



# DZIENNIK URZĘDOWY

## MINISTRA ZDROWIA

---

Warszawa, dnia poniedziałek, 25 kwietnia 2016 r.

Elektronicznie podpisany przez:  
Izabela Obarska  
Data: 25.04.2016 16:09:21

Poz. 48



### OBWIESZCZENIE MINISTRA ZDROWIA<sup>1)</sup>

z dnia 25 kwietnia 2016 r.

#### **w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywnościowego oraz wyrobów medycznych<sup>2)</sup>**

Na podstawie art. 37 ust. 1 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywnościowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2015 r. poz. 345, 1830 i 1991), ustala się na dzień 1 maja 2016 r. wykaz refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywnościowego oraz wyrobów medycznych, stanowiący załącznik do obwieszczenia.

MINISTER ZDROWIA

---

<sup>1)</sup> Minister Zdrowia kieruje działem administracji rządowej – zdrowie, na podstawie § 1 ust. 2 rozporządzenia Prezesa Rady Ministrów z dnia 17 listopada 2015 r. w sprawie szczegółowego zakresu działania Ministra Zdrowia (Dz. U. poz. 1908).

<sup>2)</sup> Niniejsze obwieszczenie zawiera także leki, środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywnościowego oraz wyroby medyczne, które są objęte refundacją od dnia 1 lipca 2014 r., od dnia 1 września 2014 r., od dnia 1 listopada 2014 r., od dnia 1 stycznia 2015 r., od dnia 1 marca 2015 r., od dnia 1 maja 2015 r., od dnia 1 lipca 2015 r., od dnia 1 września 2015 r., od dnia 1 listopada 2015 r., od dnia 1 stycznia 2016 r. oraz od dnia 1 marca 2016 r. na okres obowiązywania decyzji o objęciu refundacją tych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywnościowego oraz wyrobów medycznych.

Załącznik B.61.

**LECZENIE WCZESNODZIECIĘCEJ POSTACI CYSTYNOZY NEFROPATYCZNEJ (ICD-10 E 72.0)**

| <b>ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO</b>   |  |  |
|--|--|--|
| <b>ŚWIADCZENIOBIORCY</b>   | <b>SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE</b>  | <b>BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU</b>  |
| <p>Kwalifikacji chorych do terapii dokonuje Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrazadkich powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia.</p> <p>Kwalifikacja do programu oraz weryfikacja skuteczności leczenia co 6 miesięcy odbywa się w oparciu o ocenę stanu klinicznego świadczeniobiorcy oraz ocenę efektywności zastosowanej terapii.</p> <p><b>1. Kryteria kwalifikacji:</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) stężenie hemicystyny (cystyny) w leukocytach krwi obwodowej &gt; 2 nmol/mg białka komórkowego;</li> <li>2) aktualnie lub w wywiadzie cechy tubulopatii (tj. zespół Fanconi-de Toni-Debre) potwierdzające rozpoznanie cystynozy nefropatycznej.</li> </ol> <p>Kryteria kwalifikacji muszą być spełnione łącznie.</p> <p><b>2. Określenie czasu leczenia w programie:</b></p> <p>Przedłużenie leczenia następuje co 6 miesięcy decyzją Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrazadkich, na podstawie nadesłanej karty monitorowania terapii.</p> <p>Leczenie trwa do czasu podjęcia przez Zespół Koordynacyjny ds. Chorób Ultrazadkich lub lekarza prowadzącego decyzji</p> | <p><b>1. Dawkowanie:</b></p> <p>Zalecana dawka dobową cysteaminy u dzieci poniżej 12 lat wynosi 1,3 g/m<sup>2</sup> powierzchni ciała. U pacjentów powyżej 12 lat i o masie ciała powyżej 50 kg zalecana dawka dobową leku wynosi 2 g. Preparat podaje się doustnie, cztery razy na dobę, w równych dawkach podzielonych co 6h.</p> <p>Dawka początkowa powinna stanowić 1/4 do 1/6 zalecanej dawki i być stopniowo zwiększana przez okres 4-6 tygodni, w celu uniknięcia nietolerancji preparatu. W przypadkach określonych w Charakterystyce Produktu Leczniczego, dopuszcza się zwiększenie w/w dawki leku ale nie przekraczającej 1,95 g/m<sup>2</sup> powierzchni ciała/dobę.</p> | <p><b>1. Badania przy kwalifikacji:</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) stężenie hemicystyny (cystyny) w leukocytach krwi obwodowej;</li> <li>2) morfologia krwi;</li> <li>3) stężenie kreatyniny, glukozy, cholesterolu, sodu, potasu, chloru, wapnia, magnezu, fosforu, kwasu moczowego, białka całkowitego, albumin, transaminaz (ASPAT, ALAT) w surowicy krwi na czczo;</li> <li>4) stężenie kreatyniny, wapnia, magnezu, fosforu w porannej porcji moczu (nie dotyczy pacjentów z GFR&lt;60 ml/min/1,73 m<sup>2</sup> powierzchni ciała oraz pacjentów po przeszczepie nerki);</li> <li>5) gazometria krwi żyłnej;</li> <li>6) analiza moczu;</li> <li>7) stężenie hormonów TSH, fT4;</li> <li>8) ocena parametrów rozwojowych: wysokość, masa ciała, powierzchnia ciała;</li> <li>9) USG jamy brzusznej;</li> <li>10) konsultacja nefrologiczna z oceną eGFR;</li> <li>11) konsultacja okulistyka (badanie przedniego odcinka oka w lampie szczelinowej lub mikroskopem konfokalnym);</li> <li>12) konsultacja neurologiczna;</li> <li>13) konsultacja endokrynologiczna;</li> <li>14) konsultacja psychologiczna, u starszych dzieci z oceną ilorazu inteligencji;</li> <li>15) konsultacja pulmonologiczna z badaniem spirometrycznym u pacjentów &gt; 10 r.ż.;</li> <li>16) konsultacja dermatologiczna.</li> </ol> |

o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia.

### 3. Kryteria wyłączenia:

- 1) wystąpienie nadwrażliwości na cysteaminę lub substancje pomocnicze;
- 2) wystąpienie objawów nietolerancji na cysteaminę, uniemożliwiające dalsze leczenie;
- 3) znana nadwrażliwość na penicylaminę;
- 4) karmienie piersią;
- 5) ciąża;
- 6) rezygnacja pacjenta lub jego opiekunów prawnych;
- 7) znaczna progresja choroby, pojawiająca się pomimo zastosowanego leczenia.

### 2. Monitorowanie leczenia:

#### 2.1 Raz na 90 dni

- 1) morfologia krwi;
- 2) stężenie kreatyniny, glukozy, cholesterolu, sodu, potasu, chloru, wapnia, magnezu, fosforu w surowicy krwi na czczo;
- 3) stężenie kreatyniny, wapnia, magnezu, fosforu w porannej porcji moczu (nie dotyczy pacjentów z GFR<60 ml/min/1,73 m<sup>2</sup> powierzchni ciała oraz pacjentów po przeszczepie nerki);
- 4) gazometria krwi żyłnej;
- 5) analiza moczu;
- 6) ocena parametrów rozwojowych: wysokość, masa ciała, powierzchnia ciała;
- 7) stężenie hemicystyny (cystyny) w leukocytach krwi obwodowej;
- 8) konsultacja nefrologiczna z oceną eGFR;
- 9) konsultacja dermatologiczna.

#### 2.2 Raz na 180 dni

- 1) stężenie hormonów TSH, fT4;
- 2) konsultacja okulistyczna (badanie przedniego odcinka oka w lampie szczelinowej lub mikroskopem konfokalnym).

#### 2.3 Raz na 365 dni

- 1) USG jamy brzusznej;
- 2) konsultacja neurologiczna;
- 3) konsultacja endokrynologiczna;
- 4) konsultacja psychologiczna;
- 5) konsultacja gastrologiczna;
- 6) konsultacja pulmonologiczna z badaniem spirometrycznym

|  |  |   |
|--|--|---|
|  |  | <p>u pacjentów &gt; 10 r.ż.</p> <p><b>3. Monitorowanie programu:</b></p> <ol style="list-style-type: none"><li>1) gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia;</li><li>2) uzupełnienie danych zawartych w rejestrze (SMPT) dostępnym za pomocą aplikacji internetowej udostępnionej przez OW NFZ, z częstotliwością zgodną z opisem programu oraz na zakończenie leczenia;</li><li>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.</li></ol> |
|--|--|---|