób współistniejących, które w ocenie lekarza kwalifikującego do leczenia lub Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrarzadkich mogą uniemożliwić poprawę stanu zdrowia pacjenta;
- ⇒ znaczna progresja choroby pomimo leczenia.

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

Terapeutyczne Programy Zdrowotne 2012
Leczenie Mukopolisacharydozy typu II (zespół Huntera)

Załącznik nr 1

Leczenie MPS II

	Badania diagnostyczne wykonywane w ramach programu		Uwagi
Badania przy kwalifikacji	<ol style="list-style-type: none"> 1. Morfologia krwi, z rozmazem 2. Układ krzepnięcia, 3. Proteinogram, 4. Gazometria 5. AspAT, ALAT, CK, bilirubina 6. Cholesterol, witaminy rozpuszczalne w tłuszczach 7. Wydalanie mukopolisacharydów z moczem 8. Poziom przeciwciał przeciwko sulfatazie iduronianu (w miarę możliwości) 	<ol style="list-style-type: none"> 9. Badanie fizykalne 10. Parametry życiowe 11. Pomiary antropometryczne 12. EKG 13. Echokardiografia 14. RTG klatki piersiowej 15. USG jamy brzusznej 16. MRI OUN z uwzględnieniem odcinka szyjnego kręgosłupa 17. RTG kręgosłupa 18. diagnostyka zespołu cieśni nadgarstka (EMG) 19. Badanie pulmonologiczne (wydolność oddechowa, spirometria) 20. Badanie audiometryczne 21. Badanie okulistyczne 22. Badanie psychologiczne 23. Badanie narządu ruchu oraz funkcji motorycznych 24. Test 3/6 minutowego marszu 25. Test SF36 	<p>Kwalifikacji chorych do terapii dokonuje Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrazadkowych.</p> <p>(Załącznik nr 2 i 2a)</p>

Terapeutyczne Programy Zdrowotne 2012
Leczenie Mukopolisacharydozy typu II (zespół Huntera)

Monitorowanie leczenia	Badania diagnostyczne wykonywane w ramach programu		Uwagi
W pierwszym roku leczenia wykonywanie badań powinno być przeprowadzone co 6 miesięcy	<ol style="list-style-type: none"> 1. Morfologia krwi z rozmazem 2. Układ krzepnięcia, 3. Gazometria 4. CK, 5. AspAT, ALAT, bilirubina 6. wydalanie mukopolisacharydów z moczem 7. Poziom przeciwciał przeciwko sulfatazie iduronianu (w miarę możliwości) 	<ol style="list-style-type: none"> 8. Badanie fizykalne 9. Ocena parametrów życiowych 10. Pomiary antropometryczne 11. EKG 12. Echokardiografia 13. USG jamy brzusznej 14. Badanie pulmonologiczne (wydolność oddechowa, spirometria) 15. Badanie narządu ruchu oraz funkcji motorycznych 16. Badanie psychologiczne 17. Test 3/6 minutowego marszu 18. Test SF36 	<p>Okresowej oceny skuteczności terapii dokonuje lekarz niezaangażowany w leczenie pacjentów z chorobą Hunter. Przedłużenie leczenia następuje, co 6 mies., decyzją Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrazadkowych, na podstawie nadesłanej karty monitorowania terapii.</p> <p>(Załącznik nr 3)</p>
Raz na 12 miesięcy	<ol style="list-style-type: none"> 1. Cholesterol, 2. Witaminy rozpuszczalne w tłuszczach 	<ol style="list-style-type: none"> 3. RTG klatki piersiowej 4. RTG kręgosłupa 5. MRI OUN wskazane przede wszystkim w przypadku współistniejącego wodogłowia (do decyzji lekarza) 6. Badanie audiometryczne 7. Badanie okulistyczne, z oceną dna oka 8. Diagnostyka zespołu cieśni nadgarstka (EMG) 	

Załącznik nr 2

Wzór wniosku o zakwalifikowanie pacjenta do leczenia w programie Leczenie Mukopolisacharydozy typu II (zespół Huntera)

ZESPÓŁ KOORDYNACYJNY D/S CHOROÓB ULTRARZADKICH

WNIOSEK

(Proszę wypełniony wniosek przesłać drogą elektroniczną oraz tradycyjną)

A. Dane personalne pacjenta i nazwa jednostki kierującej

- | | | |
|-------------------------|----------------------------|-----------------------------------|
| 1. Nr wniosku _____ | 2. Inicjały pacjenta _____ | 3. PESEL pacjenta _____ |
| 4. Data urodzenia _____ | 5. Płeć _____ | 6. Data wystawienia wniosku _____ |
| | | |
| 7. Imię _____ | 8. Nazwisko _____ | |

W przypadku dziecka proszę podać dane dotyczące rodziców/opiekunów dziecka:

Ojciec:

- | | |
|---------------|--------------------|
| 9. Imię _____ | 10. Nazwisko _____ |
|---------------|--------------------|

Matka:

- | | |
|----------------|--------------------|
| 11. Imię _____ | 12. Nazwisko _____ |
|----------------|--------------------|

Opiekun:

- | | |
|----------------|--------------------|
| 13. Imię _____ | 14. Nazwisko _____ |
|----------------|--------------------|

Miejsce zamieszkania pacjenta:

- | | | |
|-----------------------|--|----------------|
| 15. Miejscowość _____ | 16. Kod _____ | |
| 17. Poczta _____ | 18. Ulica _____ | |
| 19. Nr domu _____ | 20. Nr mieszkania _____ | 21. Woj. _____ |
| 22. Tel. dom. _____ | 23. W przypadku dziecka tel. do rodziców / opiekunów _____ | |

Jednostka wystawiająca wniosek:

- | | |
|--|---------------|
| 24. Pełna nazwa _____ | |
| _____ | |
| 25. Miejscowość _____ | 26. Kod _____ |
| 27. Ul. _____ | 28. Nr _____ |
| 29. Tel. _____ | 30. Fax _____ |
| 31. Nr karty lub historii choroby pacjenta _____ | |

Lekarz wystawiający wniosek:

- | | |
|----------------|--------------------|
| 32. Imię _____ | 33. Nazwisko _____ |
|----------------|--------------------|

podpis i pieczętka lekarza:

podpis i pieczętka kierownika jednostki

B. Dane auksologiczne pacjenta:

34. Wysokość ciała (cm) _____ 35. centyl ^{*)} _____ 36. Data pomiaru _____
37. Masa ciała (kg) _____ 38. centyl ^{*)} _____ 39. Data pomiaru _____
40. Obwód głowy (cm) _____ 41. centyl ^{*)} _____ 42. Data pomiaru _____
43. Obwód klatki piersiowej (cm) _____ 44. centyl ^{*)} _____ 45. Data pomiaru _____

^{*)} Dane dotyczące pomiarów antropometrycznych proszę odnieść do siatek centylowych wg Palczewskiej i Niedźwieckiej

C Wywiad:

46. Informacja o stanie zdrowia rodziców i rodzeństwa (proszę o szczegółowe dane w przypadku występowania choroby w rodzinie pacjenta:

L.p.	Imię i nazwisko	Data urodzenia	Data rozpoznania choroby	Stopień pokrewieństwa	Czy jest leczony (Tak/Nie, jeżeli tak to od kiedy i z jakim efektem)
1.					
2.					
3.					

47. Masa ciała przy urodzeniu (g) _____ 48. Długość ciała (cm) _____ 49. Obwód głowy (cm) _____
50. Który poród _____ 51. Która ciąża _____ 52. Czas trwania ciąży w tyg. ____ ^{1), 2) *)}
53. Przebieg ciąży prawidłowy (T/N) ,
54. Nieprawidłowy przebieg ciąży (opis) _____

^{*)} 1) ocena pewna, 2) ocena niepewna (zakreśl odpowiednie)

Poród (T/N):

55. Fizjologiczny, siłami natury 56. Pośladowy _____ 57. Cięcie cesarskie _____ 58. Inne _____

Akcja porodowa (T/N):

59. Samoistna _____ 60. Wspomagana _____ (jeśli T - zakreśl odpowiednie: vacuum, kleszcze, inne)
61. Uraz porodowy _____ 62. Niedotlenienie i resuscytacja
63. Ocena wg skali Apgar: 1 min _____ 5 min _____ 10 min _____
64. Przebieg okresu noworodkowego (opis) _____

Inne dane z wywiadu:

65. Kiedy wystąpiły pierwsze objawy choroby i jaki miały charakter. Proszę podać także dokładne dane dotyczące postępu choroby — opis. _____

Programy Terapeutyczne 2012
Leczenie pacjentów z Zespołem Huntera

Leczenie:

66. Czy pacjent był leczony (Tak/Nie — jeżeli tak to od kiedy, w jakiej dawce i przez kogo) _____

67. Inne choroby przewlekłe (T/N) _____

(proszę podać szczególnie dane dotyczące wad rozwojowych i innych chorób, które mogą wpływać na efektywność terapii)

68. Jeśli Tak – proszę podać czym był / jest leczony i z jakim efektem: _____

D. Stan przedmiotowy:

69. Data badania: _____

70. Badanie fizykalne (proszę podać szczegółowo dane dotyczące odchyień w stanie przedmiotowym, ze szczególnym uwzględnieniem nieprawidłowości związanych z chorobą zasadniczą) _____

E. Badania dodatkowe:

71. Stężenie sulfatazy iduronianu _____ (zakres normy _____),

72. Data badania _____

73. Ilość wydalanych mukopolisacharydów z moczem _____ mg/g kreatyniny (zakres normy _____),

74. poziom przeciwciał przeciwko sulfatazie iduronianu _____ (zakres normy _____),

75. Data badania _____

F. Wynik badania genetycznego:

76. Data badania _____ 77. Numer badania podany przez pracownię _____

78. Metoda badania _____

79. Wynik badania _____

80. Pracownia wykonująca badanie _____

G. Badania obrazowe:

EKG

81. Data badania _____

82. Opis _____

USG układu sercowo-naczyniowego

83. Data badania _____

84. Opis _____

Radiogram kośćca, co najmniej RTG kręgosłupa

85. Data badania _____

86. Opis _____

MRI ośrodkowego układu nerwowego, z uwzględnieniem odcinka szyjnego kręgosłupa

87. Data badania _____

88. Opis _____

USG jamy brzusznej, ze szczególnym uwzględnieniem śledziony i wątroby

89. Data badania _____
90. Opis _____

RTG klatki piersiowej

91. Data badania _____
92. Opis _____

H. Inne badania dodatkowe

EMG (ukierunkowany przede wszystkim na występowanie zespołu cieśni nadgarstka)

93. Data badania _____
94. Opis _____

Audiogram

95. Data badania _____
96. Opis _____

Programy Terapeutyczne 2012
Leczenie pacjentów z Zespołem Huntera

Badanie spirometryczne

97. Data badania _____

98. Opis _____

Wynik testu 3/6 min. marszu

99. Data badania _____

100. Opis _____

Inne badania związane z chorobą zasadniczą (data badania / wynik):

101. morfologia krwi, z rozmazem data badania _____

102. układ krzepnięcia data badania _____

103. stężenie białka całkowitego data badania _____

104. proteinogram data badania _____

próby wątrobowe:

Programy Terapeutyczne 2012
Leczenie pacjentów z Zespołem Huntera

105. AspAT data badania _____

106. ALAT data badania _____

107. CK data badania _____

108. stężenie bilirubiny całkowitej data badania _____

109. stężenie bilirubiny wolnej data badania _____

110. stężenie bilirubiny związanej data badania _____

111. wyniki oceny równowagi kwasowo-zasadowej data badania _____

112. stężenie cholesterolu całkowitego data badania _____

stężenie witamin rozpuszczalnych w tłuszczach:

113. vit. A data badania _____

114. vit. D data badania _____

115. vit. E data badania _____

116. vit. K data badania _____

I. Inne badania i konsultacje

117. konsultacja kardiologiczna (data konsultacji, szczegółowy opis)

118. konsultacja neurologiczna (data konsultacji, szczegółowy opis)

119. konsultacja otolaryngologiczna/audiologiczna (data konsultacji, szczegółowy opis)

120. konsultacja ortopedyczna, z oceną ruchomości stawów (data konsultacji, szczegółowy opis)

121. konsultacja psychologiczna, z oceną ilorazu inteligencji (data konsultacji, szczegółowy opis)

122. konsultacja okulistyczna, z oceną narządu wzroku w lampie szczelinowej (data konsultacji, szczegółowy opis)

Programy Terapeutyczne 2012
Leczenie pacjentów z Zespołem Huntera

123. konsultacja pulmonologiczna, szczególnie w kierunku wydolności układu oddechowego (data konsultacji, szczegółowy opis)

124. Okoliczności szczególne, dodatkowo uzasadniające konieczność przydzielenia leku

125. Imię _____ 126. Nazwisko _____

podpis i pieczętka lekarza:

podpis i pieczętka Kierownika jednostki

UWAGA!

1. Wniosek bez oceny stężeń siarczanu iduronianu oraz innych, niezbędnych badań i konsultacji do rozpoznania i oceny zaawansowania choroby nie będzie rozpatrywany.

Wniosek należy wysłać na adres sekretariatu Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrarzadkich

Załącznik nr 3

Karta monitorowania pacjenta leczonego w ramach programu Leczenie mukopolisacharydozy typu II

ZESPÓŁ KOORDYNACYJNY D/S CHOROÓB ULTRARZADKICH

*(Prosimy przesłać wypełnioną kartę — wersję elektroniczną i wydruk,
co 6 miesięcy, do Oddziału Wojewódzkiego NFZ oraz na adres sekretariatu Zespołu)*

1. Imię _____
2. Nazwisko _____
3. PESEL _____
4. Data urodzenia _____
5. Nr historii choroby _____
6. Miejsce zamieszkania pacjenta _____
7. Rozpoznanie _____
8. Kiedy wystąpiły pierwsze objawy choroby _____
9. Data rozpoznania choroby _____
10. Data rozpoczęcia leczenia _____
11. Przebieg leczenia (dawka, tolerancja leku) — opis _____

12. Przebieg leczenia (dawka, tolerancja leku) — opis _____

13. Wynik badania przedmiotowego w czasie 6 mies. obserwacji (proszę szczegółowo opisać różnice w stanie przedmiotowym pacjenta w okresie 6 mies. obserwacji) _____

Programy Terapeutyczne 2012
Leczenie pacjentów z Zespołem Huntera

miesiące obserwacji	0	w okresie 6 mies. obserwacji	6 mies.
14. Dawka leku [mg/kg]			
15. Dawka podanego leku [mg]			
16. Częstość iniekcji			
17. Czy były przerwy w leczeniu (jeśli tak to jak długie)			
18. Czy występowały objawy niepożądane lub powikłania (jeśli tak to proszę szczegółowo je opisać)			
19. Inne leki (jakie, w jakiej dawce i z jakiego powodu)			
20. Inne formy terapii i/lub rehabilitacji (proszę szczegółowo opisać)			
21. Wysokość ciała [cm]			
22. Masa ciała [kg]			
23. Obwód głowy [cm]			
24. Obwód klatki piersiowej [cm]			

Badania dodatkowe wykonane u pacjentów w okresie 6 mies. obserwacji (do wykonania co najmniej co 6 mies.)

miesiące obserwacji	0	w okresie 6 mies. obserwacji	6 mies.
25. Morfologia krwi, z rozmazem			
26. Układ krzepnięcia			
27. Gazometria			
Próby wątrobowe:			
28. — CK			
29. — AspAT			
30. — ALAT			
31. — stężenie bilirubiny całkowitej			
32. — stężenie bilirubiny wolnej			
33. — stężenie bilirubiny związanej			
34. USG jamy brzusznej			
35. EKG			
36. USG układu sercowo-naczyniowego			
37. Wydalanie mukopolisacharydów z moczem			
38. Wynik testu 3/6 min. marszu			
39. Inne badania (jakie i kiedy wykonane)			

Wyniki innych badań i konsultacji:

Stężenie witamin rozpuszczalnych w tłuszczach (co 12 mies.)

40. A _____ 41. D _____ 42. E _____ 43. K _____

44. Wynik i data konsultacji ortopedycznej _____

45. Wynik i data konsultacji kardiologicznej _____

46. Wynik i data konsultacji neurologicznej _____

47. Wynik i data badania wydolności układu oddechowego (z podaniem wyniku spirometrii) _____

48. Wynik i data MRI OUN z uwzględnieniem odcinka szyjnego kręgosłupa (w uzasadnionych przypadkach, przede wszystkim w przypadku wodogłowia, co 12 mies.) _____

49. RTG kręgosłupa (co 12 mies.) _____

50. Wynik i data badania EMG w kierunku występowania zespołu cieśni nadgarstka (co 12 mies.) _____

51. Wynik i data badania audiometrycznego (co 12 mies.) _____

52. Wynik i data konsultacji okulistycznej (co 12 mies.) _____

53. Wynik i data konsultacji psychologicznej, z oceną ilorazu inteligencji (co 12 mies.) _____

Programy Terapeutyczne 2012
Leczenie pacjentów z Zespołem Huntera

54. Wyniki i daty innych badań i konsultacji _____

Imię i nazwisko lekarza: _____

Data _____

_____ *podpis i pieczętka lekarza:*

Data _____

_____ *podpis i pieczętka Kierownika jednostki*

Załącznik nr 2a

Załącznik do wniosku o zakwalifikowanie pacjenta do leczenia w programie Leczenie Mukopolisacharydozy typu II (zespół Huntera)

Wyrażam zgodę na przetwarzanie moich danych osobowych w celach wynikających z art. 188 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. Nr 210, poz. 2135 z późn. zm.)

Poinformowana(y) o możliwości powikłań zastosowanego leczenia, wyrażam zgodę na leczenie preparatem Elaprase. Zobowiązuję się do przyjmowania tego leku zgodnie z zaleceniami lekarskimi oraz przyjeżdżania na badania kontrolne w wyznaczonych terminach.

Data _____

Podpis pacjenta (w przypadku dziecka podpis rodziców lub opiekuna)

Data _____

Podpis lekarza