Lek Brineura w terapii CLN2

Managed Access Agreement
(MAA, umowa dostępu do technologii lekowych)

Broszura dla rodziców i opiekunów dzieci chorujących na CLN2

Spis treści

Wstęp 3
Jaki jest cel niniejszej broszury? 3
Jakie są powody stosowania MAA w odniesieniu do leku Brineura? 3
Jak możesz przystąpić do MAA? 4
- Kryteria włączenia 4
- Podpisanie MAA 4
- Czy chcesz, aby Twoje dziecko otrzymało terapię lekiem Brineura? 5

Podsumowanie MAA 6
Rozpoczęcie terapii lekiem Brineura 7
- Operacja wszczepienia urządzenia do podawania leku do komory mózgowej 7

Kontynuowanie terapii lekiem Brineura 7
- Wlewy leku Brineura 8
- Szpitalne oceny 9
- Kwestionariusze oceny jakości życia (ang. QoL) 10
  - Czym są kwestionariusze oceny jakości życia? 10
  - Trzy kwestionariusze oceny 11
- Weryfikacja planu terapii lekiem Brineura Twojego dziecka 12
  - Wyjątki stosowane w przypadku dzieci poniżej 3. roku życia 12

Przerwanie terapii 13
Po MAA 14
Dodatkowe pytania 14

Źródła dodatkowych informacji i wsparcia 16

Zrzeczenie się odpowiedzialności
Przedstawione w niniejszej broszurze informacje mają za zadanie służyć wyłącznie jako przewodnik po MAA. Przed podpisaniem zgody pacjenta na MAA upewnij się, że rozumiesz jej całą treść. Niniejsza broszura nie stanowi źródła porady medycznej. Jeśli masz pytania dotyczące choroby Twojego dziecka, skonsultuj się z jego lekarzem.

Wstęp

Jeśli czytasz niniejszą broszurę, najprawdopodobniej u Twojego dziecka niedawno zdiagnozowano CLN2.

Wiadomość o możliwości uzyskania dostępu do terapii z pewnością jest bardzo pozytywna, ale oceny i związane z nimi wizyty mogą okazać się bardzo stresujące dla rodziny, która stara się pogodzić z chorobą swojego dziecka i zrozumieć zasady dostępu do leczenia. Dla niektórych pacjentów i ich rodzin metoda podawania leku Brineura może okazać się niepokojącym doświadczeniem.

Mamy świadomość, że ta zmieniająca życie diagnoza rozpoczyna wyjątkowo trudny okres dla rodziny. Zadaniem Batten Disease Family Association (BDFA, Stowarzyszenie Rodzin Osób z Chorobą Battena) jest wspieranie rodzin w tym ciężkim dla nich okresie. Wiemy również, że język użyty w niniejszej broszurze czasami może wydać się przytłaczający i sformalizowany, ale przedstawione informacje pochodzą z urzędowej dokumentacji National Institute for Health and Care Excellence (NICE, Instytutu Zdrowia, Opieki i Doskonałości Klinicznej)/National Health Service England (NHS, Brytyjska Służba Zdrowia w Anglii), która zawiera bardzo dużo szczegółów i napisana jest formalnym językiem. Jeśli masz obawy lub chcesz po prostu porozmawiać z życzliwą osobą, bez wahania skontaktuj się z BDFA. BDFA za pośrednictwem swoich pracowników wsparcia może skontaktować Cię z innymi rodzicami, których dzieci mają już dostęp do terapii lekiem Brineura i z którymi możesz omówić swoje obawy i niepokoje.

Jaki jest cel niniejszej broszury?

Lek Brineura® (cerliponaza alfa) jest enzymatyczną terapią zastępczą stosowaną w leczeniu CLN2 (choroba Battena). Lek dopuszczono do użycia w 2017 r. i stanowi on pierwszą opcję terapeutyczną dla chorych z CLN2, która modyfikuje przebieg choroby. Obecnie w Anglii lek Brineura dostępny jest w ramach **Managed Access Agreement (MAA, umowa dostępu do technologii lekowych)**.

Niniejsza broszura wyjaśnia MAA, kryteria włączenia do terapii lekiem Brineura oraz opisuje sposób monitorowania leczenia Twojego dziecka podczas okresu obowiązywania MAA.

Jakie są powody stosowania MAA w odniesieniu do leku Brineura?

W Anglii NICE ogłosiła, że przed podjęciem decyzji o udostępnieniu terapii lekiem Brineura w ramach NHS potrzebuje dodatkowych informacji na jego temat.

W związku z tym opracowano MAA, aby pacjenci mieli dostęp do leczenia przez następne pięć lat, podczas których zgromadzone będą dodatkowe informacje. MAA wyznacza kryteria, które dziecko musi spełnić, aby rozpocząć terapię lekiem Brineura. MAA również opisuje oceny, które dziecko będzie musiało przejść, aby kontynuować terapię lekiem Brineura. Niespełnienie ustalonych kryteriów ocen, które warunkują kontynuowanie terapii przez dziecko, może skutkować jej przerwaniem.

MAA weszła w życie w listopadzie 2019 r. i wygaśnie w listopadzie 2024 r. Nie wiemy, czy po wygaśnięciu MAA terapia będzie w dalszym ciągu dostępna. Dostępność leczenia będzie zależeć od wyników analizy informacji zebranych w ramach MAA i rekomendacji NICE.

Jak możesz przystąpić do MAA?

Jeśli chcesz, aby Twoje dziecko przystąpiło do MAA, **zapytaj o to lekarza swojego dziecka**.

Lekarz przeprowadzi oceny, które pomogą ustalić, czy dziecko spełnia kryteria włączenia do terapii lekiem Brineura w ramach MAA. Jeśli dziecko nie spełni kryteriów włączenia do terapii, zostanie to z Tobą omówione bardziej szczegółowo, a leczenie, które dziecko dotychczas otrzymywało, będzie kontynuowane w lokalnym szpitalu w razie potrzeby z pomocą specjalistów.

Dzieci, które otrzymywały terapię lekiem Brineura jeszcze przed uruchomieniem MAA w ramach badania klinicznego lub programu dostępu rozszerzonego, automatycznie spełniają kryteria udziału w MAA.

Kryteria włączenia

Terapię w ramach MAA można rozpocząć u dzieci:

- ✓ z **potwierdzoną diagnozą** CLN2 (chorobą Battena);
- ✓ z **wynikiem oceny funkcji motorycznych i językowych równym przynajmniej 2 lub więcej na skali oceny funkcji motorycznych i językowych CLN2 (ang. CLN2 Rating Scale ML Score)**;
- ✓ **bez innych poważnych, ograniczających życie chorób**.
- ✓ **Podpisanie zgody na** Managed Access Agreement (MAA, umowa dostępu do technologii lekowych) **przez pacjenta, rodzica lub opiekuna dziecka**.

Podpisanie MAA

Jeśli Twoje dziecko spełni kryteria włączenia do terapii, przed rozpoczęciem leczenia podpiszesz w szpitalu zgodę pacjenta na MAA. Lekarz w szpitalu omówi z Tobą umowę i odpowie na wszystkie Twoje pytania. Podpisując MAA, zgadzasz się na wszystkie warunki w niej zawarte.

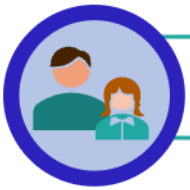
Omów z lekarzem swojego dziecka wszelkie swoje wątpliwości.

Czym jest wynik oceny funkcji motorycznych i językowych na skali oceny funkcji motorycznych i językowych CLN2 (ang. CLN2 Rating Scale ML Score)?

Skala oceny funkcji motorycznych i językowych CLN2 jest narzędziem stosowanym do pomiaru nasilenia objawów CLN2 i wykorzystywana jest do oceny funkcji motorycznych i językowych Twojego dziecka. Różne kategorie funkcji motorycznych i językowych oceniane są na skali od 0 do 3 i uzyskiwany jest całkowity wynik. Wyższy wynik w kategoriach skali oznacza lepszą sprawność dziecka. Opis tych kategorii przedstawiono w dokumencie MAA.

Aby rozpocząć terapię lekiem Brineura, dziecko musi uzyskać na skali wynik równy przynajmniej 2 lub więcej. Ta skala oceny również stosowana jest do ocen szpitalnych wykonywanych w okresie leczenia, aby potwierdzać zasadność kontynuowania terapii lekiem Brineura.

Przeczytaj uważnie umowę, aby zrozumieć, jakie działania musisz podjąć. Leczenie zakwalifikowanego do terapii dziecka może zostać przerwane w przypadku spełnienia przez niego kryteriów przerwania leczenia (strona 13).



Czy chcesz, aby Twoje dziecko otrzymało terapię lekiem Brineura?

Tak

Moje dziecko już otrzymuje lek Brineura

Oceny w szpitalu, gdzie odbywa się leczenie

Dziecko spełnia kryteria włączenia do leczenia

Dziecko nie spełnienia kryteriów włączenia do leczenia

Nie

Kontynuacja leczenia organizowanego przez szpital, pod którego opieką znajduje się dziecko

Umowa dostępu do technologii lekowych – MAA

Podpisanie zgody pacjenta na MAA

Podpisanie zgody pacjenta na MAA

MRI oraz operacja wszczepienia urządzenia do podawania leku do komory mózgowej

Rozpoczęcie terapii

Oceny wyjściowe

Szpitalne oceny co 6/12 miesięcy

Kwestionariusze oceny jakości życia (ang. QoL) co 6 miesięcy

Roczna weryfikacja terapii

Terapia przynosi dziecku korzyści

Kontynuacja terapii

Terapia nie przynosi dziecku korzyści

Przerwanie terapii

Analiza informacji zebranych w okresie obowiązywania MAA przez NICE i rekomendacje dotyczące przyszłego dostępu do Brineura

Dostępność leku Brineura po 2024 r. zależy od rekomendacji NICE

MRI: obrazowanie rezonansem magnetycznym

Podsumowanie MAA

Aby rozpocząć terapię lekiem Brineura, Twoje dziecko musi spełnić następujące warunki: (strona 7)

- ✓ musi mieć potwierdzoną diagnozę CLN2;
- ✓ musi otrzymać wynik oceny funkcji motorycznych i językowych równy przynajmniej 2 lub więcej na skali oceny funkcji motorycznych i językowych CLN2 (ang. CLN2 Rating Scale ML Score);
- ✓ nie może mieć innych poważnych, ograniczających życie chorób;
- ✓ dziecko musi poddać się operacji wszczepienia urządzenia do podawania leku do komory mózgowej.
- ✓ Dodatkowo pacjent, rodzic lub opiekun dziecka musi podpisać zgodę pacjenta na Managed Access Agreement (MAA, umowa dostępu do technologii lekowych).

Warunki konieczne do kontynuowania terapii: (strony 7–12)

- ✓ przychodzenie na wizyty do kliniki w celu otrzymania wlewu co 2 tygodnie;
- ✓ przychodzenie na wizyty do kliniki na oceny co 6 miesięcy;
- ✓ wypełnianie kwestionariuszy oceny jakości życia (ang. QoL) co 6 miesięcy;
- ✓ wyniki ocen muszą potwierdzać, że lek Brineura przynosi dziecku korzyści.

Terapia może zostać przerwana, jeśli: (strona 13)

- ✓ twoje dziecko pominie więcej niż dwa wlewy w ciągu dowolnych 14 miesięcy*;
- ✓ ty lub Twoje dziecko pominęliście przynajmniej dwie szpitalne oceny lub nie wypełniliście dwóch kwestionariuszy oceny jakości życia (ang. QoL) w ciągu dowolnych 14 miesięcy;
- ✓ nie wykazano, aby terapia lekiem Brineura przynosiła dziecku korzyści;
- ✓ chcesz zakończyć terapię lekiem Brineura u swojego dziecka;
- ✓ wystąpił problem medyczny, z powodu którego terapia musi zostać przerwana.

Po MAA: (strona 14)

- ✓ MAA wygasa w listopadzie 2024 r.;
- ✓ National Institute for Health and Care Excellence (NICE, Instytut Zdrowia, Opieki i Doskonałości Klinicznej) zdecyduje, czy terapia lekiem Brineura po upłynięciu powyższego terminu będzie w dalszym ciągu dostępna.

*Z wyjątkiem, kiedy wystąpią problemy medyczne lub sytuacje nadzwyczajne zagrażające zdrowiu publicznemu np. COVID-19.

Rozpoczęcie terapii lekiem Brineura

Operacja wszczepienia urządzenia do podawania leku do komory mózgowej

Około 10–14 dni przed pierwszym wlewem

Lek Brineura podaje się bezpośrednio do płynu mózgowo-rdzeniowego (PMR). Przed rozpoczęciem terapii w szpitalu u dziecka wykonane zostanie prześwietlenie mózgu (MRI) oraz, najwcześniej jak będzie to możliwe, operacja wszczepienia urządzenia do podawania leku do komory mózgowej, które umożliwi podawanie dziecku wlewów.

Lek Brineura wymaga podania bezpośrednio do PMR, ponieważ mózg chroniony jest przez barierę krew-mózg, która kontroluje wymianę substancji pomiędzy krwią i płynem mózgowo-rdzeniowym, co oznacza, że lek nie dotarłby do centralnego układu nerwowego, jeśli podano by go inną metodą (np. we wlewie dożylnym).

Urządzenie podaje lek Brineura do płynu znajdującego się w komorze mózgu, aby dziecko uzyskało z terapii maksymalne korzyści.

Dla rodzica operacja wszczepienia urządzenia może okazać się przykrym i stresującym doświadczeniem, ale urządzenie do podawania leku, które zostanie wszczepione dziecku, jest od wielu lat stosowane w leczeniu dzieci z różnymi schorzeniami i stanowi dobrze znaną metodę podawania leków do PMR.

Urządzenie jest gotowe do użycia około 10–14 dni po wszczepieniu. Zespół specjalistów opiekujący się Twoim dzieckiem poinformuje Cię o terminie pierwszego wlewu.

Zespół szpitala zawsze chętnie odpowie na każde Twoje pytanie. Wszystkie swoje obawy i wątpliwości od razu omów z lekarzem opiekującym się Twoim dzieckiem.

Czym jest płyn mózgowo-rdzeniowy (PMR)?

PMR jest wodnistą cieczą chroniącą mózg oraz rdzeń kręgowy, która transportuje substancje odżywcze do mózgu.

Wszczepione urządzenie do podawania leku do komory mózgowej ‡

Kontynuowanie terapii lekiem Brineura

Tylko pacjenci, którzy **spełniają warunki** opisane w MAA, mogą kontynuować terapię lekiem Brineura. W trakcie MAA oczekuje się, że Twoje dziecko:

- ✓ przyjdzie na **wszystkie wizyty w celu otrzymania wlewu***;
- ✓ przyjdzie na **wszystkie wizyty** w celu ocen szpitalnych*;
- ✓ dodatkowo rodzic/opiekun będzie zobowiązany **wypełniać kwestionariusze oceny jakości życia (ang. QoL)** telefonicznie.

Terapia lekiem Brineura będzie kontynuowana wyłącznie, jeśli oceny wykażą, że przynosi ona dziecku korzyści.

*Z wyjątkiem, kiedy wystąpią problemy medyczne lub sytuacje nadzwyczajne zagrażające zdrowiu publicznemu np. COVID-19.
‡Grafika wykorzystana za zgodą BioMarin.

Wlewy leku Brineura

Raz na 2 tygodnie

Wlewy leku Brineura odbywają się co 2 tygodnie w szpitalu. Musisz razem ze swoim dzieckiem przyjść do szpitala, gdzie dziecko otrzyma wlew. Lek Brineura można podawać wyłącznie w wybranych ośrodkach. Rodzice wraz z dzieckiem będą musieli przychodzić na wlewy do wskazanego ośrodka. Lek Brineura zostanie podany przez odpowiednio przeszkolony personel medyczny znający techniki podawania tego rodzaju wlewów.

Zgodnie z MAA dziecko nie może pominąć więcej niż 2 wlewów w ciągu dowolnych 14 miesięcy*.

Jeśli uważasz, że lek Brineura nie przynosi korzyści Twojemu dziecku, najpierw musisz o tym powiadomić lekarza swojego dziecka. Komunikacja z lekarzem Twojego dziecka jest niezbędna do zapewnienia Twojemu dziecku odpowiedniej opieki. Pamiętaj, że personel szpitala z chęcią wysłucha Twojej opinii o zdrowiu i leczeniu Twojego dziecka.

Ile trwa podawanie leku Brineura?

Czas potrzebny do podania jednego wlewu leku Brineura może się różnić w zależności od dawki i objętości wlewu. Z reguły czas podania wynosi około czterech i pół godziny. W przypadku dzieci poniżej 2. roku życia, które otrzymują mniejszą dawkę, czas podania może być krótszy.

Dlaczego ważne jest, aby Twoje dziecko nie pomijało wlewów?

Aby dziecko uzyskało maksimum korzyści ze stosowania leczenia, nie może pomijać wlewów.

Częstotliwość dawkowania leku Brineura została opracowana na podstawie badań klinicznych i zaleca się, aby podawać jego wlewy co 2 tygodnie.

Co stanie się, jeśli moje dziecko pominie wlew z powodu problemów medycznych?

Dziecko, które pominie wlew z powodu problemów medycznych, w określonych przypadkach i po ustąpieniu problemu, być może wciąż będzie mogło kontynuować terapię lekiem Brineura. Lekarz Twojego dziecka będzie mógł udzielić Ci dodatkowych porad.

Czy można przerwać terapię u mojego dziecka, a później je wznowić?

Po podjęciu decyzji o przerwaniu terapii nie ma możliwości jej wznowienia w późniejszym terminie podczas okresu obowiązywania MAA. Omów swoją decyzję o przerwaniu leczenia z lekarzem swojego dziecka.

*Z wyjątkiem, kiedy wystąpią problemy medyczne lub sytuacje nadzwyczajne zagrażające zdrowiu publicznemu np. COVID-19.

Szpitalne oceny

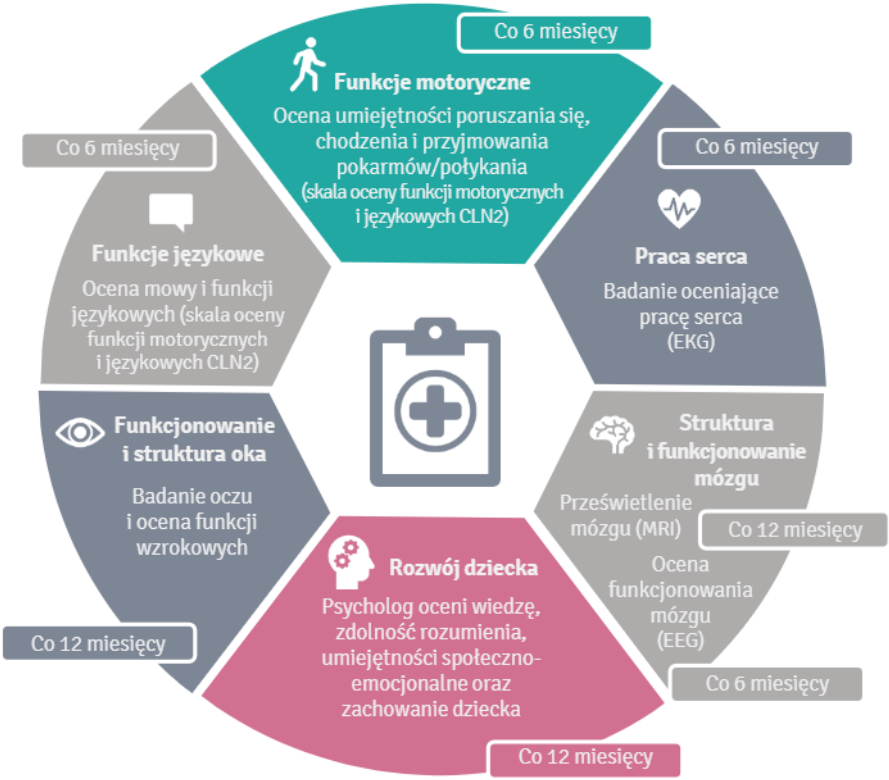
Co 6 lub 12 miesięcy

Jednym z warunków MAA jest konieczność przychodzenia dziecka razem z Tobą na wizyty do szpitala co 6 miesięcy w celu wykonania szpitalnych ocen.

Oceny stanowią ważną część MAA i na podstawie ich wyników zostanie ustalone, czy terapia przynosi korzyści dziecku.

Jakie szpitalne oceny zostaną wykonane?

Szpital przeprowadzi różne oceny kliniczne i oceny rozwoju dziecka, które pomogą ustalić, czy terapia jest skuteczna:



EKG: elektrokardiogram
EEG: elektroencefalogram
MRI: obrazowanie rezonansem magnetycznym

Kwestionariusze oceny jakości życia (ang. QoL)

Co 6 miesięcy

W ramach MAA masz obowiązek co 6 miesięcy w imieniu dziecka wypełniać kwestionariusze oceny jakości życia. Kwestionariusze wypełniane są podczas rozmowy telefonicznej z członkiem zespołu MAA przy Rare Disease Research Partners (RDRP). Wypełnienie wszystkich trzech kwestionariuszy zajmuje około 30 minut.

Kwestionariusze pomogą ustalić wpływ terapii lekiem Brineura na jakość życia dziecka i jego rodziny oraz opiekunów.

Oceny stanowią ważną część MAA i ich wyniki pomogą określić, czy terapia lekiem Brineura przynosi korzyści dziecku. Informacje zebrane na drodze kwestionariuszy nigdy nie są wykorzystywane w odosobnieniu i stanowią uzupełnienie wyników ocen szpitalnych dziecka.

Czym są kwestionariusze oceny jakości życia (ang. QoL)?

Kwestionariusze oceny jakości życia służą zebraniu informacji w celu zrozumienia zdolności dziecka i jego rodziny/opiekunów do czerpania radości z codziennego życia. Na stronie 11 znajdują się dodatkowe informacje o trzech kwestionariuszach oceny jakości życia. Pytania znajdujące się w kwestionariuszach będą dotyczyć:

- Przyjmowania pokarmów
- Bólu
- Udziału w życiu społecznym (np. przedszkole, szkoła)
- Samoopieki
- Zmęczenia
- Wpływu na zdrowie psychiczne
- Napadów
- Problemów ze snem
- Funkcji ruchowych
- Problemów z trawieniem
- Mowy lub komunikacji
- Wpływu na rodzinę i opiekunów dziecka

Jak mogę wypełnić kwestionariusze QoL?

Członek zespołu zajmującego się obsługą MAA w Rare Disease Research Partners (RDRP) skontaktuje się z Tobą w celu ustalenia dogodnego terminu wypełnienia kwestionariusza. Zespół będzie kontaktować się z Tobą co sześć miesięcy, aby pomóc Ci wypełnić trzy kwestionariusze, których wypełnienie jest wymagane (patrz strona 11).

RDRP może zorganizować pomoc tłumacza podczas rozmów dla rodziców/opiekunów, którzy nie mówią po angielsku.

Co się stanie, jeśli opuszczę termin rozmowy telefonicznej?

Jeśli opuścisz rozmowę telefoniczną, RDRP spróbuje skontaktować się z Tobą później w celu ustalenia nowego terminu rozmowy. Jeśli nie uda im się skontaktować z Tobą, aby ustalić nowy termin rozmowy, poinformują o tym lekarza Twojego dziecka i w dokumentacji rozmowa zostanie oznaczona jako opuszczona.

Skontaktuj się z RDRP, jeśli wiesz, że nie dotrzymasz terminu rozmowy i musisz ustalić nowy. Informacje kontaktowe RDRP znajdziesz na tylnej stronie niniejszej broszury.

Trzy kwestionariusze oceny

Na pytania odpowiadają rodzice lub opiekunowie dziecka leczonego w ramach MAA lekiem Brineura

MINIONY MIESIĄC

PedsQL

Krótki kwestionariusz, który służy do oceny w **jakim stopniu pewne czynności stanowiły dla Twojego dziecka trudność** w **minionym miesiącu**.

Pytania będą dotyczyć fizycznego, emocjonalnego, społecznego funkcjonowania dziecka oraz jego funkcjonowania w szkole. Otrzymasz pięć następujących opcji odpowiedzi do wyboru:

Nigdy nie stanowi to problemu
Prawie nigdy nie stanowi to problemu
Czasem stanowi to problem
Często stanowi to problem
Prawie zawsze stanowi to problem

MINIONY MIESIĄC

CLN2QoL

Kwestionariusz, który pomaga ocenić, **czy niektóre aspekty choroby dziecka** stanowiły problem dla Ciebie, Twojej rodziny i Twojego dziecka w ciągu **minionego miesiąca**.

Pytania w kwestionariuszu obejmują kwestie związane z napadami, przyjmowaniem pokarmów, snem, zachowaniem i codziennymi czynnościami. Otrzymasz pięć następujących opcji odpowiedzi do wyboru:

Nigdy nie stanowi to problemu
Prawie nigdy nie stanowi to problemu
Czasem stanowi to problem
Często stanowi to problem
Prawie zawsze stanowi to problem

DZISIAJ

EQ-5D-5L

Krótki kwestionariusz oceniający **dzisiejszą jakość życia** Twojego dziecka.

Pytania będą dotyczyć funkcji ruchowych, umiejętności samoobsługowych, codziennych zajęć, natężenia bólu/dyskomfortu i samopoczucia. Na każde pytanie będzie można odpowiedzieć, wybierając jedną z pięciu opcji.

Nie ma prawidłowych ani nieprawidłowych odpowiedzi na te pytania.

Weryfikacja planu terapii Twojego dziecka lekiem Brineura

Co 12 miesięcy

Kontynuacja terapii lekiem Brineura w ramach MAA zależy od wyników ocen przeprowadzanych w ramach MAA, które muszą wykazać, że terapia przynosi korzyści dziecku.

Lekarz Twojego dziecka razem z zespołem innych specjalistów z zakresu leczenia lizosomalnych chorób spichrzeniowych co roku wykona analizę wyników ocen szpitalnych oraz oceny jakości życia (ang. QoL).

Lekarz Twojego dziecka omówi z Tobą wyniki i wyjaśni, czy terapia lekiem Brineura przynosi Twojemu dziecku korzyści.

Na jakiej podstawie ustalane jest, że lek Brineura przynosi korzyści mojemu dziecku?

To, czy leczenie jest korzystne dla dziecka ustala się na podstawie wyników ocen szpitalnych i kwestionariuszy oceny jakości życia wypełnianych w trakcie trwania MAA. W przypadku zaobserwowania istotnego pogorszenia wyników ocen lekarz dziecka podejmie decyzję o przerwaniu terapii lekiem Brineura, którą z Tobą omówi.

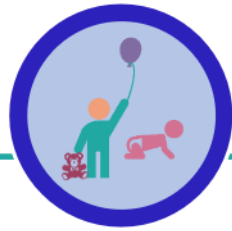
Tak długo, jak wyniki ocen nie spełniają kryteriów przerwania leczenia opisanych w MAA, leczenie jest uważane za korzystne dla dziecka i jest kontynuowane.

Pełny opis warunków potrzebnych do spełnienia kryteriów ocen, aby kontynuować terapię lekiem Brineura, jest dostępny w dokumencie MAA.

Co mogę zrobić, jeśli nie zadowalają mnie wyniki ocen?

Jeśli uważasz, że oceny zostały przeprowadzone nieprawidłowo lub informacje nie zostały zebrane prawidłowo, skonsultuj to z lekarzem swojego dziecka.

Jeśli w dalszym ciągu masz wątpliwości, poproś o drugą opinię w szpitalu, który zajmuje się opieką Twojego dziecka. Możesz również poprosić o powtórzenie oceny w innym wybranym przez siebie szpitalu, ale musisz pokryć wszystkie związane z tym koszty.



Wyjątki stosowane w przypadku dzieci poniżej 3. roku życia

Dziecko może być za małe, aby mogło zostać poddane wszystkim ocenom.

Dzieci, które mają mniej niż trzy lata, zostają automatycznie uznane za spełniające kryteria włączenia w odniesieniu do ocen, którym nie mogą się poddać. Te oceny zostaną przeprowadzone w ciągu 6 miesięcy od ukończenia przez nie trzeciego roku życia.

Co jeśli moje dziecko źle się czuło podczas przeprowadzania ocen?

Jeśli dziecko chwilowo źle się poczuło przed poddaniem się ocenie, ocena zostanie powtórzona w ciągu 12 tygodni.

Powtórzenie oceny zagwarantuje, że tymczasowe okoliczności nie będą miały wpływu i nie zostaną wzięte pod uwagę przy podejmowaniu decyzji, czy terapię można kontynuować, czy nie.

Przerwanie terapii

Terapia może zostać przerwana w przypadku zaprzestania spełniania określonych warunków opisanych w MAA lub gdy wyniki ocen szpitalnych i kwestionariuszy oceny jakości życia (ang. QoL) zasugerują, że terapia lekiem Brineura nie przynosi korzyści Twojemu dziecku.

Poniżej znajdują się niektóre z powodów, z których terapia Twojego dziecka może zostać przerwana:

- Wyniki ocen wskazują na brak korzyści terapii lekiem Brineura dla dziecka
- Dziecko pominie więcej niż dwa wlewy w ciągu dowolnych 14 miesięcy
- Problemy medyczne, takie jak reakcje alergiczne na lek Brineura lub inny poważny problem
- Dziecko pominęło przynajmniej dwie oceny szpitalne w ciągu dowolnych 14 miesięcy
- Nie chcesz, aby Twoje dziecko kontynuowało terapię
- Nie wypełnisz przynajmniej dwóch kwestionariuszy oceny jakości życia w ciągu dowolnych 14 miesięcy

Co się dzieje, kiedy terapia lekiem Brineura zostaje przerwana?

Lekarz Twojego dziecka omówi z Tobą kolejne kroki. Twoje dziecko będzie nadal otrzymywało opiekę i wsparcie szpitala.

UK Batten Disease Family Association (BDFA) może wspierać dziecko i jego rodzinę bez względu na to, czy dziecko otrzymuje terapię lekiem Brineura czy nie. Informacje kontaktowe BDFA znajdziesz na tylnej stronie niniejszej broszury.

Czy mogę odwołać się od decyzji przerwania terapii u mojego dziecka?

Masz możliwość odwołania się od decyzji o przerwaniu terapii lekiem Brineura, jeśli uważasz, że terapię przerwano w wyniku nieprawidłowo przeprowadzonej oceny lub nieprawidłowo zebranych informacji.

Możesz poprosić o drugą opinię w szpitalu swojego dziecka. Jeśli poprosisz o powtórzenie oceny w innym wybranym przez siebie szpitalu, masz obowiązek pokryć wszystkie związane z tym koszty.

Jakie inne problemy zdrowotne mogą doprowadzić do przerwania terapii?

Jeśli dziecko nie toleruje wlewów mimo prób zmniejszenia reakcji za pomocą leków, terapia lekiem Brineura może zostać tymczasowo zawieszona lub całkowicie przerwana.

W przypadku zdiagnozowania u dziecka innej poważnej lub ograniczającej życie choroby, może okazać się, że rozpoczęcie leczenia tej choroby jest ważniejsze i w związku z tym zostanie przeprowadzona ocena terapii lekiem Brineura z uwzględnieniem nowej diagnozy.

Miej pewność, że lekarz Twojego dziecka zawsze przed wprowadzeniem jakichkolwiek zmian w terapii dziecka omówi je z Tobą.

Po MAA

Terapia lekiem Brineura pozostanie dostępna do stosowania u dzieci z CLN2 do końca okresu obowiązywania MAA (listopad 2024 r.) pod warunkiem spełniania kryteriów włączenia do leczenia. Nie wiemy, czy po wygaśnięciu MAA terapia lekiem Brineura będzie w dalszym ciągu dostępna.

Dostępność po listopadzie 2024 r. będzie zależała od wyniku analizy informacji zebranych podczas trwania MAA na temat skutków terapii lekiem Brineura. NICE przeprowadzi analizę zebranych informacji i wyda zalecenia przed zakończeniem MAA w 2024 r.

Dodatkowe pytania

Czy możemy wyjechać na wakacje w okresie trwania MAA?

Możesz wyjechać na krótkie wakacje, ale musisz pamiętać, że dziecko nie może ominąć więcej niż dwóch wlewów w ciągu dowolnych 14 miesięcy.

Każdy planowany wyjazd musisz omówić z lekarzem dziecka, aby upewnić się, że nie złamiesz warunków MAA, ponieważ może to skutkować przerwaniem terapii.

Wydaje mi się, że objawy mojego dziecka uległy pogorszeniu.

Jeśli uważasz, że objawy Twojego dziecka uległy pogorszeniu podczas terapii lekiem Brineura, porozmawiaj o tym z lekarzem swojego dziecka.

Wydaje mi się, że terapia nie przynosi korzyści mojemu dziecku.

Jeśli uważasz, że terapia lekiem Brineura nie przynosi korzyści Twojemu dziecku, porozmawiaj o tym z lekarzem swojego dziecka.

Jeśli zdecydujesz się, że nie chcesz, aby Twoje dziecko kontynuowało terapię, możesz w każdej chwili zrezygnować z udziału w MAA.

Czy moje dziecko może przystąpić do MAA w późniejszym terminie?

Jeśli masz wątpliwości i nie wiesz, jaką decyzję podjąć odnośnie rozpoczęcia u Twojego dziecka terapii lekiem Brineura, omów swoje obawy z lekarzem swojego dziecka.

Jeśli chcesz, aby Twoje dziecko rozpoczęło terapię w późniejszym terminie, konieczne będzie ponowne przeprowadzenie oceny. Jest to spowodowane tym, że stan dziecka mógł ulec zmianie i dziecko przestało spełniać kryteria włączenia do leczenia. W takim przypadku może okazać się, że terapia nie zostanie rozpoczęta u dziecka.

Co się stanie, jeśli moje dziecko pominie ocenę szpitalną?

Czasami dziecko nie będzie mogło wziąć udziału w wizycie z powodów problemów zdrowotnych lub innych nieprzewidzianych okoliczności, które uniemożliwią mu stawienie się na wizycie.

Skontaktuj się ze szpitalem tak szybko, jak to możliwe, aby poinformować personel o tym, że nie możesz przyjść na wizytę i poproś o przełożenie terminu wizyty. Aby spełniać warunki MAA, dziecko musi przejść rzynajmniej dwie oceny w ciągu dowolnych 14 miesięcy.

Czy otrzymam informacje o ostatecznej decyzji podjętej przez NICE w sprawie dostępu do terapii lekiem Brineura po wygaśnięciu MAA?

Lekarz Twojego dziecka poinformuje Cię o wszelkich decyzjach, które mogą mieć wpływ na dostęp do terapii.

Wizyty Twojego dziecka w klinice

Data	Godzina	Z/gdzie

Rozmowy telefoniczne – wypełnianie kwestionariuszy

Data	Godzina	Data	Godzina

Źródła dodatkowych informacji i wsparcia

Lekarz Twojego dziecka

Porozmawiaj z lekarzem swojego dziecka, jeśli masz obawy odnośnie zdrowia, leczenia dziecka lub MAA.

MAA

Pełna treść MAA dostępna jest pod adresem: www.nice.org.uk/guidance/hst12/resources/managed-access-agreement-pdf-6968825245

Batten Disease Family Association

Skontaktuj się z Batten Disease Family Association (BDFA) w celu uzyskania wsparcia i porady.

Zapytania ogólne: 07876 682 589; admin@bdfa-uk.org.uk
Wsparcie: 0800 046 9832; support@bdfa-uk.org.uk
Witryna: www.bdfa-uk.org.uk

Niniejszy dokument został opracowany w czerwcu 2020 r. przez Rare Disease Research Partners (RDRP).
Prawa własności © 2020 RDRP. Wszelkie prawa zastrzeżone.
Rare Disease Research Partners
MPS House, Repton Place, White Lion Road
Amersham, Buckinghamshire, HP7 9LP, Wielka Brytania

0345 260 1087
info@rd-rp.com

Niniejsza broszura powstała we współpracy z BioMarin Europe Ltd.

MPS Commercial jest spółką z ograniczoną odpowiedzialnością (Private Limited Company) zarejestrowaną pod nr. 08621283. MPS Commercial występuje w obrocie handlowym jako Rare Disease Research Partners i jest spółką zależną, nienastawioną na zysk, w całości należącą do towarzystwa chorób mukopolisacharydowych, Society for Mucopolysaccharide Diseases (MPS Society), organizacją charytatywną zarejestrowaną w Anglii i Walii pod nr. 1143472. Cele społeczne Rare Disease Research Partners to reinwestowanie wszelkich nadwyżek w celu wsparcia misji MPS Society, którą jest zwiększenie jakości życia pacjentów poprzez udostępnianie specjalistycznej wiedzy, wsparcia, rzecznictwo i badania.