

## ERRATA

do raportu nr: **DIPOTM. 423.1.3.2025**

Analiza weryfikacyjna: „Wniosek o objęcie refundacją leku Oxlumio (lumasiranum) we wskazaniu: zgodnym z zapisami programu lekowego B.129.FM Leczenie chorych na pierwotną hiperoksalurię typu 1 (ICD-10: E74.8)” - zlecenie nr 187/2025 w BIP Agencji.

Errata dotyczy błędu technicznego. Na str. 56-60 omyłkowo wklejono nieprawidłową treść programu lekowego. Poniżej zamieszczono właściwą wersję, która powinna się znaleźć na str. 56-60. Zmiana nie wpływa na ogólne wnioskowanie z AWA.

**Tabela 1. Zapisy uzgodnionego programu lekowego PL B.129.FM**

| ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                  |                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                          |                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                        |
|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| ŚWIADCZENIOBIORCY                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                  | MAKSYMALNE DAWKOWANIE LEKÓW<br>I CZAS LECZENIA                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                           | BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE<br>W RAMACH PROGRAMU                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                  |
| <p>Kwalifikacji świadczeniobiorców do terapii dokonuje Zespół Koordynacyjny ds. kwalifikacji i weryfikacji leczenia chorych na pierwotną hiperoksalurię typu 1 powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia.</p> <p>Kwalifikacja do programu oraz weryfikacja skuteczności leczenia odbywa się, co 6 miesięcy, w oparciu o ocenę stanu klinicznego świadczeniobiorcy oraz ocenę efektywności zastosowanej terapii.</p> <p>W ramach programu lekowego udostępnia się terapię:</p> <p>1) <i>lumazyranem sodowym</i></p> <p>zgodnie ze wskazanymi w opisie programu warunkami i kryteriami.</p> <p><b>1. Kryteria kwalifikacji</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) potwierdzenie pierwotnej hiperoksalurii typu 1 (PH1) badaniem molekularnym;</li> <li>2) przewlekła choroba nerek w stadium I-V;</li> <li>3) średnie dobowe wydalanie szczawianów z moczem <math>\geq 0,70</math> mmol /1,73 m<sup>2</sup>/24h;</li> <li>4) brak efektywności terapii witaminą B6 (pirydoksyną) rozumianej jako redukcja dobowego wydalania szczawianów z moczem <math>\geq 30\%</math> w okresie co najmniej 3- miesięcznym;</li> <li>5) brak przeszczepienia wątroby w wywiadzie;</li> <li>6) adekwatna wydolność narządowa określona na podstawie wyników badań laboratoryjnych umożliwiająca w opinii lekarza prowadzącego bezpieczne rozpoczęcie terapii;</li> <li>7) brak przeciwwskazań do stosowania leku zgodnie z aktualną Charakterystyką Produktu Leczniczego (ChPL);</li> <li>8) pisemna świadoma zgoda pacjenta na leczenie; w przypadku pacjentów poniżej 18. roku życia – zgoda opiekuna prawnego.</li> </ol> | <p><b>1. Dawkowanie</b></p> <p>Stosowanie lumazyranu sodowego obejmuje dawki nasycające podawane raz w miesiąc u przez 3 miesiące, a następnie dawki podtrzymujące podawane po miesiącu od ostatniej dawki nasycającej, zależne od masy ciała:</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) masa ciała poniżej 10 kg: <ul style="list-style-type: none"> <li>– dawka nasycająca 6 mg / kg m.c.,</li> <li>– dawka podtrzymująca 3 mg / kg m.c . raz w miesiącu;</li> </ul> </li> <li>2) masa ciała od 10 kg do mniej niż 20 kg: <ul style="list-style-type: none"> <li>– dawka nasycająca 6 mg / kg m.c.,</li> <li>– dawka podtrzymująca 6 mg / kg m.c . raz na 3 miesiące;</li> </ul> </li> <li>3) masa ciała 20 kg i więcej: <ul style="list-style-type: none"> <li>– dawka nasycająca 3 mg / kg m.c.,</li> </ul> </li> </ol> <p>Szczegółowe warunki stosowania są opisane w ChPL.</p> | <p><b>1. Badania przy kwalifikacji</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) wynik badania genetycznego potwierdzającego rozpoznanie PH1;</li> <li>2) pomiar wzrostu i masy ciała;</li> <li>3) test ciążowy dla kobiet w wieku rozrodczym;</li> <li>4) ocena laboratoryjna: <ol style="list-style-type: none"> <li>a) średnia z co najmniej dwukrotnej oceny dobowego wydalania szczawianów z moczem (mmol /1,73 m<sup>2</sup>/24h),</li> <li>b) morfologia krwi,</li> <li>c) poziom kreatyniny w surowicy z oceną eGFR (formuła MDRD dla dorosłych lub wg Schwartz'a dla dzieci),</li> <li>d) poziom mocznika w surowicy,</li> <li>e) poziom kwasu moczowego w surowicy,</li> <li>f) poziom białka całkowitego w surowicy,</li> <li>g) poziom albumin w surowicy,</li> <li>h) aktywność aminotransferazy alaninowej (ALT) w surowicy,</li> <li>i) aktywność transaminazy asparaginianowej (AST) w surowicy,</li> <li>j) aktywność fosfatazy zasadowej (ALP) w surowicy,</li> <li>k) poziom bilirubiny całkowitej w surowicy,</li> <li>l) poziom elektrolitów w surowicy (sód, potas, wapń, fosforany, chlorki),</li> <li>m) ocena układu krzepnięcia (czas protrombinowy, czas częściowej tromboplastyny po aktywacji- APTT, międzynarodowy współczynnik znormalizowany- INR),</li> <li>n) gazometria krwi żyłnej,</li> <li>o) badanie ogólne moczu u pacjentów z zachowaną diurezą;</li> </ol> </li> <li>5) USG układu moczowego.</li> </ol> |

| ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                               |                                                |                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                  |
|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| ŚWIADCZENIOBIORCY                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                               | MAKSYMALNE DAWKOWANIE LEKÓW<br>I CZAS LECZENIA | BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE<br>W RAMACH PROGRAMU                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                            |
| <p>Kryteria kwalifikacji muszą być spełnione łącznie.</p> <p>Ponadto do programu lekowego kwalifikowani są również pacjenci, którzy byli leczeni w ramach innego sposobu finansowania terapii, za wyjątkiem trwających badań klinicznych tego leku, pod warunkiem, że w chwili rozpoczęcia leczenia spełniali kryteria kwalifikacji do programu lekowego.</p> <p>Do programu włączane są pacjentki, bez konieczności ponownej kwalifikacji po zweryfikowaniu ich ogólnego stanu zdrowia umożliwiające leczenie w programie, które zostały wyłączone wcześniej z programu w związku z ciążą albo laktacją i które w momencie wyłączenia spełniały pozostałe kryteria przedłużenia leczenia.</p> <p><b>2. Określenie czasu leczenia w programie</b></p> <p>Leczenie trwa do czasu podjęcia przez Zespół Koordynacyjny lub lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia.</p> <p><b>3. Kryteria wyłączenia z programu</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) brak skuteczności leczenia stwierdzony przez Zespół Koordynacyjny rozumiany jako brak redukcji wydalania szczawianów z moczem &gt;30% w okresie pierwszych 6 miesięcy leczenia, w porównaniu do wartości wyjściowych;</li> <li>2) wystąpienie nadwrażliwości na lek lub substancję pomocniczą uniemożliwiające kontynuację leczenia;</li> <li>3) obecność chorób lub stanów klinicznych, które w ocenie lekarza prowadzącego lub Zespołu Koordynującego mogą uniemożliwić poprawę stanu zdrowia świadczeniobiorcy;</li> <li>4) okres ciąży lub karmienia piersią, gdy w opinii lekarza prowadzącego ryzyko związane z leczeniem przewyższa potencjalne korzyści kliniczne;</li> <li>5) brak współpracy lub nieprzestrzeganie zaleceń lekarskich, w tym zwłaszcza dotyczących okresowych badań kontrolnych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo leczenia ze strony świadczeniobiorcy lub jego prawnych opiekunów.</li> </ol> |                                                | <p><b>2. Monitorowanie leczenia</b></p> <p>Badania wykonuje się co 3 miesiące:</p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) pomiar wzrostu (pacjenci pediatryczni) i masy ciała;</li> <li>2) ocena laboratoryjna: <ol style="list-style-type: none"> <li>a) średnia z co najmniej dwukrotnej oceny dobowego wydalania szczawianów z moczem (mmol /1,73 m<sup>2</sup>/24h),</li> <li>b) morfologia krwi,</li> <li>c) poziom kreatyniny w surowicy z oceną eGFR (formuła MDRD dla dorosłych lub wg Schwartz'a dla dzieci),</li> <li>d) poziom mocznika w surowicy,</li> <li>e) poziom kwasu moczowego w surowicy,</li> <li>f) poziom białka całkowitego w surowicy,</li> <li>g) poziom albumin w surowicy,</li> <li>h) aktywność aminotransferazy alaninowej (ALT) w surowicy,</li> <li>i) aktywność transaminazy asparaginianowej (AST) w surowicy,</li> <li>j) aktywność fosfatazy zasadowej (ALP) w surowicy,</li> <li>k) poziom bilirubiny całkowitej w surowicy,</li> <li>l) poziom elektrolitów w surowicy (sód, potas, wapń, fosforany, chlorki),</li> <li>m) ocena układu krzepnięcia (czas protrombinowy, czas częściowej tromboplastyny po aktywacji- APTT, międzynarodowy współczynnik znormalizowany- INR),</li> <li>n) gazometria krwi żyłnej,</li> <li>o) badanie ogólne moczu u pacjentów z zachowaną diurezą;</li> </ol> </li> <li>3) USG układu moczowego.</li> </ol> <p>Weryfikacja skuteczności leczenia odbywa się co 6 miesięcy, w oparciu o w/w kryteria oraz ocenę stanu klinicznego pacjenta dokonywaną przez Zespół Koordynacyjny.</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 elektronicznym systemie monitorowania programów lekowych, dostępnym za pomocą aplikacji internetowej udostępnionej przez OW</li> </ol> |

| ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO |                                                |                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                              |
|-----------------------------------|------------------------------------------------|----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| ŚWIADCZENIOBIORCY                 | MAKSYMALNE DAWKOWANIE LEKÓW<br>I CZAS LECZENIA | BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE<br>W RAMACH PROGRAMU                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                        |
|                                   |                                                | <p>NFZ, z częstotliwością zgodną z opisem programu oraz na zakończenie leczenia, w tym przekazywanie danych dotyczących wskaźników skuteczności terapii:</p> <p>a) procentowa zmiana dobowego wydalania szczawianów z moczem (mmol/1,73m<sup>2</sup>/24h),</p> <p>b) zmiana funkcji nerek za pomocą oceny współczynnika eGFR.</p> <p>3) przekazywanie informacji sprawozdawczo-rozliczeniowych do NFZ: informacje przekazuje się do NFZ w formie papierowej lub w formie elektronicznej, zgodnie z wymaganiami opublikowanymi przez NFZ.</p> |