ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	**SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE**	**BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU**
1. Kryteria kwalifikacji Do leczenia tofersenem kwalifikowani są pacjenci spełniający łącznie poniższe kryteria: 1. wiek:18 lat i powyżej; 2. rozpoznanie postaci genetycznej stwardnienia zanikowego bocznego (ALS, *amyotrophic lateral sclerosis*) spowodowanej mutacją w genie dysmutazy ponadtlenkowej 1 SOD1 potwierdzoną badaniem genetycznym; 3. adekwatna wydolność narządowa określona na podstawie wyników badań laboratoryjnych krwi zgodnie z zapisami aktualnej ChPL; 4. brak przeciwwskazań do nakłucia lędźwiowego; 5. brak istotnych chorób współistniejących stanowiących przeciwskazanie do terapii stwierdzonych przez	**1. Dawkowanie leku w programie** Sposób podawania oraz ewentualne czasowe wstrzymania leczenia, prowadzone zgodnie z aktualną Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL) lub przyjętą praktyką kliniczną. Maksymalnie finansuje się 100 mg tofersenu na podanie. Leczenie należy rozpocząć od 3 dawek nasycających podawanych w odstępach 14-dniowych. Następnie należy podawać dawkę podtrzymującą raz na 28 dni.	**1. Badania przy kwalifikacji** 1. badanie genetyczne w kierunku genetycznej postaci ALS w przypadku braku wcześniejszego wyniku; 2. oznaczenie stężenia aminotransferazy alaninowej; 3. oznaczenie stężenia aminotransferazy asparaginianowej; 4. oznaczenie stężenia kreatyniny we krwi; 5. oznaczenie eGFR we krwi; 6. morfologia krwi z rozmazem; 7. koagulogram (APTT, PT, TT, fibrynogen, płytki krwi);

lekarza prowadzącego w oparciu o aktualną ChPL; 6. wykluczenie ciąży lub karmienia piersią. Ponadto do programu lekowego kwalifikowani są również pacjenci wymagający kontynuacji leczenia, którzy byli leczeni dotychczas w ramach innego sposobu finansowania terapii, za wyjątkiem trwających badań klinicznych, pod warunkiem, że w chwili rozpoczęcia leczenia tofersenem spełniali kryteria kwalifikacji do programu lekowego. **0. Określenie czasu leczenia w programie** Leczenie trwa do momentu podjęcia przez lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia w pkt.3. Przed wyłączeniem z programu lekowego lekarz prowadzący może wystąpić o opinię do Konsultanta Krajowego w dziedzinie neurologii. **0. Kryteria wyłączenia z programu**	W przypadku pacjentów wymagających znieczulenia ogólnego do wykonania nakłucia lędźwiowego - znieczulenie ogólne zgodnie z obowiązującymi w ośrodku procedurami.	8. oznaczenie wskaźnika BMI; 9. spirometria lub gazometria tętnicza; 10. tomografia komputerowa głowy; 11. test ciążowy (oświadczenie o stosowaniu skutecznej antykoncepcji w trakcie trwania terapii - u kobiet w wieku reprodukcyjnym); 12. konsultacja neurologiczna z oceną stopnia ciężkości choroby w skali ALSFRS-R (ang. *Amyotrophic Lateral Sclerosis Functional Rating Scale*) wraz z określeniem wartości przy rozpoczynaniu leczenia oraz zmiany w ciągu ostatnich 3 miesięcy jeśli te dane są dostępne. **0. Monitorowanie leczenia**

1. stopień ciężkości choroby, w którym terapia nosi znamiona uporczywej; 2. pojawienie się przeciwwskazań do leczenia wymienionych w Charakterystyce Produktu Leczniczego; 3. pojawienie się przeciwwskazań do nakłucia lędźwiowego; 4. drenaż płynu mózgowo-rdzeniowego; 5. wystąpienie chorób lub stanów, które uniemożliwiają kontynuację leczenia; 6. wystąpienie działań niepożądanych, które uniemożliwiają kontynuację leczenia; 7. wystąpienie nadwrażliwości na lek lub substancję pomocniczą uniemożliwiające		Przed podaniem każdej dawki tofersenu: 1. badanie dna oka; 2. oznaczenie wskaźnika BMI; 3. oznaczenie stężenia aminotransferazy alaninowej; 4. oznaczenie stężenia aminotransferazy asparaginianowej; 5. oznaczenie stężenia kreatyniny we krwi; 6. oznaczenie eGFR we krwi; 7. morfologia krwi z rozmazem; 8. koagulogram (APTT, PT, TT, fibrynogen, płytki krwi); 9. test ciążowy – dotyczy kobiet w wieku reprodukcyjnym. Ocenę stopnia ciężkości choroby w skali ALSFRS-R wykonuje się co 3 miesiące. **0. Monitorowanie programu** 1. gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących

kontynuację leczenia; 8. wystąpienie zagrażającej życiu albo nieakceptowalnej toksyczności pomimo zastosowania adekwatnego postępowania; 9. ciąża lub karmienie piersią; 10. brak współpracy lub nieprzestrzeganie zaleceń lekarskich ze strony świadczeniobiorcy lub jego prawnych opiekunów w szczególności dotyczących okresowych badań kontrolnych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo leczenia.		monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawienie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia; 2. uzupełnienie danych zawartych w elektronicznym systemie monitorowania programów lekowych dostępnym za pomocą aplikacji internetowej udostępnionej przez OW NFZ, z częstotliwością zgodną z opisem programu oraz na zakończenie leczenia; w tym przekazywanie danych dotyczących wskaźników efektywności: a. wynik w skali ALSFRS-R przy rozpoczynaniu leczenia, a. wynik w skali ALSFRS-R podczas oceny skuteczności; 0. 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.
