



# WSKAZANIA DO LECZENIA HORMONEM WZROSTU U DZIECI

EWELINA WITKOWSKA-SĘDEK



# WSKAZANIA DO LECZENIA HORMONEM WZROSTU U DZIECI – PROGRAMY LEKOWE NFZ

- Somatotropinowa niedoczynność przysadki
- Zespół Turnera
- Niedobór wysokości ciała u dzieci urodzonych jako zbyt małe w stosunku do czasu trwania ciąży
- Zespół Pradera-Williego
- Niedobór wysokości ciała u dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek

# SOMATOTROPINOWA NIEDOCZYNNOŚĆ PRZYSADKI

## KRYTERIA KWALIFIKACJI DO LECZENIA:

- Nawracające stany hipoglikemii w okresie niemowlęcym i/lub poniemowlęcym, szczególnie u dzieci z wadami linii pośrodkowej ciała, przede wszystkim w obrębie twarzo-czaszki
- Wysokość ciała  $< 3$  c dla płci i wieku na siatkach centylowych dla populacji dzieci polskich (nie dotyczy dzieci z WNP, dzieci z mutacjami związanymi z niedoborem hormonu wzrostu, dzieci u których terapię rozpoczęto w okresie niemowlęcym lub poniemowlęcym i dzieci po terapii chorób rozrostowych)
- Opóźniony wiek kostny (metoda Greulich-Pyle'a)
- Wykluczenie innych niż SNP przyczyn niskiego wzrostu lub wyrównanie tych chorób
- Wydzielanie GH  $< 10$  ng/ml w dwóch testach stymulacyjnych. U dzieci z WNP oraz u dzieci z mutacjami związanymi z niedoborem hormonu wzrostu - w jednym teście stymulacyjnym.  
Testy mogą być wykonywane jedynie u dzieci  $> 2$  rż, a test insulinowy  $> 5$  rż

# SOMATOTROPINOWA NIEDOCZYNNOŚĆ PRZYSADKI

## KRYTERIA WYŁĄCZENIA Z PROGRAMU:

- Złuszczenie głowy kości udowej (złuszczenie bliższej nasady kości udowej względem przynasady - szyjki kości udowej, poprzez chrząstkę wzrostową)
- Ujawnienie lub wznowa choroby rozrostowej
- Brak zgody pacjenta na kontynuację leczenia
- Niezadowalający efekt leczenia hormonem wzrostu tj. przyrost wysokości ciała  $< 2$  cm/rok
- Osiągnięcie wieku kostnego  $> 14$  lat przez dziewczynkę,  $> 16$  lat przez chłopca

# SOMATOTROPINOWA NIEDOCZYNNOŚĆ PRZYSADKI

## KRYTERIA CZASOWEGO WYŁĄCZENIA Z PROGRAMU:

- Utrzymywanie się ponadnormatywnych stężeń IGF-I, pomimo zmniejszenia dawki hormonu wzrostu
- Objawy pseudo-tumor cerebri (do wykluczenia organicznych uwarunkowań stwierdzanych objawów)
- Źle wyrównana cukrzyca

# SOMATOTROPINOWA NIEDOCZYNNOŚĆ PRZYSADKI

## BADANIA PO ZAKOŃCZENIU TERAPII HORMONEM WZROSTU PROMUJĄCEJ WZRASTANIE:

- Co najmniej miesiąc po zakończeniu terapii test stymulacyjny wydzielania GH z insuliną lub innym powszechnie uznanym stymulatorem sekrecji hormonu wzrostu
- W przypadku stężeń hormonu wzrostu  $< 3$  ng/ml przekazanie pacjenta pod opiekę jednostki zajmującej się leczeniem osób dorosłych

# ZESPÓŁ TURNERA

## KRYTERIA KWALIFIKACJI

- Stygmaty zespołu Turnera
- Wysokość ciała  $< 3$  c dla wieku na siatkach centylowych dla populacji dziewcząt polskich
- Upośledzone tempo wzrastania  $< - 1$  SD w odniesieniu do populacji dziewcząt polskich
- Opóźniony wiek kostny oceniany metodą Greulich-Pyle'a
- Wykluczenie innych przyczyn niskorosłości
- Inne nieprawidłowości, szczególnie anatomiczne układu sercowo-naczyniowego i moczowo-płciowego
- Konsultacja genetyczna, potwierdzona dodatnim wynikiem badania kariotypu

# ZESPÓŁ TURNERA

## KRTERIA WYŁĄCZENIA:

- Wystąpienie objawów złuszczenia głowy kości udowej
- Wystąpienie objawów pseudo-tumor cerebri
- Wystąpienie lub ujawnienie się cukrzycy
- Ujawnienie lub wznowa choroby rozrostowej
- Osiągnięcie niewyróżniającej wysokości ciała tj. większej lub równej 158 cm
- Zakończenie wzrastania (brak przyrostu wysokości ciała w ciągu 6 miesięcy)
- Niezadowalający efekt leczenia tj. przyrost wysokości ciała  $< 3$  cm/rok
- Osiągnięcie wieku kostnego 14 lat



# NIEDOBÓR WYSOKOŚCI CIAŁA U DZIECI URODZONYCH JAKO ZBYT MAŁE W PORÓWNANIU DO CZASU TRWANIA CIAŻY

## KRYTERIA KWALIFIKACJI:

- Urodzeniowa masa lub długość ciała  $< - 2$  SD dla wieku ciążowego i płci dziecka wg norm populacyjnych
- Wiek  $> 4$  lat
- Wysokość ciała  $< 3$  centyla dla płci i wieku na siatkach centylowych dla populacji dzieci polskich
- Upośledzone tempo wzrastania  $< - 1$  SD w odniesieniu do populacji dzieci polskich
- Wiek kostny poniżej 14 lat dla dziewczynki i poniżej 16 lat dla chłopca
- Wykluczenie innych przyczyn niskorosłości
- Stężenie GH równe lub wyższe niż 10 ng/ml w teście nocnym lub stymulacyjnym
- Brak p/wskazań do terapii rhGH stwierdzonych na podstawie TK z kontrastem lub MRI okolicy podwzgórzowo-przysadkowej

KRYTERIA KWALIFIKACJI MUSZĄ BYĆ SPEŁNIONE ŁĄCZNIE

# NIEDOBÓR WYSOKOŚCI CIAŁA U DZIECI URODZONYCH JAKO ZBYT MAŁE W PORÓWNANIU DO CZASU TRWANIA CIAŻY

## KRYTERIA WYŁĄCZENIA:

- Złuszczenie głowy kości udowej
- Pseudo-tumor cerebri
- Cukrzyca
- Ujawnienie lub wznowa choroby rozrostowej
- Brak zgody/brak współpracy świadczeniobiorcy na kontynuację leczenia
- Niezadowalający efekt leczenia tj. przyrost wysokości ciała  $< 2$  cm/rok
- Osiągnięcie wieku kostnego  $> 14$  lat przez dziewczynkę i  $> 16$  lat przez chłopca
- Znacznie nasilone zaburzenia proporcji budowy ciała
- Duże wrodzone wady rozwojowe upośledzające podstawowe czynności życiowe
- Aberracje chromosomowe związane ze zwiększonym ryzykiem wystąpienia chorób rozrostowych
- Podwyższone stężenie IGF-I dla płci i wieku

# ZESPÓŁ PRADERA-WILLIEGO

*Current Pediatric Reviews, 2019, 15, 207-244*

REVIEW ARTICLE



**Prader-Willi Syndrome - Clinical Genetics, Diagnosis and Treatment Approaches: An Update**



Zespół wad spowodowany aberracją chromosomalną, najczęściej delecją długiego ramienia chromosomu 15 pochodzącego od ojca.

Cardinal clinical features.

- Craniofacial anomalies.
- Intellectual disability.
- Infantile hypotonia.
- Growth hormone deficiency.
- Hypogonadism/Hypogenitalism.
- Behavioral problems.
- Hyperphagia leading to obesity in early childhood.

# ZESPÓŁ PRADERA-WILLIEGO

## KRYTERIA KWALIFIKACJI:

- Rozpoznanie zespołu P-W na podstawie cech klinicznych potwierdzonych badaniem genetycznym
- Wiek < 18 rż, optymalnie między 2 a 4 rż
- Wiek kostny < 16 lat u dziewcząt i < 18 lat u chłopców
- Stan odżywienia – BMI < 97 c dla płci i wieku
- Wyrównane przemiany węglowodanowe (OGTT z pomiarem stężeń glukozy i insuliny)
- Konsultacja ORL – możliwość nasilenia lub wystąpienia nocnych bezdechów
- Wprowadzone leczenie dietetyczne i rehabilitacja
- Inne badania i konsultacje zależnie od choroby zasadniczej
- Brak innych przeciwwskazań do stosowania hormonu wzrostu

# ZESPÓŁ PRADERA-WILLIEGO

## KRYTERIA WYŁĄCZENIA:

- Brak współpracy z rodzicami lub dzieckiem
- Wystąpienie powikłań terapii rhGH
- Zaniechanie systematycznego leczenia rehabilitacyjnego lub dietetycznego
- Narastanie otyłości pomimo kompleksowego leczenia rhGH, leczenia dietetycznego i rehabilitacji
- Pojawienie się lub nasilenie nocnych bezdechów
- Cukrzyca lub ujawnienie się cukrzycy w czasie terapii rhGH