**Załącznik nr 2**

**OPIS PROGRAMU**

**Opis *Programu kontroli jakości w diagnostyce ostrej białaczki u dzieci***

**Cele ogólne Programu:**

Poprawa wyników leczenia dzieci z ostrymi białaczkami.

**Cele szczegółowe Programu:**

1. Zastosowanie bardziej intensywnego leczenia u dzieci z cechami rokującymi niekorzystnie.
2. Zredukowanie intensywności chemioterapii u pacjentów, u których z dużą wiarygodnością można wykluczyć obecność cech rokujących niekorzystnie.
3. Zmniejszenie toksyczności i późnych następstw leczenia oraz obniżenie kosztów leczenia poprzez dostosowanie intensywności leczenia do indywidualnej oceny pacjentów.

**Opis Programu:**

W Polsce rozpoznaje się białaczkę u ok. 260 dzieci rocznie, w tym ok. 210 przypadkach stwierdzana jest ostra białaczka limfoblastyczna (ALL), natomiast rozpoznanie ostrej białaczki szpikowej (AML) stawiane jest u 50-60 dzieci rocznie.

Do 1983 r. w naszym kraju stosowano różne sposoby leczenia AML i uzyskiwano mniej niż 10% wyleczeń. Wprowadzone później, kolejno modyfikowane programy terapeutyczne, oparte na doświadczeniach Grupy BFM pozwoliły na poprawę wyników – do prawie 50% wyleczeń. W celu uzyskania dalszej poprawy wyników terapii AML u dzieci, wprowadzono oryginalny program Grupy BFM: AML-BFM Interim 2004, uwzględniający bardziej precyzyjną stratyfikację do grup ryzyka, z wykorzystaniem badań cytogenetycznych i molekularnych. Dla oceny skuteczności leczenia wykorzystuje się czułe techniki molekularne w celu oznaczenia poziomu charakterystycznych dla danego typu AML molekularnych markerów. W ciągu ostatnich 10 lat liczne badania dowiodły, że detekcja nawet niewielkiej liczby komórek nowotworowych (MRD) znamiennie koreluje z wynikami terapii w wielu złośliwych chorobach krwi. W poszczególnych podtypach tych chorób, ocena MRD jest ważna dla podejmowania decyzji terapeutycznych.

Realizacja zadania ukierunkowana jest na kontrolę jakości w diagnostyce ostrej białaczki u dzieci. Jego celem jest poprawa wyników leczenia dzieci z ostrymi białaczkami, poprzez zastosowanie bardziej intensywnego leczenia u dzieci z cechami niekorzystnymi rokowniczo oraz przez zredukowanie intensywności chemioterapii u dzieci, u których z dużą wiarygodnością można wykluczyć obecność cech niekorzystnych rokowniczo.

Dla osiągnięcia założonych celów, konieczne jest wykorzystanie strategii postępowania opartej na ocenie MRD, oznaczanej równocześnie przy pomocy metody cytofluorometrycznej i technik molekularnych, co daje szansę na zmniejszenie toksyczności i redukcję kosztów leczenia białaczki u dzieci. Równocześnie, prowadzona będzie centralna weryfikacja wyników badań cytomorfologicznych krwi obwodowej i szpiku oraz badań cytogenetycznych komórek białaczkowych u każdego pacjenta. Wyniki będą omawiane na wspólnych posiedzeniach diagnostów ze wszystkich ośrodków wykonujących te badania.

**Działania do realizacji:**

1. Monitorowanie minimalnej choroby resztkowej metodą molekularną w AML. U każdego pacjenta wykonanie wstępnego genotypowania komórek szpiku pobranych przy rozpoznaniu choroby (konieczność znalezienia markerów genetycznych) oraz kolejnych analiz oceny MRD w odpowiednich punktach czasowych dla AML wskazanych programem AML-BFM 12 lub AML-BFM-19 (5-6 punktów czasowych dla jednego pacjenta).
2. Monitorowanie minimalnej choroby resztkowej w ostrej białaczce limfoblastycznej metodą cytofluorometryczną (przy pomocy cytometrii przepływowej) u wszystkich pacjentów, w oparciu o próbki szpiku pobrane przy rozpoznaniu choroby (konieczność znalezienia markerów immunologicznych) oraz w dobie 15 i 33. Laboratorium wykonujące badanie dla wszystkich pacjentów z Polski musi posiadać europejski certyfikat jakości oceny choroby resztkowej.

**Populacja badana:**

Dzieci i młodzież do 18 r.ż., u których zdiagnozowano ostrą białaczkę.

**Placówki realizujące program zobowiązane są do przestrzegania następujących zasad:**

informowania biorących udział w projekcie o celach programu,

przekazania klauzuli informacyjnej osobie (opiekunowi prawnemu) biorącej udział w programie (druk klauzuli informacyjnej zgodnie z załącznikiem nr 6 do umowy)