

Programy Terapeutyczne 2007
Leczenie choroby Leśniowskiego-Crohna u dzieci.

Nazwa programu:

LECZENIE CHOROBY LEŚNIEWSKIEGO-CROHNA U DZIECI

ICD-10 K50 Choroba Leśniowskiego -Crohna [odcinkowe zapalenie jelita]

Dziedzina medycyny: gastroenterologia, pediatria

Cele programu:

1. zapewnienie prawidłowego rozwoju psychofizycznego pacjentom w wieku od 7 lat do ukończenia 18 roku życia z ciężką postacią choroby Leśniowskiego-Crohna,
2. zmniejszenie liczby powikłań jelitowych i pozajelitowych u pacjentów;
3. wydłużenie okresów remisji w przebiegu choroby;
4. poprawa jakości życia chorych z chorobą Leśniowskiego-Crohna.

Opis problemu medycznego

Choroba Leśniowskiego – Crohna (chL-C) jest śródściennym, występującym odcinkowo, nieswoistym procesem zapalnym przewodu pokarmowego. Uważa się, że w rozwoju tych chorób uczestniczą czynniki genetyczne, środowiskowe i immunologiczne. O udziale czynnika genetycznego świadczy rodzinne występowanie choroby w 5-10% przypadków.

Objawy ch L-C zależą od lokalizacji, rozległości i stopnia zaawansowania zmian w przewodzie pokarmowym. Często pierwsze objawy są niespecyficzne, a choroba zaczyna się skrycie co utrudnia i często opóźnia postawienie prawidłowej diagnozy. U dzieci typowymi objawami są niedobór wzrostu i opóźnienie dojrzewania płciowego (10% przypadków).

Bardzo charakterystyczne dla ch L-C zmiany okołoodbytnicze (ropnie, przetoki, szczeliny, naddatki skórne), pojawiają się w około 15% przypadków. Przetoki mogą być zewnętrzne i wewnętrzne, pojedyncze lub mnogie i występują one w 20-40 % przypadków, zaś u pacjentów z chorobą jelita grubego w 50-80%. Oprócz przetok, dochodzi do tworzenia otorbionych ropni oraz do znacznego zwężenia światła jelita z objawami niepełnej niedrożności. Natomiast ostra niedrożność jelit, masywny krwotok lub wolna perforacja prowadząca do rozlanego zapalenia otrzewnej jest powikłaniem rzadkim. Ponieważ w chL-C może dojść do zmian chorobowych w innych niż jelita częściach przewodu pokarmowego niekiedy obserwuje się zaburzenia połykania, a zajęcie żołądka i/lub dwunastnicy imitują objawy owrzodzenia tych narządów lub zwężenie odźwiernika. Przebieg chL-C jelita cienkiego i/lub grubego jest wybitnie przewlekły, wieloletni. W większości przypadków choroba przebiega z okresami zaostrzeń i remisji. Tylko u 5% pacjentów występuje jeden rzut choroby z długotrwałą remisją. Niestety czasami choroba przybiera przewlekłą agresywną postać wymagającą stałej intensywnej terapii i licznych zabiegów operacyjnych, co może prowadzić do znacznego inwalidztwa.

W przebiegu choroby mogą występować również powikłania pozajelitowe, takie jak stłuszczenie wątroby, zapalenie dużych stawów, zeszywniające zapalenie stawów kręgosłupa, zapalenie tęczówki oka i in.

Epidemiologia

Nie ma jednoznacznych danych epidemiologicznych dotyczących rozpowszechnienia i zapadalności na chorobę Leśniowskiego – Crohna w Polsce. Według danych szacunkowych

Programy Terapeutyczne 2007
Leczenie choroby Leśniowskiego-Crohna u dzieci.

liczba chorych na początku 2007 roku wynosiła około 5 tys. U około 25% pacjentów choroba diagnozowana jest przed 18 rokiem życia, również wśród dzieci w wieku poniżej 2 lat. W badaniach epidemiologicznych obserwuje się wzrost zapadalności na chorobę Leśniowskiego – Crohna. Największą zapadalność na chorobę Leśniowskiego – Crohna stwierdza się między 20 a 30 rokiem życia. Średnia zapadalność jest szacowana na 3/100 000 osób na rok.

Opis programu

Program zakłada leczenie dzieci w wieku od 7 lat do ukończenia 18 roku życia, chorych z powodu ch L-C o ciężkim przebiegu (PCDAI>51 pkt), którzy nie wykazali odpowiedzi na pełny i odpowiedni kurs leczenia kortykosteroidem i/lub lekiem immunosupresyjnym albo nie tolerują takiego leczenia lub jest ono u nich przeciwwskazane ze względów medycznych, a u których stwierdzono wysokie stężenie biochemicznych markerów stanu zapalnego (jak np. białko C-reaktywne) i wysokie OB.

Opis działania leku:

TNF α (TNF α – tumor necrosis factor), odgrywa istotną rolę w patomechanizmie rozwoju stanu zapalnego w przebiegu choroby Leśniowskiego - Crohna. Neutralizacja jego działania pozwala na skuteczną kontrolę procesu zapalnego. Infliksymab jest chimerycznym przeciwciałem monoklonalnym, które poprzez przyłączenie się do cząsteczki czynnika martwicy nowotworów alfa neutralizuje jego działanie.

Schemat podawania leku:

Infliksymab należy podać w dawce 5 mg/kg mc w infuzji dożylniej trwającej ponad 2 godziny. Następne dawki należy podać po 14 i 42 dniach od pierwszej infuzji.

Kwalifikacja chorych do programu wymaga wcześniejszego wykonania następujących badań laboratoryjnych:

- morfologia krwi, Ht,
- OB,
- AlAT i AspAT,
- poziom kreatyniny,
- poziom elektrolitów,
- CRP,
- antygen Hbs,
- przeciwciała anty-HCV,
- antygen HIV.

Ponadto wymagane jest wykonanie:

- EKG,
- RTG klatki piersiowej,
- badań endoskopowych,
- obliczenia wskaźnika PCDAI.

Kryteria włączenia do programu

Do programu mogą zostać włączeni chorzy w wieku od 7 lat do momentu ukończenia 18 roku życia, z ciężką postacią chL-C (PCDAI> 51 pkt), u których brak jest lub nastąpiła utrata odpowiedzi na dotychczas stosowane leczenie (za wyjątkiem leczenia biologicznego),

Programy Terapeutyczne 2007
Leczenie choroby Leśniowskiego-Crohna u dzieci.

a u których występuje wysokie stężenie markerów stanu zapalnego jak np. CRP, oraz wysoki OB. U chorych tych mogą występować czynne przetoki.

W przypadku pacjentek dojrzałych płciowo, prowadzących aktywne życie seksualne musi być wyrażona zgoda na świadomą kontrolę urodzeń w okresie do 6 miesięcy po zastosowaniu ostatniej dawki infliksymabu.

Monitorowanie leczenia

W celu monitorowania leczenia świadczeniodawca jest zobowiązany wykonać w 31 dniu od podania I-szej dawki leku następujące badania:

- morfologia krwi, OB, Ht,
- ALAT i AspAT.

Badania te należy wykonać także po 2 tygodniach od podania 3-ciej dawki leku. Wtedy też należy przeprowadzić ocenę wskaźnika PCDAI.

Monitorowanie programu

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

Ponadto świadczeniodawca zobowiązany jest przysyłać do OW NFZ kartę monitorowania (według wzoru stanowiącego załącznik do opisu programu) po 2 miesiącach od rozpoczęcia leczenia w ramach programu i /lub po zakończeniu leczenia.

Kryteria wyłączenia z programu:

Z uczestnictwa w programie wyłączeni są chorzy u których stwierdzono:

- nadwrażliwość na substancję czynną i/lub na którąkolwiek substancję pomocniczą,
- ciążę i okres karmienia,
- czynną gruźlicę lub inne ciężkie zakażenia takie jak np. posocznica i zakażenia oportunistyczne, aktywne infekcje wirusem cytomegalii, yersinia pseudotuberculosis, pneumocystis carini, infekcje wywołane opornymi na leki atypowymi mykobakteriami
- przebycie w ciągu ostatnich 3 miesięcy przed włączeniem leku ostrych infekcji takich jak np.: półpaśca, zapaleń wątroby, płuc,
- pancytopenię i niedokrwistość aplastyczną
- umiarkowaną i ciężką niewydolność mięśnia serca (klasa III/IV wg NYHA), lub niestabilną chorobę wieńcową,
- przewlekłą niewydolność oddechową, przewlekłą niewydolność nerek, przewlekłą niewydolność wątroby,
- udokumentowaną infekcję wirusem HIV,
- obecność poważnych chorób układu nerwowego, chorób endokrynologicznych, hematologicznych i psychicznych.
- zespół demielinizacyjny lub objawy przypominające ten zespół,
- w okresie do 5 lat przed zastosowaniem leku stwierdzenie stanów przedrakowych lub chorób nowotworowych.

Kryteria wykluczenia z programu:

- wystąpienie progresji choroby,
- wystąpienie działań niepożądanych.

Programy Terapeutyczne 2007
Leczenie choroby Leśniowskiego-Crohna u dzieci.

- wystąpienie zakażenia o ciężkim przebiegu,
- wystąpienie choroby nowotworowej.

Wymagania wobec świadczeniodawców udzielających świadczeń w ramach programu terapeutycznego:

Program może być realizowany w oddziale chorób dzieci , z poradnią gastroenterologiczną, zatrudniającym lekarzy specjalistów z zakresu pediatrii-gastroenterologii i pielęgniarstwa. Świadczeniodawca musi zapewnić wykonanie badań niezbędnych do właściwej kwalifikacji do leczenia i monitorowania leczenia.

Programy Terapeutyczne 2007
Leczenie choroby Leśniowskiego-Crohna u dzieci.

Algorytm wyliczania PCDAI wg Hyamsa

objawy	pkt
Bóle brzucha	
brak	0
słabe	5
silne	10
Stolce (dziennie)	
<2, bez krwi	0
2-5 luźnych lub śl. krwi	5
>5 lub znaczne krwawienie	10
Samopoczucie	
dobrze (pełna aktywność)	0
niedobrze (mniejsza aktywność)	5
złe (znaczne ograniczenie aktywności)	10
Stężenie hemoglobiny (g/dl)	
>12	0
10-12	2,5
<10	5
OB (mm/godz.)	
<20	0
20 - 50	2,5
>50	5
Stężenie albumin (g/l)	
>35	0
31 - 35	5
<31	10
Wsk. Cole'a (%)	
>85	0
80 - 85	10
<85	20
Badanie palpacyjne brzucha	
brak tkliwości i oporu	0
niewyraźna tkliwość lub wyczuwalny guz	5
wyraźna tkliwość i guz	10
Zmiany okołoodbytnicze	
brak	0
niewielkie, bez bolesności	5
przetoki, bolesność lub ropień	10
Objawy pozajelitowe (gorączka >38°C, zapalenie j. ustnej, stawów, skóry itp.)	
brak	0
jeden z objawów	5
dwa lub więcej	10

Ocena aktywności: 0-10 pkt. - brak aktywności, 11-25 pkt.- łagodna postać choroby
26-50 pkt.- średnia postać choroby, >51 pkt. - ciężka postać choroby.