

AKCEPTUJĘ

Elżbieta Katarzyna
Minister Zdrowia

Kata Dnia: 22.06.2017

Minister Zdrowia
PROGRAM POLITYKI ZDROWOTNEJ

**Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne
Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018**

Podstawa prawna: art. 48 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2016 r. poz. 1793, z późn. zm.)

Warszawa, 2017 r.
(wersja zaktualizowana)

I. STRESZCZENIE

1. Skrótowy opis celów i podstawowych elementów Programu

Chorzy na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne stanowią małą liczbowo grupę (~5000 osób – dorosłych i dzieci, oprócz tego znaczny odsetek osób ze skazami krwotocznymi dotąd niezdiagnozowanymi). Ze względu na dużą częstość krwawień ta grupa chorych cechuje się koniecznością częstych porad lekarskich i hospitalizacji, wysokimi kosztami leczenia i rehabilitacji. Dlatego też opieka nad tą stosunkowo niewielką częścią populacji urasta do problemu społecznego. Właściwe leczenie (przetaczanie odpowiedniego koncentratu czynnika krzepnięcia) znacznie zmniejsza odsetek pacjentów, którzy z powodu inwalidztwa narządu ruchu nie mogą pracować i bardzo wcześnie przechodzą na rentę. Zmniejsza się także liczba hospitalizacji oraz kosztownych w tej grupie chorych zabiegów operacyjnych i fizjoterapii. Zmniejsza się również odsetek zgonów wywołanych ciężkimi, samoistnymi i pourazowymi wylewami krwi, np. krwawieniami śródczaszkowymi. Poprawia się zależna od zdrowia jakość życia.

„Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018”, zwany dalej Programem, jest kontynuacją „Narodowego Programu Leczenia Hemofilii na lata 2005 -2011”. Celem Programu jest podniesienie standardów leczenia tej grupy chorych poprzez usprawnienie kompleksowej, wielospecjalistycznej opieki nad nimi oraz optymalizację ich leczenia. Nowy system organizacyjny przewiduje funkcjonowanie ośrodków kompleksowej opieki nad tą grupą pacjentów na dwóch poziomach referencyjnych: pierwszym i drugim. Wymagania dla ośrodków określone zostały w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 22 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego (Dz. U. z 2016 r. poz. 1793, z późn. zm.), załączniku nr 3, części I poz. 21 lit. A i B i załączniku nr 3, części I poz. 32 lit. A i B. Wyspecjalizowanie ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych pierwszego i drugiego poziomu referencyjnego na bazie istniejących ośrodków hematologicznych poprawi możliwości diagnostyki i leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, a w szczególności zapewni bardziej racjonalne stosowanie koncentratów czynników krzepnięcia. Wykaz wojewódzkich koordynatorów ds. leczenia hemofilii dla dzieci stanowi załącznik nr 1, a dla dorosłych stanowi załącznik nr 2. Wykaz wojewódzkich koordynatorów ds. dystrybucji koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny (z regionalnych centrów krwiodawstwa i krwiolecznictwa) stanowi załącznik nr 3. Życie i zdrowie chorych na hemofilię zależy w głównej mierze od dostępu do koncentratów czynników krzepnięcia. Miernikiem zabezpieczenia chorych na hemofilię jest wskaźnik zużycia koncentratu czynnika VIII w przeliczeniu na 1 mieszkańca rocznie. Zgodnie z zaleceniami WHO minimum niezbędne dla ratowania życia to 2 j.m./mieszkańca/rok (źródło danych World Federation of Hemophilia). W Polsce wskaźnik ten wyniósł w 2010 roku 4,7 j.m. przy zaopatrzeniu pacjentów w koncentraty czynników krzepnięcia w ramach dwóch programów, tj. „Narodowego Programu Leczenia Hemofilii na lata 2005-2011” finansowanego z budżetu ministra właściwego do spraw zdrowia oraz terapeutycznego programu zdrowotnego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B” finansowanego z budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia, zwanego dalej NFZ. Program przewiduje stopniowe zwiększanie ilości koncentratów czynników krzepnięcia, co obrazuje Tabela 1. Docelowa wartość wskaźnika zużycia koncentratu

czynnika krzepnięcia VIII w przeliczeniu na 1 mieszkańca Polski to około 6,0 j.m. planowana do osiągnięcia w roku 2018 w ramach realizacji ww. dwóch programów. Ponadto Program odnosi się do treści § 1 pkt 11 rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 21 stycznia 2009 r. w sprawie priorytetów zdrowotnych (Dz. U. Nr 137, poz. 1126), tj. rozwoju opieki długoterminowej, ze szczególnym uwzględnieniem kompensowania utraconej sprawności.

2. Określenie wysokości środków niezbędnych na realizację Programu, w tym środków z budżetu ministra właściwego do spraw zdrowia, w kolejnych latach jego realizacji

Środki niezbędne na realizację Programu w latach 2012-2018 określono na łączną kwotę **2 093 669 495 PLN** (lata 2012-2016 – środki faktycznie przeznaczone na Program).

Plan finansowy na rok	Kwota w PLN	
	Wydatki bieżące (PLN)	Wydatki majątkowe (PLN)
2012	288 623 495 (210 554 000)*	0
2013	242 452 000 (210 556 000)*	0
2014	297 164 000 (247 474 000)*	0
2015	226 389 000 (271 489 000)*	0
2016	376 989 000 (295 506 000)*	0
2017	318 516 000*	0
2018	343 536 000	0

* pierwotnie zaplanowane wydatki

Wysokość środków niezbędnych do realizacji celów Programu została oszacowana na podstawie projektowanej do zakupu ilości koncentratów poszczególnych czynników krzepnięcia na kolejne lata, w oparciu o ceny jednostkowe uzyskane w postępowaniach o udzielenie zamówienia publicznego w roku 2011, oraz kosztów pozostałych zadań.

Zakres zadań oraz wysokość ich finansowania w kolejnych latach realizacji Programu może ulec zmianie, gdyż budżet na programy zdrowotne finansowane z rozdziału 85149 - Programy Polityki Zdrowotnej planowany jest na okres jednego roku. Wobec powyższego zakres zadań i wysokość środków finansowych przewidzianych do wydatkowania w ramach Programu uzależniona jest od decyzji corocznej **Ministra Zdrowia**.

Tab. 1. Ilości koncentratów czynników krzepnięcia oraz desmopresyny w kolejnych latach trwania programu oraz środki niezbędne na ich sfinansowanie. Kalkulacja kosztów opracowana została na podstawie średnich cen zakupu koncentratów czynników krzepnięcia osiągniętych w postępowaniach przetargowych w 2011 r. ⁴

Rodzaj produktu leczniczego	ilość produktów leczniczych						
	Rok 2012 ¹	Rok 2013 ¹	Rok 2014 ¹	Rok 2015 ¹	Rok 2016 ¹	Rok 2017	Rok 2018
koncentrat czynnika VIII (j.m.) [*]	164 500 000	161 500 000	232 300 000	137 000 000	248 000 000	170 000 000	180 000 000
koncentrat rekombinowanego czynnika VIII (j.m.) ^{**} minimum II generacji	1 000 000	900 000	1 750 000	750 000	1 632 000	600 000	700 000
koncentrat czynnika IX (j.m.) [*]	16 898 000	17 999 800	30 498 800	21 900 000	22 999 200	19 000 000	20 000 000
koncentrat rekombinowanego czynnika IX minimum II generacji (j.m.) ^{**}	200 000	120 000	170 000	375 000	265 000	350 000	400 000
koncentrat czynnika VIII zawierający czynnik von Willebranda (j.m.)	7 500 300	10 600 000	17 499 700	13 156 500	16 014 300	13 000 000	15 000 000
koncentrat aktywowanych czynników zespołu protrombiny (aPCC) (j.m.)	13 000 000	11 300 000	20 400 000	21 600 000	25 200 000	18 000 000	20 000 000
koncentrat czynników zespołu protrombiny (PCC) (j.)	474 600	634 600	919 800	319 800	699 600	900 000	1 000 000
koncentrat czynnika VII (j.m.)	727 200	819 600	1 061 400	514 800	654 600	750 000	700 000
koncentrat rekombinowanego czynnika VII a (mg)	16 000	18 280	28 500	23 100	52 000 ⁵	28 000	30 000
koncentrat fibrynogenu (g)	380	350	500	0	0	225	250
koncentrat czynnika XIII (j.m.)	137 000	129 000	158 000	111 000	132 000	140 000	150 000
desmopresyna dożylna amp. po 4 µg	5 000	0	3 000	2 700	800	2 300	2 300
desmopresyna donosowa po 150 µg dawka	0	0	500	398	768	800	1000
Razem wartość w PLN	288 541 390²	242 108 000²	296 820 000³	226 045 000³	376 645 000³	318 200 000	343 200 000

¹ dla realizacji celów szczegółowych, określonych w dziale V, ust. 2, z wyłączeniem celu szczegółowego pkt 1 lit. e), przyjmuje się możliwość stosowania zarówno koncentratów czynników krzepnięcia osoczopochodnych jak i rekombinowanych (jednocześnie i naprzemiennie w ramach jednego roku kalendarzowego oraz w trakcie danego roku kalendarzowego), w zależności od wyników postępowań o udzielenie zamówienia publicznego.

^{**} koncentraty czynników krzepnięcia do realizacji celu szczegółowego określonego w dziale V, ust. 2 pkt 1d), o brzmieniu: do leczenia krwawień koncentratami rekombinowanych czynników krzepnięcia u dzieci, które nie otrzymywały wcześniej preparatów krwiopochodnych, zakwalifikowanych do programu „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B” oraz włączanie nowych dzieci, do leczenia, na tych samych zasadach, niezależnie od ciężkości hemofilii.

W uzasadnionych przypadkach Minister Zdrowia może wyrazić zgodę na wydanie czynnika do leczenia krwawień wśród ogółu chorych na hemofilię B oraz pacjentów chorych na hemofilię A i B uczulonych na osoczopochodne koncentraty czynników krzepnięcia.

¹ Ilości poszczególnych rodzajów produktów leczniczych na lata 2012-2016 zostały zaktualizowane po dokonaniu wszystkich zakupów w danym roku

² Wartość koncentratów czynników krzepnięcia na lata 2012-2013 została zaktualizowana, na podstawie faktycznie uzyskanych cen w postępowaniach przetargowych.

³ Wartość koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny na lata 2014 -2016 została zaktualizowana na podstawie środków przewidzianych w planie finansowym po zmianach.

⁴ Wartość koncentratów czynników krzepnięcia na lata 2012-2016 została zaktualizowana.

⁵ w 2016 roku zakontraktowano 52 000 mg rekombinowanego czynnika VIIa, w tym 15 000 mg dostarczone w styczniu 2017 roku.

3. Spodziewane efekty i korzyści wynikające z potencjalnego wdrożenia Programu, w tym określenie głównych mierzalnych/niemierzalnych korzyści i kosztów

Realizacja Programu przyczyni się do zmniejszenia liczby pacjentów, którzy z powodu wylewów krwotocznych nie mogą się uczyć lub pracować i wcześniej przechodzą na rentę. Zmniejszy się także liczba zgonów, poprawi się zależna od stanu zdrowia jakość życia chorych.

Zapobieganie artropatii hemofilowej (zapobieganie i właściwe leczenie wylewów dostawowych oraz należyta rehabilitacja) zmniejszy zapotrzebowanie na bardzo kosztowne u chorych na hemofilię zabiegi ortopedyczne. Przeprowadzenie koniecznych planowych zabiegów ortopedycznych poprawi sprawność pacjentów z hemofilią.

Program przyczyni się także do bardziej racjonalnej gospodarki koncentratami czynników krzepnięcia a tym samym do racjonalizacji wydatków budżetu państwa.

Sposób prowadzenia leczenia koncentratami czynników krzepnięcia oparty jest na opublikowanych w Acta Haematologica Polonica *Polskich zaleceniach postępowania we wrodzonych skazach krwotocznych na tle niedoboru czynników krzepnięcia* opracowanych przez zespół lekarzy zrzeszonych w Grupie Roboczej ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów.

II. ZDEFINIOWANIE PROBLEMU, OKREŚLENIE POTRZEBY

1. Opis problemu

Hemofilia i inne pokrewne skazy krwotoczne

Istnieją dwa rodzaje hemofilii: hemofilia A — powodowana brakiem lub niedoborem czynnika krzepnięcia VIII, i hemofilia B, której przyczyną jest brak lub niedobór czynnika krzepnięcia IX. Obydwa rodzaje hemofilii dziedziczą się jako cechy recesywne, sprzężone z płcią i mają taki sam obraz kliniczny. Ich różnicowanie jest możliwe tylko za pomocą badań laboratoryjnych. Zależnie od stopnia niedoboru czynnika krzepnięcia hemofilia może mieć przebieg ciężki (czynnik VIII lub IX <1 j.m./dl), umiarkowany (1-5 j.m./dl) lub łagodny (>5 j.m./dl). Pokrewne hemofilii skazy krwotoczne, powodowane wrodzonym niedoborem innych czynników krzepnięcia, dziedziczą się w sposób autosomalny i występują z równą częstością u kobiet i mężczyzn.

Częstość występowania hemofilii w Polsce oceniono na 1 : 12 300 mieszkańców. W Instytucie Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie prowadzony jest od 1991 r. komputerowy rejestr chorych na hemofilię i inne skazy krwotoczne. Do 18 listopada 2015 r. w rejestrze znalazło się 5 233 osób, w tym 2 846 chorych na hemofilię (Tabela 2). Hemofilia A występuje w naszym kraju sześć razy częściej niż hemofilia B. Postać ciężka choroby stanowi 52,5% przypadków hemofilii A i 46,5% przypadków hemofilii B. Głównym objawem ciężkiej hemofilii są powtarzające się samoistne krwawienia śródstawowe. Chorzy doznają około 40 takich krwawień rocznie. Ich następstwem jest zwyrodnienie stawów (artropatia hemofilowa), nierzadko zmuszające chorych do znacznego ograniczenia aktywności

życiowej, rezygnacji z wykonywania zawodu. Bardzo niebezpieczne są samoistne krwawienia do narządów wewnętrznych i jam ciała, np. wylewy krwi śródczaszkowe, krwotoki z przewodu pokarmowego, czy krwiaki zaotrzewnowe, które stanowią bezpośrednie zagrożenie życia. Równie niebezpieczne, i to niezależnie od stopnia ciężkości hemofilii, są wylewy krwi w następstwie urazów. Należy podkreślić, że żaden zabieg chirurgiczny i inwazyjny zabieg diagnostyczny, nie może być bezpiecznie przeprowadzony u osoby z wrodzoną skazą krwotoczną, bez substytucji niedoborowego czynnika krzepnięcia krwi.

Pod względem częstości występowania drugie miejsce po hemofilii A zajmuje w rejestrze choroba von Willebranda (około 71% przypadków stanowi jej łagodna postać — typ 1). Choroba ta uznawana jest obecnie za najczęstszą wrodzoną skazę krwotoczną, występującą w postaci klinicznej jawnej u 125 osób na 1 milion populacji, czyli dwa razy częściej niż hemofilia. Bezobjawowe wrodzone defekty czynnika von Willebranda wykrywano u około 1% ludności. Jest mało prawdopodobne, że w Polsce choroba von Willebranda występuje rzadziej niż w innych krajach europejskich. Należy sądzić, że choroba ta jest w naszym kraju, ze względu na złożoną diagnostykę, rzadko wykrywana.

Wykaz skaz krwotocznych, do leczenia których niezbędne są koncentraty czynników krzepnięcia:

- 1) hemofilia A, w tym powikłana inhibitorem,
- 2) hemofilia B, w tym powikłana inhibitorem,
- 3) nabyta hemofilia A i inne immunokoagulopatie,
- 4) choroba von Willebranda,
- 5) nabyty zespół von Willebranda,
- 6) niedobór czynnika VII,
- 7) niedobór czynnika X,
- 8) niedobór czynnika V,
- 9) niedobór czynnika XI,
- 10) niedobór czynnika XIII,
- 11) hypofibrynogenemia,
- 12) inne rzadko występujące niedobory (np. niedobór protrombiny, dysfibrynogenemie, skojarzony niedobór czynników krzepnięcia),
- 13) wrodzone płytkowe skazy krwotoczne.

Leczenie

Leczenie ciężkiej postaci hemofilii A, ciężkiej postaci choroby von Willebranda oraz wszystkich chorych na hemofilię B lub inną skazę krwotoczną na tle zaburzeń krzepnięcia krwi polega na substytucji niedoborowego czynnika. Dostarcza się go choremu we wstrzykiwanych dożylnie koncentratkach czynników krzepnięcia uzyskiwanych z ludzkiego osocza lub metodą inżynierii genetycznej. Stosowanie koncentratów izolowanych z osocza na skalę przemysłową (zwykle z puli osocza od wielu tysięcy dawców) stwarzało do 1985 r. duże ryzyko zakażenia wirusami przenoszonymi z krwi w tym HIV. Od kilkunastu lat wszystkie handlowe koncentraty czynników krzepnięcia poddawane są odpowiednim procedurom immunologicznej, fizycznej lub chemicznej inaktywacji/eliminacji, które praktycznie

wykluczają możliwość zakażenia biorcy wirusem HIV, wirusami zapalenia wątroby typu B i zapalenia wątroby typu C. Metody te nie są jednak skuteczne w stosunku do parwowirusa B19, niewyjaśniona jest sprawa przeniesienia choroby Creutzfelda-Jakoba. Obecnie wprowadzane są na świecie metody inaktywacji czynników chorobotwórczych w świeżo mrożonym osoczu i krioprecypitacie. Od roku 2012 w Polsce, całe świeżo mrożone osocze i krioprecypitat, przeznaczone do użytku klinicznego, może być poddane procesowi inaktywacji, albowiem centra krwiodawstwa i krwiolecznictwa zostały wyposażone w odpowiedni sprzęt, a metoda została zwalidowana. W dalszym ciągu obowiązkowe jest w Polsce badanie markerów wirusów przenoszonych drogą krwi (HBV, HCV, HIV) metodami serologicznymi i molekularnymi oraz badanie markerów zakażenia kiłą i odsunięcie od oddawania krwi zakażonych dawców. Nadal także prowadzona jest karencja świeżo mrożonego osocza.

Od początku lat 90. XX wieku w leczeniu hemofilii wykorzystywane są koncentraty rekombinowanych czynników krzepnięcia krwi, ze stosowaniem których, praktycznie nie wiąże się ryzyko przeniesienia cząstek zakaźnych.

Desmopresyna jest syntetycznym analogiem argininowazopresyny i jest stosowana w leczeniu krwawień i przeprowadzania małych zabiegów operacyjnych u pacjentów z łagodną hemofilią A (VIII: C > 5% normy), a także do zapobiegania i leczenia krwawień w chorobie von Willebranda (typ 1, typ 2N, niektóre postaci typu 2A), szczególnie w zapobieganiu nadmiernym krwawieniom miesięczkowym u kobiet.

Stosowanie desmopresyny zmniejsza zapotrzebowanie na toczenie koncentratów czynników krzepnięcia. U kobiet z chorobą von Willebranda zapobiegnie rozwojowi niedokrwistości z niedoboru żelaza.

Desmopresyna w formie aerozolu donosowego jest lekiem z wyboru u ww. chorych, gdyż eliminuje konieczność udania się do szpitala w celu wykonania infuzji drogą pozajelitową, zmniejsza odsetek pacjentów pobierających świadczenia wynikające z niezdolności do pracy, a także poprawia jakość życia. 1 fiolka aerozolu donosowego (2,5 ml) zawiera 25 dawek desmopresyny po 150 µg. Dawka dzienna dla pacjentów o m.c. <50 kg to 150 µg, a dla pacjentów o m.c. >50 kg to 300 µg co 24 - 48 godz. albo 2 godz. przed operacją. Ampułki są natomiast po 4 µg, a dawka dzienna to 0,3 µg /kg (średnio 5 ampulek u dorosłych). Dlatego 1 fiolka aerozolu donosowego zastępuje kilkadziesiąt ampulek. Ampułki w zmniejszonej dawce będą przeznaczone dla małych dzieci, dla osób z przeciwwskazaniami do stosowania desmopresyny drogą donosową lub dla osób, u których wystąpią miejscowe powikłania stosowania tego leku.

Mechanizm działania desmopresyny polega na uwalnianiu obu czynników z rezerw tkankowych, tj. vWF ze śródbłonna naczyńowego, a czynnika VIII prawdopodobnie z komórek śródbłonna sinusoidów wątroby. Stosując desmopresynę co 12-24 h można utrzymać zwiększoną aktywność vWF i cz. VIII przez kilka dni. Ponieważ desmopresyna uwalnia ze śródbłonna naczyń także tkankowy aktywator plazminogenu, najczęściej niezbędne jest równoczesne stosowanie leków hamujących fibrynolizę, np. kwasu traneksamowego.

Stosowanie desmopresyny jest skuteczne w 80% przypadków vWD typu 1 oraz typu 2N, a może być korzystne w części przypadków typu 2A. Desmopresyna jest nieskuteczna

w ciężkiej i większości przypadków umiarkowanej choroby von Willebranda i hemofilii A, gdyż rezerwy tkankowe cz. VIII i vWF u pacjentów obarczonych tymi postaciami obu skaz krwotocznych są ubogie. Desmopresyna jest przeciwwskazana w typie 2B vWD, gdyż może nasilić małopłytkowość występującą w tej postaci skazy. Zaleca się dużą ostrożność w stosowaniu desmopresyny u osób powyżej 60 rż. W piśmiennictwie opisano kilka przypadków wystąpienia powikłań zakrzepowych i zaostrzenia choroby niedokrwiennej serca podczas leczenia desmopresyną. Nie zaleca się stosowania desmopresyny u dzieci poniżej 2 rż. Nie ma przeciwwskazań do stosowania desmopresyny w okresie ciąży.

2. Przyczyny istnienia problemu

Największym problemem w leczeniu chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne są wysokie koszty koncentratów czynników krzepnięcia. Stanowią one około 90% ogólnych kosztów leczenia tej grupy pacjentów. Chory na ciężką postać hemofilii w ciągu roku doznaje około 40 epizodów krwawień (zwykle wylewów krwi do stawów) wymagających leczenia. Do osłony hemostatycznej dużego zabiegu chirurgicznego (np. usunięcie wyrostka robaczkowego) u dorosłego chorego na hemofilię potrzeba około 50 000 — 70 000 jednostek międzynarodowych koncentratu czynnika krzepnięcia.

Koszt ten jest kilkakrotnie większy w przypadku hemofilii A lub hemofilii B powikłanych obecnością inhibitora (alloprzeciwciał przeciw czynnikowi VIII lub IX). Inhibitor czynnika krzepnięcia VIII powstaje u 15 - 30% chorych na ciężką postać hemofilii A i u 1 - 4 % chorych na ciężką postać hemofilii B. Pojawienie się inhibitora czynnika VIII lub czynnika IX w następstwie leczenia chorego na hemofilię A lub B preparatami koncentratów czynnika VIII / IX jest poważnym powikłaniem choroby.

W obecności inhibitora krwawienia na ogół nie poddają się leczeniu substytucyjnemu. Tym samym w leczeniu hemofilii powikłanej inhibitorem celem nadrzędnym jest trwała eliminacja inhibitora, a celem doraźnym hamowanie krwawień. Eliminację inhibitora uzyskujemy przez regularne podawanie preparatów brakującego czynnika krzepnięcia, co ma doprowadzić do zniszczenia inhibitora z krwi chorego. Metoda ta zwana jest immunotoleracją (ITI - ang. immune tolerance induction). Realizacja drugiego celu, którym jest hamowanie krwawień zależy zarówno od miana inhibitora jak i od rodzaju odpowiedzi i stopnia krwawienia. W leczeniu tym stosowane są koncentraty indukujące generację trombiny w osoczu chorych na hemofilię powikłaną inhibitorem, co zapewnia hemostazę pomimo obecności inhibitora czynnika krzepnięcia VIII lub IX. Z uwagi na mechanizm działania, preparaty te nazywane są koncentratami omijającymi inhibitor. W razie niepowodzenia ITI coraz częściej wprowadzamy regularną profilaktykę koncentratami omijającymi aktywność inhibitora wobec czynnika VIII, co wg piśmiennictwa światowego zmniejsza częstość występowania krwawień nawet o 85 % i poprawia jakość życia pacjentów z ciężką postacią hemofilii powikłaną inhibitorem.

Kolejny problem w leczeniu pacjentów z niedoborami czynników krzepnięcia krwi, to konieczność zapewnienia szybkiego i stałego dostępu do koncentratów czynników krzepnięcia. Im szybciej zostanie wstrzyknięty odpowiedni koncentrat, tym szybciej zostanie zahamowane krwawienie.

Bardzo często, szybkie wstrzyknięcie koncentratu niedoborowego czynnika krzepnięcia ma decydujące znaczenie dla uratowania życia chorego. Niezbędna jest w związku z tym właściwa organizacja leczenia tej grupy chorych, na którą powinna składać się sieć wyspecjalizowanych poradni

oraz klinik bądź oddziałów szpitalnych na bazie ośrodków hematologicznych, gdzie chorzy mogliby się zgłaszać w razie potrzeby.

W miejscach tych pacjenci powinni otrzymywać także koncentraty czynników krzepnięcia do domu (leczenie w warunkach domowych).

Ponieważ znajomość zagadnień związanych z wrodzonymi zaburzeniami krzepnięcia krwi wśród większości lekarzy i innego personelu medycznego nie jest wystarczająca, co wpływa niejednokrotnie na nieprawidłowe postępowanie terapeutyczne, zaproponowane w Programie szkolenia personelu medycznego zarówno lekarzy, pielęgniarek, diagnostów laboratoryjnych jak i ratowników medycznych znajdują uzasadnienie.

3. Waga problemu dla społeczeństwa

Chorzy na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne stanowią małą liczbowo grupę i są niewielką częścią ogólnej populacji. Jeżeli jednak weźmie się pod uwagę konieczność częstych przyjęć tych chorych do szpitali, bardzo wysokie koszty ich leczenia i trudności w rehabilitacji, to zagadnienie dotyczące stosunkowo niewielkiej grupy osób urasta do problemu społecznego. Życie i zdrowie chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne zależy w głównej mierze od dostępu do koncentratów czynników krzepnięcia. Miernikiem zabezpieczenia chorych na hemofilię, jak to wskazano powyżej, jest wskaźnik zużycia czynnika VIII w przeliczeniu na 1 mieszkańca rocznie. Przy odpowiednim poziomie zaopatrzenia można zapewnić: leczenie w warunkach domowych, przeprowadzenie większości planowych zabiegów chirurgicznych, długo- i krótkoterminową profilaktykę, immunotolerancję w przypadku wystąpienia inhibitora niedoborowego czynnika krzepnięcia. Dużym osiągnięciem było wdrożenie w Polsce w 2008 r. profilaktyki krwawień u dzieci w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego pn. „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”, finansowanego z budżetu NFZ, dzięki któremu zredukowana w przyszłości zostanie liczba niezwykle kosztownych, ortopedycznych zabiegów naprawczych (wszczepianie endoprotez), jakie przeprowadza się u dorosłych z zaawansowaną artropatią hemofilową. Co więcej, wyprowadzenie profilaktyki krwawień u dzieci znacznie zmniejszy odsetek pacjentów, którzy z powodu inwalidztwa narządu ruchu nie mogą pracować i bardzo wcześnie przechodzą na rentę. Zmniejszy się także liczba hospitalizacji i kosztownych w tej grupie chorych zabiegów kinezyterapii. Wreszcie zmniejszy się odsetek zgonów wywołanych ciężkimi, samoistnymi i pourazowymi wylewami krwi, np. krwawieniami śródczaszkowymi.

4. Dotychczasowe próby rozwiązania problemu

W 2001 r. powstał po raz pierwszy „Program zaopatrzenia chorych na hemofilię i inne skazy krwotoczne w czynniki krzepnięcia”, finansowany z budżetu ministra właściwego do spraw zdrowia, w którym m.in. przedstawiono propozycję organizacji leczenia tej grupy pacjentów w Polsce, polegającą na wyodrębnieniu dwóch ośrodków referencyjnych leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych (dla dorosłych i dla dzieci) zlokalizowanych w Warszawie oraz regionalnych ośrodków leczenia hemofilii, obecnych w każdym województwie (co najmniej jeden dla dzieci i jeden dla dorosłych). Wszystkie ośrodki powinny być dostępne dla chorego przez 24 h/dobę. Do dziś jedynie w dwóch ośrodkach referencyjnych zlokalizowanych w Warszawie udało się zapewnić opiekę chorym na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne na optymalnym poziomie.

Obecny Program stanowi kontynuację idei i części zadań dotychczas realizowanego programu zdrowotnego dedykowanego tej grupie chorych funkcjonującego pn.: „Narodowy Program Leczenia Hemofilii na lata 2005-2011”, który w roku 2005 zastąpił „Program zaopatrzenia chorych na hemofilię i inne skazy krwotoczne w czynniki krzepnięcia”.

5. Przedstawienie trudności w uzyskaniu świadczeń

Najpoważniejszym problemem w uzyskaniu świadczeń zdrowotnych przez grupę pacjentów ze skazami krwotocznymi pozostaje wciąż niedostateczne zaopatrzenie w koncentraty czynników krzepnięcia oraz brak dostatecznej liczby wyspecjalizowanych ośrodków zapewniających kompleksową opiekę tej grupie chorych. Aktualny poziom zaopatrzenia w koncentrat czynnika krzepnięcia VIII na poziomie 4,7 j.m. na 1 mieszkańca kraju nadal nie pozwala na prowadzenie terapii ITI u wszystkich pacjentów wymagających tego rodzaju leczenia a także na stosowanie wtórnej profilaktyki dorosłych chorych na hemofilię o ciężkim przebiegu.

Aby ośrodki hematologiczne były zainteresowane wyspecjalizowaniem w kierunku zapewnienia kompleksowej opieki w zakresie leczenia chorych z hemofilią i innymi pokrewnymi skazami krwotocznymi, niezbędne jest dokonanie zmian w systemie prawnym. Zasadność zainicjowania wskazanych zmian, podyktowana jest kosztami leczenia niektórych jednostek chorobowych, ponoszonych przez specjalistyczne ośrodki hematologiczne. I tak np. chory na hemofilię A powikłaną inhibitorem z rozległym krwiakiem zaotrzewnowym i złamaniem kończyny dolnej z przemieszczeniem wymaga bezwzględnie hospitalizacji w ośrodku o najwyższym stopniu referencyjności, ponieważ konieczne jest wykonanie specjalistycznych kosztownych badań diagnostycznych, zastosowanie drogich preparatów i przeprowadzenie leczenia przy współpracy specjalistów z różnych dziedzin medycyny. Właściwa terapia takiego chorego w ośrodku specjalistycznym jest wysoce kosztochłonna. Program określa warunki dla dwóch poziomów ośrodków leczenia: pierwszego i drugiego poziomu referencyjnego. Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 22 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego reguluje warunki i wymagania dla realizacji leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych w dwóch poziomach referencyjności.

Nadto wskazane byłoby obowiązkowe zgłaszanie przez ośrodki leczące wszystkich nowo wykrytych przypadków skaz krwotocznych, jak również informacji o zgonach chorych na skazy krwotoczne do ewidencji chorych na hemofilię i inne wrodzone skazy krwotoczne prowadzonej przez realizatorów Programu w formie aplikacji komputerowej, która będzie gromadziła i udostępniała dane upoważnionym osobom i podmiotom, w czasie rzeczywistym za pośrednictwem portalu internetowego. Z tego względu, w dłuższej perspektywie czasowej, zasadne są również zmiany organizacyjne.

III. UZASADNIENIE

1. Dlaczego realizacja Programu powinna zostać sfinansowana przez ministra właściwego do spraw zdrowia

Zgodnie z zaleceniami Światowej Organizacji Zdrowia i Światowej Federacji Hemofilii (WHO/WFH Recommendations, June 1997; *Haemophilia* 1998, suppl. 2, s. 64-66), odpowiedzialność

za narodowy system opieki nad chorymi na hemofilię powinna spoczywać na władzach danego kraju. Podobnie jak w innych państwach, w Polsce koncentraty czynników krzepnięcia dla chorych na hemofilię i inne pokrewne skazy krwotoczne są finansowane ze środków publicznych. Należy podkreślić, że koncentraty czynników krzepnięcia nie mogą być traktowane na równi z innymi lekami.

W 2008 roku w czasopiśmie *Haemophilia* (*Haemophilia*, 2008, suppl. 14, s. 361-674) zostały opublikowane „*European Principles of Haemophilia Care*”, które 27 stycznia 2009 roku przyjął Parlament Europejski.

Zgodnie z przyjętymi wytycznymi w każdym państwie członkowskim powinna istnieć organizacja pełniąca nadzór nad funkcjonowaniem specjalistycznych ośrodków opieki, udzielających całego spektrum świadczeń klinicznych i laboratoryjnych. Zależnie od liczebności i rozmieszczenia geograficznego danej populacji dodatkowo może być konieczne zorganizowanie sieci mniejszych ośrodków leczenia hemofilii. Powinno też istnieć zaplecze organizacyjne w celu dostarczania bezpiecznych koncentratów czynników krzepnięcia, które można stosować w leczeniu domowym i programach profilaktycznych.

Dziesięć przyjętych wytycznych to:

1. Centralna organizacja opieki nad chorymi na hemofilię i lokalne ośrodki wspierające jej działania

W każdym kraju powinna funkcjonować centralna organizacja na rzecz opieki nad chorymi na hemofilię wspierająca ośrodki działające lokalnie. Organizacje te powinny odpowiadać za skrupulatne prowadzenie dokumentacji i skuteczne sprawowanie opieki nad chorymi na hemofilię. Takie rozwiązanie służyłoby ponadto ułatwieniu wymiany informacji na temat optymalnych sposobów postępowania oraz koordynacji badań naukowych.

2. Krajowe rejestry chorych na hemofilię

W każdym kraju powinien być prowadzony rejestr pacjentów administrowany przez centralną organizację opieki nad chorymi na hemofilię. Dane z rejestru można wykorzystać do ułatwiania planowania i alokacji zasobów. Dane te mogą także dostarczać dokładnych informacji na temat liczby pacjentów, przepisywanych leków, rozmieszczenia geograficznego i zdarzeń niepożądanych. Wszystkie rejestry powinno się prowadzić z zachowaniem poufności danych, zgodnie z obowiązującymi przepisami oraz przyjętymi w danym kraju zasadami etycznymi.

3. Ośrodki opieki kompleksowej i ośrodki leczenia hemofilii

Powinno się utworzyć ośrodki opieki kompleksowej i ośrodki leczenia hemofilii zapewniające chorym na hemofilię dostęp do wszystkich lekarzy specjalistów i odpowiednich badań laboratoryjnych.

4. Równorzędna współpraca w zakresie świadczenia opieki nad chorymi na hemofilię

W podejmowaniu decyzji dotyczących opieki nad chorymi na hemofilię na szczeblu krajowym i/lub regionalnym powinni uczestniczyć klinicyści i przedstawiciele pacjentów w równorzędnej współpracy z resortami odpowiedzialnymi za sprawy zdrowia i kwestie socjalne oraz organizacjami świadczącymi opiekę nad osobami z hemofilią w ramach sformalizowanych mechanizmów w rodzaju Krajowej Grupy Koordynacyjnej ds. Hemofilii.

5. Bezpieczne i skuteczne koncentraty czynników krzepnięcia w optymalnych dawkach

Chorym na hemofilię należy zapewnić dostęp do bezpiecznych i skutecznych terapii stosowanych w sposób optymalny, ponieważ służy to poprawie ich zdrowia fizycznego, długości i jakości życia oraz ograniczeniu negatywnego wpływu omawianej skazy krwotocznej na pacjenta i jego rodzinę w wymiarach psychospołecznym i ekonomicznym. Ponadto zmniejsza skalę długofalowego wsparcia udzielanego z zasobów ochrony zdrowia.

6. Leczenie w warunkach domowych i dostawa koncentratów czynników krzepnięcia do domu

W każdym kraju pacjentom z hemofilią trzeba umożliwić prowadzenie leczenia w domu oraz organizowanie dostaw koncentratów czynników krzepnięcia do domu, co pozwoli na natychmiastową i skuteczną terapię. Spełnienie tej zasady będzie sprzyjać zmniejszeniu liczby wizyt w szpitalu, zapobieganiu krótko- i długookresowej niesprawności i prowadzeniu przez dzieci i dorosłych z hemofilią w miarę normalnego życia.

7. Leczenie profilaktyczne (zapobiegawcze)

Osoby z hemofilią powinny mieć dostęp do leczenia profilaktycznego, ponieważ zapobiega ono rozwojowi przewlekłej artropatii lub zmniejsza jej nasilenie. Profilaktyka służy ponadto promocji zdrowia i dobrego samopoczucia społecznego oraz ogranicza obciążenie chorobą.

8. Świadczenia specjalistyczne i pomoc doraźna

Opieka nad chorym na hemofilię wymaga koordynacji działań wielu dostawców usług medycznych w celu zaspokojenia konkretnych potrzeb tych chorych. W sytuacjach krytycznych pacjentom z hemofilią trzeba, dla ich własnego bezpieczeństwa, zapewnić natychmiastowy dostęp do leczenia oraz specjalistycznej opieki medycznej, za pośrednictwem szpitalnych oddziałów ratunkowych, oraz wielu lekarzy specjalistów.

9. Postępowanie w przypadku obecności inhibitorów

U części chorych na hemofilię dochodzi do wytworzenia inhibitorów czynników krzepnięcia, które inaktywują przetaczane w ramach leczenia substytucyjnego egzogenne czynniki krzepnięcia. Tacy pacjenci muszą mieć zapewniony natychmiastowy dostęp do optymalnych metod leczenia. W stosownych przypadkach klinicyści dysponujący odpowiednią wiedzą i doświadczeniem, w szpitalach z odpowiednim zapleczem klinicznym i laboratoryjnym, powinni prowadzić leczenie indukujące tolerancję immunologiczną oraz terapię skutków krwawień

10. Kształcenie lekarzy i badania naukowe

Rekrutacja i kształcenie lekarzy w dziedzinie chorób zakrzepowych i zaburzeń hemostazy to ważne zadanie na przyszłość, które pozwoli zabezpieczyć wysoką jakość opieki medycznej. Konieczne jest prowadzenie dalszych badań naukowych nad hemofilią, z przyjęciem za priorytetowe: badań nad preparatami czynników VIII i IX o dłuższych okresach półtrwania i zmniejszonej immunogenności, badań nad nowymi technikami podawania koncentratów czynników krzepnięcia, badań zmierzających do pogłębienia dotychczasowej wiedzy na temat inhibitorów oraz zapobiegania ich pojawianiu się, a także badań nad terapią genową. Istnieje potrzeba prowadzenia badań naukowych zmierzających

do dalszej poprawy poziomu opieki nad chorym i jego rodziną, w tym badania różnorodnych modeli świadczenia usług medycznych w obrębie tej grupy chorych oraz parametrów do oceny wyników leczenia i jakości życia pacjentów z hemofilią.

2. Zdefiniowanie potrzeby społecznej, której zaspokojeniu ma służyć realizacja Programu

Liczbę osób ze zdiagnozowaną skazą krwotoczną w Polsce oraz liczbę chorych leczonych dotychczas w ramach programu finansowanego z budżetu ministra właściwego do spraw zdrowia obrazują przedstawione poniżej tabele.

Postęp medycyny, który dokonał się na przestrzeni ostatnich kilkudziesięciu lat, skutkuje m.in. tym, że populacje krajów rozwiniętych a także rozwijających się żyją teraz dłużej i cieszą się lepszym zdrowiem. W większości krajów odsetek osób powyżej 60 roku życia rośnie szybciej niż w przypadku innych grup wiekowych; w rezultacie wzrasta średnia długość życia, a zmniejsza się przyrost naturalny. W 2006 r. na świecie było pół miliarda osób powyżej 65 roku życia. Przewiduje się, że do 2030 r. ta liczba się podwoi.

Ta tendencja dotyczy też osób ze skazami krwotocznymi – wielu chorych na hemofilię wchodzi obecnie w zaawansowany wiek. Postępy w leczeniu hemofilii rozpoczęte w latach pięćdziesiątych przyczyniły się do wydłużenia średniej długości życia i do poprawy jakości życia. Wcześniejsze pokolenia chorych na hemofilię A lub B umierały przedwcześnie wskutek komplikacji związanych z wylewami i krwotokami, ponieważ nie było jeszcze koncentratów czynników krzepnięcia; później pojawiły się też komplikacje związane z zakażeniem HIV i HCV. Aktualne standardy terapii chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne a także poziom i rozwój metod diagnostyki tej jednostki chorobowej pozwala wnioskować, iż corocznie coraz więcej osób będzie wymagało włączenia do Programu.

Chociaż długość życia chorych na ciężką postać hemofilii nadal jest mniejsza niż zdrowych osób, to jednak coraz bardziej zbliża się do średniej wartości dla ogółu mężczyzn.

Tabela 2. Liczba osób ze zdiagnozowaną skazą krwotoczną w Polsce (dorosłych i dzieci)

Rodzaj skazy	Liczba chorych
Hemofilia A:	2385
ciężka	1102
powikłana inhibitorem	150
umiarkowana	339
łagodna	794
Hemofilia B	417
ciężka	190
powikłana inhibitorem	4
umiarkowana	89
łagodna	134
Nabyta hemofilia	44
Choroba von Willebranda	1670
typ 1	1192
typ 2	318
typ 3	160
Niedobór czynnika V	26
Niedobór czynnika VII	244
Niedobór czynnika X	23
Niedobór czynnika XI	60
Niedobór czynnika XIII	10
Hypo-, dys- i afibrynogenemia	93
Inne rzadko występujące niedobory (np. protrombiny, skojarzony niedobór czynników krzepnięcia, immunokoagulopatie)	37
Wrodzone płytkowe skazy krwotoczne	224
RAZEM	5233

Źródło: dane Instytutu Hematologii i Transfuzjologii aktualne na 18.11.2015 r.

Tabela 3. Liczba pacjentów (dorosłych i dzieci) przyjmujących koncentraty czynników krzepnięcia w ramach "Narodowego Programu Leczenia Hemofilii na lata 2005 - 2011" od 01.01. do 31.12.2009 r.

Lp.	Realizator programu	Hemofilia A	Hemofilia A powikłana inhibitorem	Hemofilia B	Hemofilia B powikłana inhibitorem	Choroba von Willebranda	Inne skazy krwotoczne
1.	RCKiK Białystok	38	1	6	0	5	1
2.	RCKiK Bydgoszcz	80	1	13	0	17	2
3.	RCKiK Gdańsk	65	12	14	1	8	3
4.	RCKiK Katowice	162	12	30	1	24	10
5.	RCKiK Kielce	44	4	1	0	1	1
6.	RCKiK Kraków	130	12	14	0	34	9
7.	RCKiK Lublin	94	6	15	0	15	1
8.	RCKiK Łódź	77	7	11	1	18	1
9.	RCKiK Olsztyn	51	3	7	0	4	1
10.	RCKiK Opole	26	1	7	0	2	0
11.	RCKiK Poznań	131	16	25	0	16	5
12.	RCKiK Rzeszów	83	4	10	0	9	0
13.	RCKiK Szczecin	51	6	14	1	5	1
14.	RCKiK Warszawa	114	1	19	0	18	1
15.	RCKiK Wrocław	109	4	15	0	21	4
16.	RCKiK Zielona Góra	28	5	5	0	2	0
17.	IHiT w Warszawie	229	51	40	2	32	63*
RAZEM		1 512	146	246	6	231	103
RAZEM		1 658		252			
RAZEM		2 244					

* w tym 5 pacjentów z hemofilią nabytą

Źródło: dane Narodowego Centrum Krwi

program polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia
Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018

Tabela 4. Liczba pacjentów (dorosłych i dzieci) przyjmujących koncentraty czynników krzepnięcia w ramach "Narodowego Programu Leczenia Hemofilii na lata 2005 - 2011" od 01.01.do 31.12.2010

Lp.	Realizator programu	Hemofilia A	Hemofilia A powikłana inhibitorem*	Hemofilia B	Hemofilia B powikłana inhibitorem	Choroba von Willebranda	Inne skazy krwotoczne
1.	RCKiK Białystok	39	1	6	0	8	2
2.	RCKiK Bydgoszcz	78	2	13	0	13	0
3.	RCKiK Gdańsk	78	10	16	1	11	2
4.	RCKiK Katowice	182	14	30	2	25	9
5.	RCKiK Kielce	47	5	0	0	2	1
6.	RCKiK Kraków	155	16+1	14	0	42	8
7.	RCKiK Lublin	111	9+2	17	0	12	1
8.	RCKiK Łódź	75	7	13	1	11	1
9.	RCKiK Olsztyn	55	4+1	10	0	1	2
10.	RCKiK Opole	33	1	8	0	1	0
11.	RCKiK Poznań	145	8+4	31	0	16	9
12.	RCKiK Rzeszów	87	3	17	0	8	2
13.	RCKiK Szczecin	47	18+1	13	5	2	0
14.	RCKiK Warszawa	114	0	24	0	17	3
15.	RCKiK Wrocław	122	2+3	18	0	23	1
16.	RCKiK Zielona Góra	52	4	4	0	2	0
17.	IHiT w Warszawie	245	47+8	45	1	49	70
RAZEM		1665	171	279	10	243	111
RAZEM		1836		289			
RAZEM		2479					

* w tym 20 pacjentów z hemofilią nabytą i inhibitorem

Źródło: dane Narodowego Centrum Krwi

Opierając się na przedstawionych danych, przy uwzględnieniu dokonującego się na bieżąco postępu medycyny skutkującego coraz dłuższym czasem przeżycia, lepszymi metodami diagnostycznymi oraz ich skutecznością, należy przypuszczać, że rokrocznie liczba chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, szczególnie te, których aktualny stan niedoszacowania jest wysoki, wymagających korzystania z koncentratów czynników krzepnięcia oraz, a może przede

wszystkim, desmopresyny (łagodna postać hemofilii A i choroby von Willebranda) finansowanych w ramach przedmiotowego Programu będzie wzrastać.

3. Efektywność ekonomiczna

Hemofilia i pokrewne skazy krwotoczne to choroby dotykające nie tylko pacjenta, ale także całą jego rodzinę. Stąd niezbędne jest zapewnienie leczenia, opieki medycznej oraz psychologicznej pacjentowi i jego rodzinie, mając na względzie, że skazy krwotoczne są nieuleczalne, a świadczenia muszą być udzielane przez całe życie pacjenta.

Skazy krwotoczne powodują ból i kalectwo oraz wymagają dla leczenia dużych ilości koncentratów czynników krzepnięcia. Pacjenci chorzy na skazy krwotoczne uzyskując dostęp do leczenia specjalistycznego poprzez dwustopniową sieć wyspecjalizowanych szpitali i klinik (ośrodków leczenia hemofilii pierwszego lub drugiego poziomu referencyjnego) uzyskują opiekę medyczną i leczenie sprawowane w sposób, który zminimalizuje ból i kalectwo.

Zastosowanie profilaktyki wtórnej u pacjentów z ciężkim przebiegiem skazy krwotocznej zmniejszy cierpienie chorym, zmniejszy też zużycie koncentratów czynników krzepnięcia. Duże, nawracające krwawienia do stawów wymagają stosowania dużych dawek koncentratu czynnika krzepnięcia w długim przedziale czasowym. Przy obecnej, niedostatecznej liczbie wyspecjalizowanych ośrodków, niejednokrotnie pacjent sam decyduje o wysokości dawki i okresie leczenia wylewu, co jest ze szkodą zarówno dla pacjentów jak i płatnika, którym jest minister właściwy do spraw zdrowia.

Profilaktyka wtórna zlecona przez lekarza ośrodka leczenia hemofilii pierwszego lub drugiego poziomu referencyjnego pozwoli w wielu wypadkach, przy zastosowaniu racjonalnych dawek koncentratu czynnika krzepnięcia, nie dopuścić do krwawienia. W konsekwencji pacjent nawet nie przerwie pełnienia swych funkcji życiowych.

Objęcie leczeniem w warunkach domowych wszystkich chorych na hemofilię i pokrewne skazy zmniejsza koszty leczenia w stosunku do leczenia na żądanie, ale przede wszystkim ogranicza cierpienie i w znacznie mniejszym stopniu ogranicza zdolność podejmowania funkcji życiowych.

Objęcie Programem wywołania tolerancji immunologicznej, w perspektywie do roku 2018, wszystkich pacjentów z inhibitorem znacząco zmniejszy liczbę pacjentów wymagających stosowania czynników omijających (rVIIa, aPCC), kilka a nawet kilkanaście razy droższych od koncentratów niedoborowych czynników krzepnięcia.

Wprowadzenie do leczenia desmopresyny dla wskazanej w Programie grupy pacjentów zmniejszy koszty leczenia z uwagi na znacznie niższą cenę leku, w stosunku do ceny stosowanych koncentratów czynników krzepnięcia, eliminując w tej grupie pacjentów konieczność stosowania tych produktów leczniczych. Można szacunkowo ocenić, że do leczenia desmopresyną będzie się kwalifikować w pierwszym roku Programu ~ 200 chorych, co pozwoli zaoszczędzić ~1 mln j.m. koncentratu czynnika krzepnięcia VIII. Nie wszyscy chorzy na łagodną postać choroby von Willebranda doznają krwawień lub są poddawani zabiegom operacyjnym, stanowiącym wskazanie do podawania desmopresyny. Rozpowszechnienie stosowania desmopresyny na terenie całego kraju wymaga

w pierwszym roku realizacji Programu popularyzacji wiedzy o tym leku i przeprowadzenia szkoleń w mniejszych ośrodkach zajmujących się leczeniem chorych na hemofilię i na chorobę von Willebranda. W kolejnych latach liczba chorych leczonych desmopresyną zwiększać się.

Faktyczne zużycie desmopresyny i oszczędności w zużyciu koncentratu czynnika VIII oraz koncentratu czynnika krzepnięcia VIII zawierającego czynnik von Willebranda, będzie można dokładniej określić dopiero po wprowadzeniu tego produktu leczniczego do Programu. W miarę polepszania się diagnostyki skaz krwotocznych, liczba chorych z łagodną hemofilią powinna się zwiększać, gdyż w Polsce odsetek zdiagnozowanej łagodnej hemofilii jest nieproporcjonalnie mały w stosunku do ciężkiej postaci tej choroby (co wynika z niedodiagnozowania postaci łagodnej), zwiększy się także ilość pacjentów z łagodną postacią choroby von Willebranda (też niedodiagnozowaną w Polsce). Zdarza się, że pacjenci z nierozpoznanymi łagodnymi skazami krwotocznymi, które mogą nie dawać odchyłeń w powszechnie wykonywanych "przesiewowych" badaniach krzepnięcia, mają ciężkie, zagrażające nieraz życiu krwotoki pooperacyjne, pourazowe i poporodowe. Leczenie ciężkich krwotoków wymaga dużych nakładów finansowych.

Warto więc łagodne skazy diagnozować, zapobiegać krwawieniom (np. stosując desmopresynę) i w sposób celowany leczyć.

Ponadto, zakłada się, że Program spowoduje:

- 1) podniesienie jakości życia pacjentów zależnej od zdrowia,
- 2) zmniejszenie ryzyka utraty życia,
- 3) zmniejszenie ryzyka powikłań choroby i związanych z nimi kosztów leczenia,
- 4) skrócenie czasu niezdolności do pracy,
- 5) szybsze podjęcie funkcji zawodowych, rodzinnych i społecznych,
- 6) zmniejszenie odsetka pacjentów pobierających świadczenia wynikające z niezdolności do pracy.

Zakłada się, że ww. spodziewane korzyści wynikające z prowadzenia programu będą w dłuższej perspektywie czasowej jego efektami, co biorąc pod uwagę specyfikę choroby, będzie miało bezpośrednie przełożenie na jakość życia chorych (pozytywny efekt zdrowotny).

4. Nowatorstwo zaproponowanych rozwiązań

- 1) wyspecjalizowanie ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych na dwóch poziomach referencyjnych: pierwszym i drugim,
- 2) wprowadzenie profilaktyki wtórnej w leczeniu chorych na hemofilię A i B z inhibitorem,
- 3) ekonomiczna optymalizacja leczenia łagodnej postaci hemofilii A i łagodnej postaci choroby von Willebranda przez wprowadzenie do Programu finansowania zakupu desmopresyny,
- 4) wprowadzenie obowiązku ewidencji chorych na hemofilię i inne wrodzone skazy krwotoczne w formie aplikacji komputerowej, która będzie gromadziła i udostępniała dane upoważnionym osobom i podmiotom, w czasie rzeczywistym za pośrednictwem portalu internetowego,

- 5) rozpoczęcie, w ramach Programu, szkoleń kadry medycznej zaangażowanej w realizację Programu.

5. Wykorzystanie dotychczasowych doświadczeń

Do realizacji Programu wykorzystane zostaną doświadczenia płynące z realizacji dotychczas obowiązującego programu zdrowotnego pn.: „Narodowy Program Leczenia Hemofilii na lata 2005-2011” oraz realizowanego od roku 2008 programu pn. „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”.

6. Wykorzystanie istniejących środków

W trakcie realizacji Programu wykorzystywane będą dane zgromadzone w rejestrach którymi dysponują poszczególne Regionalne Centra Krwiodawstwa i Krwiolecznictwa, zwane dalej RCKiK, oraz Instytut Hematologii i Transfuzjologii, zwany dalej IHiT, jak również rejestru prowadzonego przez realizatorów programu lekowego NFZ pn. „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”.

7. Promowanie współpracy między różnymi instytucjami i organizacjami

W ramach realizacji Programu zasadna jest współpraca pomiędzy Narodowym Centrum Krwi (zwanym dalej NCK), NFZ, RCKiK, ośrodkami leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych pierwszego i drugiego poziomu referencyjnego, konsultantami krajowymi i wojewódzkimi w dziedzinie hematologii, transfuzjologii klinicznej, diagnostyki laboratoryjnej, medycyny ratunkowej, wojewódzkimi koordynatorami ds. leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych u dorosłych i u dzieci, wojewódzkimi koordynatorami ds. dystrybucji, towarzystwami naukowymi oraz organizacjami pozarządowymi działającymi w obszarze hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.

8. Możliwość ponownego wykorzystania Programu w przyszłości lub kontynuowania jego realizacji przez inne jednostki

Specyfika leczenia koncentratami czynników krzepnięcia chorych na hemofilię i inne wrodzone skazy krwotoczne wymaga ciągłości. Zgodnie z obowiązującym prawem pacjent wybiera sam ośrodek, w którym będzie leczony koncentratami czynników krzepnięcia. Zazwyczaj jest to ośrodek zlokalizowany najbliżej miejsca zamieszkania chorego (pierwszego poziomu referencyjnego), w przypadku leczenia w warunkach domowych lub leczenia krwawień o łagodnym lub umiarkowanym przebiegu, natomiast leczenie skomplikowanych wylewów oraz przeprowadzanie zabiegów operacyjnych powinno odbywać się w ośrodkach referencyjnych, zapewniających kompleksową opiekę tej grupie pacjentów. Leczenie substytucyjne koncentratami czynników krzepnięcia jest leczeniem wieloletnim i terapia raz rozpoczęta nie może być przerwana. Przerwy w podawaniu i dostawie koncentratów czynników krzepnięcia stanowią zagrożenie życia i zdrowia pacjentów z hemofilią oraz pokrewnymi skazami krwotocznymi i mogą być traktowane jako błąd w sztuce lekarskiej. Ze względu na migrację pacjentów i możliwe zmiany ośrodka leczącego w trakcie terapii, najkorzystniejsze jest prowadzenie ogólnopolskiego systemu leczenia, co daje możliwość przekazywania koncentratów czynników krzepnięcia „idących za pacjentem”, bez zagrożenia brakiem **produktów leczniczych** lub ich przeterminowania z powodu niewykorzystania przez danego pacjenta.

V. OPIS PROGRAMU

1. Określenie, czy Program stanowi kontynuację z lat ubiegłych

„Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018” stanowi kontynuację części zadań realizowanych w latach 2005-2011 w ramach programu zdrowotnego pn.: „Narodowy Program Leczenia Hemofilii na lata 2005-2011”, w zakresie zakupu koncentratów czynników krzepnięcia.

2. Cele ogólne i szczegółowe

Cele ogólne:

- 1) poprawa wyników leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne,
- 2) poprawa jakości życia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.

Cele szczegółowe:

- 1) zapewnienie powszechnej dostępności koncentratów czynników krzepnięcia chorym na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne niepowikłane krążącym antykoagulantem - inhibitorem:
 - a) do leczenia krwawień, w tym w warunkach domowych, od roku 2012,
 - b) do przeprowadzania zabiegów operacyjnych, od roku 2012,
 - c) na wtórną profilaktykę dorosłych chorych ze skazą krwotoczną o ciężkim przebiegu oraz dzieci z inną niż hemofilia A lub B skazą krwotoczną, od roku 2014,
 - d) do leczenia krwawień koncentratami rekombinowanych czynników krzepnięcia u dzieci, które nie otrzymywały wcześniej preparatów krwiopochodnych, zakwalifikowanych do modułu pierwotnej profilaktyki krwawień czynnikami rekombinowanymi w ramach programu NFZ pn.: „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B” oraz włączanie nowych dzieci, do leczenia, na tych samych zasadach, niezależnie od ciężkości hemofilii, od roku 2012.
- 2) zapewnienie powszechnej dostępności koncentratów czynników krzepnięcia chorym na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne powikłane krążącym antykoagulantem - inhibitorem:
 - a) do leczenia krwawień, w tym w warunkach domowych, od roku 2012,
 - b) do przeprowadzania zabiegów operacyjnych, od roku 2012,
 - c) na wtórną profilaktykę u chorych ze skazą krwotoczną o ciężkim przebiegu od roku 2016,
 - d) do terapii ITI u wszystkich chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne powikłane krążącym antykoagulantem, którzy zostaną wskazani przez zespół kwalifikujący do terapii immunotolerancji, od roku 2013,
 - e) zapewnienie stosowania w terapii ITI koncentratów rekombinowanych czynników VIII i IX dzieciom, które wytworzyły inhibitor przed włączeniem do modułu pierwotnej profilaktyki

krwawień czynnikami rekombinowanymi w ramach programu NFZ pn.: „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B” a stosowały w terapii „na żądanie” koncentraty rekombinowanych czynników krzepnięcia, od roku 2012,

- 3) wyspecjalizowanie ośrodków hematologicznych do zapewniania kompleksowego leczenia chorym na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, od roku 2017 (bezkosztowo pod stronię budżetu państwa),
- 4) przygotowanie kadry do realizacji celów Programu, od roku 2012,
- 5) prowadzenie ewidencji chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne w formie aplikacji komputerowej, która będzie gromadziła i udostępniała dane upoważnionym osobom i podmiotom, w czasie rzeczywistym za pośrednictwem aplikacji komputerowej udostępnionej przez NFZ.
- 6) wprowadzenie desmopresyny do profilaktyki i leczenia krwawień (epizod krwotoczny lub planowany zabieg chirurgiczny) u chorych na łagodną hemofilię A (VIII: C > 5% normy) i łagodną chorobę von Willebranda (typ 1, typ 2N, niektóre postaci typu 2A) przy braku przeciwwskazań bezwzględnych, którymi są: objawy nietolerancji desmopresyny, okres połogu, choroba niedokrwienna serca, powikłania zakrzepowo-zatorowe. Kryteria skuteczności leczenia: poprawa kliniczna (zatrzymanie krwawienia) oraz wyrównanie parametrów hemostazy (wzrost aktywności czynnika VIII i/lub kofaktora rystocetyny), od roku 2012.

3. Plan działań i sposób ich realizacji

W celu dążenia do poprawy leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne niezbędne jest po pierwsze sukcesywne zwiększanie **liczby** koncentratów poszczególnych czynników krzepnięcia finansowanych w ramach przedmiotowego Programu, włączenie do Programu desmopresyny oraz podjęcie działań zarówno organizacyjnych jak i legislacyjnych, służących wyspecjalizowaniu ośrodków hematologicznych w zakresie kompleksowej opieki nad chorymi na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne. Niezbędnym elementem poprawy leczenia tej grupy chorych jest edukacja lekarzy różnych specjalności, pielęgniarek, fizjoterapeutów, diagnostów laboratoryjnych oraz ratowników medycznych, poprzez organizowanie raz w roku warsztatów naukowo-szkoleniowych dla osób zaangażowanych w leczenie hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych z terenu całej Polski.

W okresie trwania Programu szkoleniami zostaną objęte osoby wytypowane przez wojewódzkich koordynatorów ds. leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych u dorosłych i dzieci, przede wszystkim z ośrodków, w których są leczeni pacjenci z hemofilią i pokrewnymi skazami krwotocznymi. Rocznie planuje się objęcie szkoleniami ok. 120 lekarzy, ok. 60 pielęgniarek, ok. 30 fizjoterapeutów, ok. 30 diagnostów laboratoryjnych i ok. 30 ratowników medycznych. Szkolenia dla wszystkich grup będą odbywały się cyklicznie. Przewiduje się prowadzenie szkoleń teoretycznych i warsztatów praktycznych. Główne zagadnienia będące tematami szkoleń to:

- 1) diagnostyka hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych,
- 2) leczenie substytucyjne hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych,
- 3) monitorowanie leczenia substytucyjnego,

- 4) rozpoznawanie i leczenie powikłań samej choroby (np. artropatii), jak również leczenia substytucyjnego (np. inhibitorów czynników krzepnięcia),
- 5) zasady rehabilitacji pacjentów z artropatią hemofilową,
- 6) problemy pielęgnacyjne u pacjentów z hemofilią i pokrewnymi skazami krwotocznymi,
- 7) zabiegi chirurgiczne u pacjentów z hemofilią i pokrewnymi skazami krwotocznymi,
- 8) zasady immunotolerancji,
- 9) postępy leczenia, w tym terapia genowa i czynniki krzepnięcia poddawane modyfikacji genetycznej,
- 10) problematyka skaz krwotocznych u kobiet,
- 11) zasady leczenia chorób współistniejących u pacjentów z hemofilią i pokrewnymi skazami krwotocznymi w tym populacji osób w podeszłym wieku,
- 12) zasady organizacji ośrodków leczenia hemofilii.

W związku z zakładanym od 2013 r. przeprowadzeniem terapii immunotolerancji (ITI) dla pacjentów z hemofilią i krążącym antykoagulantem – inhibitorem, kwalifikacji pacjentów do powyższej terapii dokonywać będzie zespół ekspertów, powołany przez Ministra Zdrowia, na wniosek Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie, składający się od 4 do 6 osób. Z uwagi na charakter terapii jak również na wysokie koszty jej przeprowadzenia, członkowie zespołu powinni spełniać następujące kryteria:

- 1) specjalizacja co najmniej z chorób wewnętrznych,
- 2) doświadczenie w leczeniu hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych,
- 3) publikacje z zakresu hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych,
- 4) aktywny udział w pracach towarzystw naukowych na rzecz wrodzonych skaz krwotocznych.

Do głównych zadań powyższego zespołu należeć będzie:

- 1) monitorowanie prawidłowej realizacji terapii immunotolerancji, w oparciu o wiedzę medyczną, z uwzględnieniem możliwości finansowych w ramach środków przeznaczonych na realizację programu zdrowotnego pn. „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018”,
- 2) prowadzenie prac mających na celu dopracowanie założeń i warunków prowadzonej terapii immunotolerancji,
- 3) podejmowanie ostatecznej decyzji o kwalifikacji pacjentów do powyższej terapii,
- 4) określenie, wraz z lekarzem prowadzącym, indywidualnych schematów immunotolerancji oraz indywidualnego dawkowania podawanych czynników omijających (aPPC, rVIIa),
- 5) podejmowanie decyzji, wraz z lekarzem prowadzącym, dotyczących oceny wyników immunotolerancji oraz o jej zaprzestanie u danego pacjenta.

W celu bieżącego monitorowania realizacji Programu, w szczególności w zakresie stosowania koncentratów czynników krzepnięcia planuje się wprowadzenie obowiązku prowadzenia zarówno przez RCKiK jak i ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych pierwszego i drugiego poziomu referencyjnego, ewidencji chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne w formie aplikacji komputerowej, która będzie gromadziła i udostępniała dane upoważnionym osobom i podmiotom, w czasie rzeczywistym za pośrednictwem portalu internetowego, w oparciu o i w powiązaniu z bazą

danych prowadzaną w ramach realizacji programu lekowego NFZ pn. „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”, docelowo w zakresie:

- 1) rodzaju skazy krwotocznej i jej ciężkości (poziom czynników krzepnięcia na podstawie którego postawiono rozpoznanie),
- 2) rejestru krwawień dla danego pacjenta,
- 3) działań niepożądanych:
 - a) wystąpienia inhibitora, jego poziomu i daty wykrycia,
 - b) wystąpienia zakażeń będących następstwem stosowania koncentratów czynników krzepnięcia (leków substytucyjnych): WZW, vCJD, HIV,
 - c) wystąpienia reakcji alergicznych,
- 4) rodzaju, serii, wielkości opakowania i dawki dostarczanych i przyjmowanych leków substytucyjnych,
- 5) miejsca, daty, godziny zamówienia oraz daty i godziny dostawy poszczególnych opakowań leków substytucyjnych,
- 6) miejsca, daty oraz rodzaju świadczeń udzielanych dla poszczególnych pacjentów,
- 7) zakwalifikowania do podawania desmopresyny,
- 8) danych na temat prowadzonych w Polsce badań klinicznych leków substytucyjnych, desmopresyny (lub odpowiedników): danych sponsora badania lub jego prawnego przedstawiciela, adresu i nazwy ośrodka, daty rozpoczęcia, nazwiska badacza, danych pacjentów biorących w nich udział, informacji na temat protokołu badania,
- 9) kosztów świadczeń, leków substytucyjnych oraz desmopresyny dla każdego pacjenta,
- 10) rejestracji zgonów.

Prowadzona ewidencja ma umożliwić:

- 1) unifikację systemu ewidencji chorych na hemofilię;
- 2) scalenie danych chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne leczonych w ramach niniejszego Programu oraz programu lekowego NFZ pn. „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”;
- 3) określenie zachorowalności i ilości pacjentów w powiatach i województwach,
- 4) planowanie zapotrzebowania na poszczególne leki substytucyjne,
- 5) określanie przewidywanego czasu życia pacjentów chorych na poszczególne skazy krwotoczne,
- 6) dostęp do istotnych klinicznie i diagnostycznie danych pacjentów,
- 7) monitorowanie sposobu leczenia pacjentów, analizę jego efektywności oraz efektywności kosztowej w poszczególnych ośrodkach,
- 8) optymalizację kosztów leczenia,
- 9) generowanie raportów na tematy istotne klinicznie i społecznie,
- 10) planową modyfikację priorytetów Programu.

Koncentraty czynników krzepnięcia oraz desmopresyna będą wydawane do leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne przez regionalne centra krwiodawstwa i krwiolecznictwa na podstawie zamówienia lekarskiego wygenerowanego za pośrednictwem udostępnionej przez NFZ

aplikacji internetowej, o której mowa w dziale V, cel szczegółowy 5), lub wystawionego w formie papierowej, zgodnie z wzorem określonym w rozporządzeniu ministra właściwego do spraw zdrowia. Zamówienia lekarskie na koncentraty czynników krzepnięcia i desmopresynę będą wystawiane w oparciu o kryteria włączenia i wyłączenia określone w załączniku nr 6 do programu. Pacjent powinien prowadzić rejestr krwawień zgodnie z wzorem określonym w załączniku nr 7 do programu. Prowadzenie rejestru daje możliwość dokumentowania leczenia domowego koncentratami czynników krzepnięcia i/lub desmopresyną, poprzez odnotowywanie daty podania preparatu, przyczyny, nazwy i serii preparatu oraz podanej dawki. Analiza rejestru wstrzyknięć jest elementem nadzoru lekarskiego nad leczeniem domowym i pozwala na ustalenie dalszych zaleceń terapeutycznych oraz przybliżone określenie zapotrzebowania pacjenta na preparaty. W przypadku braku dokumentacji wstrzyknięć lekarz powinien przeprowadzić z pacjentem szczegółowy wywiad dotyczący przebiegu leczenia domowego i ustalić zalecenia na podstawie uzyskanych informacji. Docelowo wskazane będzie wprowadzenie rejestru w formie aplikacji internetowej, dostępnej także w telefonie komórkowym powiązanej z aplikacją internetową, o której mowa w dziale V, cel szczegółowy 5).

4. Źródła finansowania:

1) budżet do spraw zdrowia

Program zostanie sfinansowany z budżetu będącego w dyspozycji Ministra Zdrowia z części 46 – Zdrowie, działu – 851 – Ochrona zdrowia, rozdziału 85149 – Programy polityki zdrowotnej.

Podstawę prawną finansowania przedmiotowego Programu dotyczącego istotnych problemów zdrowotnych określonej populacji, przy istniejących możliwościach ich eliminowania bądź ograniczania, stanowi art. 48 ust. 1 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz. 1027, z późn. zm.).

2) udział własny realizatorów

brak

3) inne

brak

5. Szczegółowy harmonogram działań wynikający z formy opisowej

Zaopatrzenie w koncentraty czynników krzepnięcia oraz desmopresynę będzie odbywało się zgodnie z ustawą z dnia 29 stycznia 2004 r. - *Prawo zamówień publicznych* (Dz. U. z 2015 r. poz. 2164, z późn. zm.). Zakup będzie dokonywany, przez NCK, za pośrednictwem Zakładu Zamówień Publicznych przy Ministrze Zdrowia. Zakupione koncentraty czynników krzepnięcia będą przekazywane przez NCK, na podstawie stosownych umów, regionalnym centrom krwiodawstwa i krwiolecznictwa, które to będą odpowiedzialne za przechowywanie, magazynowanie i wydawanie ich do leczenia pacjentom, na podstawie imiennego zamówienia. Dodatkowo RCKiK będą miały możliwość tworzenia depozytów szpitalnych koncentratów czynników krzepnięcia w szczególności w ośrodkach leczenia hemofilii oraz w podmiotach leczniczych posiadających w strukturze szpitalne oddziały ratunkowe. Tworzenie depozytów szpitalnych będzie następowało poprzez zawarcie umowy pisemnej pomiędzy

RCKiK a szpitalem regulującej obowiązki stron, w tym między innymi: zasady rotowania koncentratów czynników krzepnięcia w celu uniknięcia ich przeterminowania. Każda umowa o utworzeniu depozytu szpitalnego będzie jawna wobec Ministra Zdrowia i NCK. Konsultant Krajowy w dziedzinie medycyny ratunkowej wskaże szpitalne oddziały ratunkowe, w których powinny być utworzone depozyty szpitalne ze względu na odległość od RCKiK i określi ilości leków niezbędne do zabezpieczenia na tych oddziałach.

2012

- 1) Wyłonienie Jednostki Koordynującej Program.
- 2) Zakup koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny.
- 3) Pierwszy cykl warsztatów szkoleniowo-naukowych dla kadry medycznej przygotowujących do realizacji celów Programu.

2013

- 1) Zakup koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny.
- 2) Drugi cykl warsztatów szkoleniowo-naukowych dla kadry medycznej przygotowujących do realizacji celów Programu.

2014

- 1) Zakup koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny.
- 2) Trzeci cykl warsztatów szkoleniowo-naukowych dla kadry medycznej przygotowujących do realizacji celów Programu.

2015

- 1) Zakup koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny.
- 2) Czwarty cykl warsztatów szkoleniowo-naukowych dla kadry medycznej przygotowujących do realizacji celów Programu.
- 3) Dodatkowe szkolenia dla personelu medycznego z Oddziałów Ratunkowych i Izb Przyjęć.

2016

- 1) Zakup koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny.
- 2) Piąty cykl warsztatów szkoleniowo-naukowych dla kadry medycznej przygotowujących do realizacji celów Programu.

2017

- 1) Zakup koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny.
- 2) Wspecjalizowanie ośrodków leczenia hemofilii pierwszego poziomu referencyjnego.
- 3) Szósty cykl warsztatów szkoleniowo-naukowych dla kadry medycznej przygotowujących do realizacji celów Programu.

2018

- 1) Zakup koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny.
- 2) Wyspecjalizowanie ośrodków leczenia hemofilii drugiego poziomu referencyjnego.
- 3) Siódmy cykl warsztatów szkoleniowo-naukowych dla kadry medycznej przygotowujących do realizacji celów Programu.

6. Wskaźniki monitorowania oczekiwanych efektów

Ewaluację i monitorowanie Programu będzie prowadzić NCK we współpracy z Jednostką Koordynującą. RCKiK, ośrodki leczenia hemofilii pierwszego i drugiego poziomu referencyjnego oraz Jednostka Koordynująca będą zobowiązane do systematycznej współpracy z NCK, celem zabezpieczenia odpowiedniej ilości czynników krzepnięcia i desmopresyny na terenie całego kraju. Wszystkie zakupione leki tworzą ogólnopolską pulę leków. W przypadku zaistnienia konieczności dokonania przesunięć, daje to możliwość sprawnej wymiany leków między RCKiK i zapobiega przeterminowaniu leków, bądź zaleganiu w magazynach bez możliwości ich wykorzystania. Wszelkie przesunięcia, w stosunku do przydzielonej puli leków na poszczególne województwa, będą możliwe za zgodą NCK. RCKiK będą zobowiązane do systematycznego sporządzania raportów, zgodnie z wytycznymi NCK.

Skuteczność podejmowanych działań i wykorzystywanych metod w kolejnych latach realizacji Programu będzie oceniana na podstawie:

- 1) liczby osób przeszkolonych w ramach programu, w tym: lekarzy, pielęgniarek, fizjoterapeutów, diagnostów laboratoryjnych, ratowników medycznych,
- 2) zwiększania ilości dostępnych danych zawartych w ewidencji chorych do pełnego zakresu zaplanowanego do osiągnięcia w roku 2018,
- 3) upowszechnienia leczenia w warunkach domowych w poszczególnych skazach krwotocznych,
- 4) upowszechnienia stosowania wtórnej profilaktyki,
- 5) poszerzenia zakresu stosowania immunotolerancji,
- 6) wprowadzenia i upowszechnienia leczenia desmopresyną wybranych skaz krwotocznych,
- 7) zwiększenia dostępności do leczenia chirurgicznego i neurochirurgicznego ze wskazań życiowych, a także w trybie planowym.

Wskaźniki zużycia koncentratów czynników krzepnięcia w 2018 roku powinny osiągnąć następujące wartości:

- 6 j.m. czynnika VIII na 1 mieszkańca/rok,
- 0,7 j.m. czynnika IX na 1 mieszkańca/rok,
- 0,4 j.m. czynnika VIII zawierającego czynnik von Willebranda na 1 mieszkańca/rok,
- 0,5 j.m. aPCC na 1 mieszkańca/rok,
- 0,03 j.m. PCC na 1 mieszkańca/rok,
- 0,02 j.m. czynnika VII na 1 mieszkańca/rok,
- 0,8 µg rekombinowanego czynnika VIIa na 1 mieszkańca/rok,

- 7 µg fibrynogenu na 1 mieszkańca/rok.

VI. KOSZTORYS

Szczegółowy zakres zadań do realizacji wraz z kosztorysem na lata 2012-2018

Nazwa zadania	Wydatki w PLN (bieżące)						
	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018
Zaopatrzenie w koncentraty czynników krzepnięcia	288 398 452	242 108 000	296 690 000	225 474 025,10	375 719 753,60	318 mln	343 mln
Zaopatrzenie w desmopresynę	142 938	0	130 000.	570 974,90	925 246,40	172 tys.	192 tys.
Warsztaty szkoleniowo naukowe przygotowujące kadrę medyczną do realizacji celów Programu	32 105	144 000.	144 000	144 000.	144 tys.	144 tys.	144 tys.
Koordinacja Programu	50 000.	200 000.	200 000.	200 000.	200 tys.	200 tys.	200 tys.
RAZEM PLN	288 623 495	242 452 000	297 164 000	226 389 000	376 989 000	318 516 000	343 536 000

Szczegółowa kalkulacja kosztów przeprowadzenia szkoleń stanowi Załącznik nr 4 do Programu.

VII. REALIZATORZY PROGRAMU

Realizatorem Programu będzie NCK. Do zadań NCK będzie należało:

- a) zakup, za pośrednictwem Zakładu Zamówień Publicznych przy Ministrze Zdrowia, koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, zgodnie z przepisami o zamówieniach publicznych;
- b) przygotowywanie rozdzielników i przydział zakupionych koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny dla poszczególnych województw,
- c) zawarcie umów z RCKiK posiadającymi doświadczenie w realizacji „Narodowego Programu Leczenia Hemofilii na lata 2005-2011”, na przechowywanie, dystrybucję, wydawanie koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny oraz zapewnienie utylizacji odpadów medycznych powstałych w związku z leczeniem w warunkach domowych.
- d) dokonywanie przesunięć, w stosunku do przydzielonej puli leków dla poszczególnych województw, stosownie do zapotrzebowania na terenie całego kraju,
- e) ewaluacja i monitorowanie realizacji programu przez poszczególne podmioty.

Zadania w zakresie przechowywania, dystrybucji koncentratów czynników krzepnięcia, a także ewidencji chorych w aplikacji komputerowej będą realizowane przez jednostki posiadające doświadczenie w realizacji programu pn.: „Narodowy Program Leczenia Hemofilii na lata 2005-2011”, czyli RCKiK.

Wyspecjalizowanie ośrodków leczenia hemofilii na dwóch poziomach leczenia, tj. pierwszego i drugiego poziomu referencyjnego, odbywać się będzie poprzez zawarcie przez NFZ umowy na udzielanie świadczenia, o którym mowa w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 22 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego, załącznik nr 3, części I poz. 21 lit. A i B oraz załącznik nr 3, części I poz. 32 lit. A i B.

Zadania możliwe do wykonania przez ośrodki leczenia hemofilii pierwszego i drugiego poziomu referencyjności, poza określonymi w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 22 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego, załącznik nr 3, części I poz. 21 lit. A i B oraz załącznik nr 3, części I poz. 32 lit. A i B:

- 1) prowadzenie depozytu szpitalnego koncentratów czynników krzepnięcia,
- 2) realizacja i nadzór nad świadczeniem „leczenie w warunkach domowych” koncentratami czynników krzepnięcia,
- 3) bieżące uzupełnianie ewidencji pacjentów,
- 4) zgłaszanie kandydatów do terapii immunotolerancji zespołowi kwalifikującemu oraz przeprowadzanie procesu immunotolerancji (ITI),
- 5) kwalifikacja i podawanie czynników omijających,
- 6) monitorowanie działań niepożądanych leków substytucyjnych na podległym terenie,
- 7) zapewnienie właściwych warunków do przechowywania koncentratów czynników krzepnięcia – chłodnia o temp. 4-6 °C oraz desmopresyny – chłodnia o temp. 2-8 °C,
- 8) zapewnienie całodobowego dostępu do czynników krzepnięcia,

Główne kryteria wyboru koordynatora (Jednostki Koordynującej) Programu

Ze względu na wielokierunkowe działania w ramach Programu istnieje konieczność wyłonienia Jednostki Koordynującej - w drodze postępowania konkursowego, która:

- 1) posiada doświadczenie w realizacji i koordynacji zadań objętych Programem,
- 2) zapewni monitorowanie efektów realizacji zadań Programu,
- 3) posiada kadrę i zaplecze merytoryczne gwarantujące realizację zadań,
- 4) zapewni w odpowiednim zakresie kontynuację działań podjętych w „Narodowym Programie Leczenia Hemofilii na lata 2005-2011”,
- 5) zapewni współpracę pomiędzy realizatorami Programu, konsultantami krajowymi i wojewódzkimi, wojewódzkimi koordynatorami ds. leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych u dzieci i dorosłych, wojewódzkimi koordynatorami ds. dystrybucji czynników krzepnięcia, towarzystwami naukowymi w dziedzinie m.in. hematologii i transfuzjologii klinicznej oraz NFZ,
- 6) zapewni racjonalne koszty koordynacji Programu.

Do zadań Jednostki Koordynującej należy:

- 1) harmonizacja wszystkich działań podejmowanych w Programie,
- 2) sporządzanie rocznych raportów z realizowanych działań w Programie, obejmujących w szczególności dane epidemiologiczne, rodzaj i liczbę świadczeń zdrowotnych udzielonych pacjentom, rodzaj i liczbę wykorzystanych koncentratów czynników krzepnięcia, analizę danych pochodzących z ewidencji prowadzonej w ramach Programu.
- 3) realizacja zadania dotyczącego organizacji i prowadzenia warsztatów naukowo-szkoleniowych dla osób zaangażowanych w leczenie hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych z terenu całej Polski.

VIII. KONTYNUACJA DZIAŁAŃ PODJĘTYCH W PROGRAMIE

Program, którego celem jest poprawa wyników leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne oraz poprawa jakości życia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne ze względu na specyfikę wrodzonych skaz krwotocznych oraz ich terapii wymaga ciągłej realizacji. Przewidywana jest kontynuacja Programu w kolejnych latach z uwzględnieniem nowych produktów leczniczych i nowych metod dostępnych w leczeniu tej grupy chorych.

Piśmiennictwo:

1. Windyga J, Chojnowski K, Klukowska A, Łętowska M, Mital A, Podolak-Dawidziak M, Zdziarska J, Zawilska K, i wsp. Polskie zalecenia postępowania we wrodzonych skazach krwotocznych na tle niedoboru czynników krzepnięcia. *Acta Haematologica Polonica* 2008;39(3):537-579
2. Windyga J. Jak w przyszłości będziemy leczyć hemofilię? *Acta Haematologica Polonica* 2008;39(4):651-660
3. Łaguna P. Profilaktyka u pacjentów z hemofilią powikłaną inhibitorem, *Prace pogładowe Pol. Merk. Lek.* 2011;XXX(177): 211-214
4. Windyga J. Osoczopochodne koncentraty czynników krzepnięcia. *Acta Haematologica Polonica* 2009;40(2):501-510
5. B.T.Colvin, J. Astermark, K.Fischer, A. Gringeri, R. Lassila, W. Schramm, A. Thomas and J. Ingerslev for The Inter Disciplinary Working Group European principles of haemophilia care, *Haemophilia* 2008;39(14): 361-374

WOJEWÓDZCY KOORDYNATORZY DS. LECZENIA HEMOFILII I POKREWNYCH SKAZ KRWOTOCZNYCH U DZIECI*

Lp.	Nazwa Ośrodka	Kierownik	Członek Zespołu Koordynującego Program „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”	Adres elektroniczny	Telefon lekarza dyżurnego
1	Katedra i Klinika Pediatrii, Hematologii i Onkologii WUM; SPDSK, 02-091 Warszawa, ul. Żwirki i Wigury 63A	prof. Michał Matysiak	dr Anna Klukowska (przewodniczący Zespołu)	aklukowska@poczta.onet.pl michal.matysiak@litewska.edu.pl	790 338 596
2	Uniwersytecki Szpital Dziecięcy Dział Krwiolecznictwa ul. Chodźki 2, 20-093 Lublin	lek. med. Irena Woźnica-Karczmarz	lek. med. Irena Woźnica-Karczmarz	irena.woznica@dsk.lublin.pl	81 71 85 500
3	Uniwersytecki Szpital Kliniczny im. Jana Mikulicza Radeckiego Ul. Borowska 213 50-556 Wrocław	prof. Alicja Chybicka	dr Grzegorz Dobaczewski	g.dobacz@gmail.com	godz 7:30-15:00 71 733 27 00 godz: 15:00-7:30 885 852 282
4	Gdański Uniwersytet Medyczny, Katedra i Klinika Pediatrii, Hematologii, Onkologii i Endokrynologii, ul. Dębinki 7, 80-211 Gdańsk	prof. Anna Balcerska	dr Marek Wlazłowski	marekwlazowski@gmail.com	58 349 28 76
5	Samodzielny Publiczny Szpital Kliniczny Nr 1, Katedra i Klinika Pediatrii, Hematologii i Onkologii Dziecięcej SUM, ul. 3 Maja 13-15 41-800 Zabrze	prof. Tomasz Szczepański	dr Anna Janik-Moszant	ajanik@szpital.zabrze.pl	32 37 04 381
6	Wojewódzki Szpital Kliniczny im. Karola Marcinkiewicza Sp. z o. o. ul. Zyty 26; 65-045 Zielona Góra	dr Kazimiera Barczyk	dr Dariusz Wasiński	wadar.zgora@wp.pl	669 304 498
7	Specjalistyczny Zespół Opieki Zdrowotnej nad Matką i Dzieckiem; Oddział Chorób Wewnętrznych i Hemaatologii ul. B. Krzywici 7/8 61-825 Poznań	dr Halina Bobrowska	dr Halina Bobrowska	bober@pro.onet.pl	61 850 62 79 / 277
8	Uniwersytecki Dziecięcy Szpital Kliniczny im. Ludwika Zamenhofa Klinika Onkologii i Hematologii Dziecięcej ul. Waszyngtona 17 15-274 Białystok	prof. Maryna Krawczuk - Rybak	dr Łucja Dakowicz	lucjadakowicz@gmail.com	85 74 50 842
9	Szpital Uniwersytecki im. dr A. Jurasza; Klinika Pediatrii, Hematologii i Onkologii ul Skłodowskiej-Curie 9 85-094 Bydgoszcz	prof. Mariusz Wysocki	dr Andrzej Kołtan	akoltan@by.home.pl	781 446 829

program polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia
Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018

10	Kliniczny Szpital Wojewódzki nr 2 im. Św. Jadwigi Królowej w Rzeszowie; Klinika Onkohematologii Dziecięcej ul. Lwowska 60 35-301 Rzeszów	dr n. med. Radosław Chaber	dr Monika Radwańska	korczowski@op.pl	17 866 46 01
11	Wojewódzki Specjalistyczny Szpital Dziecięcy; Oddział Onkologii i Hematologii Dziecięcej ul. Żołnierska 18a 10-561 Olsztyn	dr Wanda Badowska	dr Wanda Badowska	hematologia@wssd.olsztyn.pl	533 319 557
12	Samodzielny Publiczny Szpital Kliniczny Nr 1 im. Prof. Tadeusza Sokołowskiego; Klinika Pediatrii, Hematologii i Onkologii Dziecięcej PUM ul. Unii Lubelskiej 1 71-252 Szczecin	prof. Tomasz Urański	prof. Tomasz Urański	urasin@pam.szczecin.pl	695 112 034
13	Uniwersytecki Szpital Dziecięcy; Klinika Onkologii i Hematologii Dziecięcej ul. Wielicka 265 30-663 Kraków	prof. Walentyna Balwierz	prof. Walentyna Balwierz	pietrys_d@tlen.pl onkhemd@cm-uj.krakow.pl	12 658 20 11
14	Centralny Szpital Kliniczny Klinika Onkologii, Hematologii i Diabetologii, I Katedra Pediatrii, Ośrodek Pediatryczny im. M. Konopnickiej ul. Sporna 36/50 97-738 Łódź	prof. Wojciech Młynarski	dr Magdalena Kostrzewska	makostrzewska@o2.pl	797 713 387
15	Wojewódzki Szpital Zespolony Świętokrzyskie Centrum Pediatrii im. Władysława Buszkowskiego, Oddział Hematologiczno-onkologiczny Ul. Artwińskiego 3a 25-734 Kielce	dr Grażyna Karolczyk	dr Grażyna Karolczyk	karolczyk@chok.kielce.pl	41 347 05 60

* wykaz wojewódzkich koordynatorów ds. leczenia hemofilii i pokrewnych szaz krwotocznych u dzieci będzie aktualizowany na bieżąco

WOJEWÓDZCY KOORDYNATORZY DS. LECZENIA HEMOFILII I POKREWNYCH SKAZ KRWOTOCZNYCH U DOROSŁYCH*

Lp.	Nazwa ośrodka	Kierownik	Członek Zespołu Koordynującego
1	woj. mazowieckie: Instytut Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie	prof. Krzysztof Warzocha	prof. Jerzy Windyga
2	woj. lubelskie: Katedra i Klinika Hematoonkologii i Transplantacji Szpiku Uniwersytetu Medycznego w Lublinie, ul. Staszica 11, 20-281 Lublin	dr hab. Marek Hus	dr n. med. Justyna Kozińska
3	woj. dolnośląskie: Katedra i klinika Hematologii, Nowotworów Krwi i Transplantacji Szpiku UM, Wrocław	prof. Kazimierz Kuliczkowski	prof. dr hab. Małgorzata Kuliszkiewicz-Janus
4	woj. pomorskie: Klinika Hematologii GUM w Gdańsku	prof. Andrzej Hellmann	dr n. med. Andrzej Mital
5	woj. śląskie: Klinika Hematologii i Transplantacji Szpiku ŚUM Katowice	prof. Sławomira Kyrzcz-Krzemień	dr hab. med. Małgorzata Krawczyk-Kuliś (zastępca: dr Michał Jamrozik)
6	woj. lubuskie: Oddział Hematologii w Szpitalu Wojewódzkim SP ZOZ im. K. Marcinkowskiego w Zielonej Górze	dr Alina Świdarska	dr Alina Świdarska
7	woj. wielkopolskie: Samodzielny Publiczny Zakład Opieki Zdrowotnej Ministerstwa Spraw Wewnętrznych w Poznaniu im. prof. Ludwika Bierkowskiego, Oddział Hematologii	dr med. Tomasz Woźny	lek. Lucyna Maledowicz-Portala
8	woj. podlaskie: Klinika Hematologii USK, Białystok ul. Marii Skłodowskiej Curie 24A, 15-276 Białystok	prof. Janusz Kłoczko	Lek. med. Jolanta Oleksiuk
9	woj. kujawsko-pomorskie: Oddział Hematologii Szpitala Uniwersyteckiego nr 2 w Bydgoszczy oraz, Oddział Hematologii Specjalistycznego szpitala Miejskiego w Toruniu	dr med. Gadomska	dr Danuta Błońska, dr Aleksandra Kostyra
10	woj. podkarpackie: Szpital Specjalistyczny w Brzozowie, Podkarpacki Ośrodek Onkologiczny im. Ks. B. Markiewicza, Oddział Hematologii Onkologicznej, ul. Ks. J. Bielawskiego 18, 36-200 Brzozów	dr hab. med. Andrzej Pluta	dr Katarzyna Radko
11	woj. warmińsko-mazurskie: Oddział Hematologiczny WSS w Olsztynie	dr n. med. Małgorzata Wojciechowska	dr Radosław Bogucki
12	woj. zachodniopomorskie: Klinika Hematologii PUM w Szczecinie	prof. Barbara Zdziarska	dr med. Renata Guzicka-Kazimierczak
13	woj. małopolskie: Oddział Kliniczny Hematologii Szpitala Uniwersyteckiego, ul. Kopernika 17, 31-501 Kraków	prof. dr hab. med. Aleksander B. Skotnicki,	lek med. Joanna Zdziarska
14	woj. łódzkie: Klinika Hematologii UM w Łodzi	prof. Tadeusz Robak	prof. dr hab. med. Krzysztof Chojnowski
15	woj. świętokrzyskie: Oddział Hematologii Świętokrzyskiego Centrum Onkologii	dr Marcin Pasiarski	dr Arkadiusz Drobiecki
16	woj. opolskie: Oddział Hematologii Szpitala Wojewódzkiego w Opolu	dr n. med. Dariusz Woszczyk	dr med. Dariusz Woszczyk

*Wykaz wojewódzkich koordynatorów ds. leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych u dorosłych będzie aktualizowany na bieżąco

**WOJEWÓDZCY KOORDYNATORZY DS. DYSTRYBUCJI KONCENTRATÓW CZYNNIKÓW
 KRZEPNIĘCIA I DESMOPRESYNY***

RCKiK	Województwo	Imię i nazwisko	Stanowisko
Białystok	podlaskie	prof. dr hab. Piotr Radziwon	Dyrektor RCKiK w Białymstoku
Bydgoszcz	kujawsko-pomorskie	lek. med. Katarzyna Gągola	p.o. Zastępcy Dyrektora ds. Medycznych RCKiK w Bydgoszczy
Gdańsk	pomorskie	lek. med. Małgorzata Szafran	Asystent w Dziale Metodyczno-Organizacyjnym RCKiK w Gdańsku
Katowice	śląskie	lek. med. Bożena Drybańska	Z-ca Dyrektora ds. Medycznych RCKiK w Katowicach
Kielce	świętokrzyskie	lek. med. Zdzisława Sitarz-Żelazna	Z-ca Dyrektora ds. Medycznych RCKiK w Kielcach
Kraków	małopolskie	lek. med. Beata Mazurek	Kierownik Działu Ekspedycji, Specjalista Transfuzjologii Klinicznej, RCKiK w Krakowie
Lublin	lubelskie	lek. med. Hanna Radwan-Wieczorek	Z-ca Dyrektora ds. Medycznych RCKiK w Lublinie
Łódź	łódzkie	dr Maria Krzanowska	Asystent w Dziale Dawców i Ekspedycji RCKiK w Łodzi
Olsztyn	warmińsko-mazurskie	lek. med. Grażyna Kula	Dyrektor RCKiK
Opole	opolskie	lek. med. Andrzej Ostrowiecki	Z-ca Dyrektora ds. Medycznych RCKiK
Poznań	wielkopolskie	lek. med. Hanna Skalisz	Z-ca Dyrektora ds. Medycznych, RCKiK w Poznaniu
Rzeszów	podkarpackie	Małgorzata Zwierkowska -Tłuczek	p.o. Kierownika Sekcji Ekspedycji Krwi i jej Składników
Szczecin	zachodniopomorskie	lek. med. Ewa Kochanowicz	Kierownik Działu Ekspedycji, Specjalista Transfuzjologii Klinicznej, RCKiK w Szczecinie
Warszawa	mazowieckie	lek. med. Edyta Ułasiewicz	Kierownik Działu Ekspedycji, RCKiK w Warszawie
Wrocław	dolnośląskie	mgr Urszula Sokalska	Kierownik Działu Ekspedycji, RCKiK we Wrocławiu
Zielona Góra	lubuskie	lek. med. Monika Fabisz-Kołodzińska	Dyrektor RCKiK w Zielonej Górze

* Wykaz wojewódzkich koordynatorów ds. dystrybucji koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny będzie aktualizowany na bieżąco

SZKOLENIA – KALKULACJA NA JEDEN ROK					
Lekarze					
Liczba grup	Ilość osób			Suma grup	Suma uczestników
Grupa I	30			4	120
Grupa II	30				
Grupa III	30				
Grupa IV	30				
Pielęgniarki					
Liczba grup	Ilość osób			Suma grup	Suma uczestników
Grupa I	30			2	60
Grupa II	30				
Fizjoterapeuci					
Liczba grup	Ilość osób			Suma grup	Suma uczestników
Grupa I	30			1	30
Diagności laboratoryjni					
Liczb grup	Ilość osób			Suma grup	Suma uczestników
Grupa I	30			1	30
Ratownicy medyczni					
Liczba grup	Ilość osób			Suma grup	Suma uczestników
Grupa I	30			1	30
Ilość organizowanych szkoleń w ciągu roku - 9					
Suma wszystkich uczestników szkolenia - 270 osób					
Czas trwania jednego szkolenia - 8 godz.					
Koszt szkoleń					
Wykładowca	1h= 500 zł	8h= 4000 zł			
Obsługa (sala, catering, materiały edukacyjne)	400 zł od osoby				
Ogólne koszty					
Wykładowca	36 000 zł				
Obsługa (sala, catering, materiały edukacyjne)	108 000 zł				
SUMA	144 000 zł				

ADRESY OŚRODKÓW, W KTÓRYCH CHORZY NA HEMOFILIĘ MOGĄ ZNALEŹĆ FACHOWĄ OPIEKĘ

BIAŁYSTOK

Dzieci:

Uniwersytecki Dziecięcy Szpital Kliniczny im. *Ludwika Zamenhafa*, Klinika Onkologii i Hematologii Dziecięcej UM w Białymstoku, 15-274 Białystok, ul. Waszyngtona 17 Tel. (85) 74 50 846 Sekretariat Kliniki Onkologii i Hematologii

Dorośli:

Państwowy Szpital Kliniczny Klinika Hematologii UM w Białymstoku, 15-097 Białystok, ul. M. Skłodowskiej-Curie 24a Tel. (85) 746 86 03

BIELSKO-BIAŁA

Dzieci:

Szpital Pediatriczny, I Oddział Wewnętrzny, 43-300 Bielsko-Biała, ul. Sobieskiego 83 Tel. (33) 812 5000 do 4 w. 250,

Dorośli:

Szpital Wojewódzki, Oddział I Wewnętrzny, 43-316 Bielsko-Biała, ul. Armii Krajowej 101 Tel. (33) 81 102 270/ 810 20 00/ 810 01 45, (33) 810 22 70 oddział I wewnętrzny

BYDGOSZCZ

Dzieci:

Szpital Uniwersytecki im. dr A. Jurasza; Klinika Pediatrii, Hematologii i Onkologii, 85-094 Bydgoszcz, ul Skłodowskiej-Curie 9 Tel. (52) 585 48 60- sekretariat

CHORZÓW

Dzieci:

Chorzowskie Centrum Pediatrii Oddział Hematologii i Onkologii Dziecięcej, 41-500 Chorzów, ul. Truchana 7 Tel. (32) 3490043, (32) 3490075, (32) 3490000

CIESZYN

Dorośli:

Zespół Zakładów Opieki Zdrowotnej, I Oddział Chorób Wewnętrznych, 43-400 Cieszyn, ul. Bielska 4 Tel. (33) 852 05 11 w. 370, 371, 372

CZĘSTOCHOWA

Dzieci:

Woj. Szpital Specjalistyczny im. Najświętszej Maryi Panny Oddział Dziecięcy, 42-200 Częstochowa ul. Bialska 104/118 Tel. (34) 367 36 18 (pielęgniarki); 367 36 12, (34) 367 36 20 (sekretariat)

Dorośli:

Wojewódzki Szpital Zespolony Oddział Chorób Wewnętrznych, 42-200 Częstochowa, ul. PCK 1 Tel. (34) 325 48 21, (34) 325 26 11 (sekretariat)

GDAŃSK

Dzieci:

Sam. Publiczny Szpital Kliniczny nr 1 GUM w Gdańsku Klinika Chorób Dzieci, 80-211 Gdańsk, ul. Dębinki 7 Tel. (58) 349 28 63, (58) 349 28 70/ (58) 349 28 80 (klinika chorób dzieci)

Dorośli:

Sam. Publ. Szpital Kliniczny nr 1 GUM w Gdańsku Klinika Hematologii, 80-2 1 I Gdańsk, ul. Dębinki 7 Budynek nr 26 Tel. (58) 349 22 30, (58) 349 28 30 (klinika hematologii)

GLIWICE

Dzieci:

Szpital nr 1 Oddział Pediatrii, 44-100 Gliwice, ul. Kościuszki 29 Tel. (32) 461 32 77 (oddział pediatrii), (32) 461 32 77 (sekretariat oddziału pediatrii) w. 287, 277

Dorośli:

Szpital nr 1 Oddział Chorób Wewnętrznych, 44-100 Gliwice, ul. Kościuszki 29 Tel. (32) 461 32 41

GORZÓW WIELKOPOLSKI

Dorośli:

Wielospecjalistyczny Szpital Wojewódzki w Gorzowie Wlkp. Sp. z o. o. Oddział Hematologii i Chorób Rozrostowych Układu Krwiotwórczego, 66-400 Gorzów Wlkp., ul. Jana Dekerta 1 Tel. (95) 733 14 97-98/ (95) 733 12 22/(95) 733 12 27, (95) 733 1491 (ordynator)

KATOWICE

Dzieci:

Górnośląskie Centrum Zdrowia Dziecka i Matki, Oddział Onkologii, Hematologii i Chemioterapii; 40-752 Katowice, ul. Medyków 16 Tel. (32) 207 18 00, (32) 207 17 63 (oddział onkologii, hematologii i chemioterapii)

Dorośli:

Państwowy Szpital Kliniczny, Katedra i Klinika Hematologii Śląskiego UM, 40-029 Katowice, ul. Reymonta 8 Tel. (32) 259 12 00 (centrala) (32) 259 12 81 (katedra i klinika hematologii)

KIELCE

Dzieci:

program polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia
Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018

Wojewódzki Szpital Zespolony Świętokrzyskie Centrum Pediatrii im. Władysława Buszkowskiego, Oddział Hematologiczno-onkologiczny 25-381 Kielce, ul. Artwińskiego 3a pawilon G Tel. (41) 361 55 25 (centrala), (41) 347 05 60 (gabinet lekarski)

Dorośli:

Świętokrzyskie Centrum Onkologii, Oddział Hematologii, 25-734 Kielce, ul. Artwińskiego 3 Tel. (41) 367 44 78 (centrala), (41) 367 41 82 (sekretariat oddziału hematologii)

KRAKÓW

Dzieci:

Sam. Publiczny Dziecięcy Szpital Kliniczny CM UJ Klinika Onkologii i Hematologii Dziecięcej, 30-522 Kraków Prokocim, ul. Wielicka 265 Tel. (12) 658 20 11

Dorośli:

Klinika Hematologii CM, 31-501 Kraków, ul. Kopernika 17 Tel. (12) 12 424 76 00 fax: 12 424 74 26

LUBLIN

Dzieci:

Uniwersytecki Szpital Dziecięcy Klinika Hematologii i Onkologii
20-093 Lublin, Nr Chodźki 2 Tel. (81) 743 00 10 (centrala) (81) 718 55 20 (oddział hematologii i onkologii)

Dorośli:

Wojewódzka Przychodnia Specjalistyczna Poradnia Hematologiczna Al. Kraśnicka 100 27-718 Lublin Tel. (81) 537 42 45, SP Szpital Kliniczny Nr 1 Klinika Hematoonkologii i Transplantacji Szpiku 20-081 Lublin, ul. Staszica 11 Tel. (81) 534 54 68

ŁÓDŹ

Dzieci:

Centralny Szpital Kliniczny, Ośrodek Pediatryczny im. M. Konopnickiej
Poradnia Hematologiczna, 97-738 Łódź, ul. Sporna 36/50 tel. 42 617 77 77 (centrala szpitala); 42 617 77 57 (pok lek oddział VI); 42 617 77 32 (oddział VII)

Dorośli:

Klinika Hematologii UM w Łodzi 93-510 Łódź, ul. Ciołkowskiego 2 Tel. centrala (42) 689 50 00, hematologia (42) 689 51 91 sekretariat (42) 689 51 93

OLSZTYN

Dzieci:

Woj. Specjalistyczny Szpital Dziecięcy Oddział Wewnętrzny 1, Hematologiczno-Onkologiczny 10-561 Olsztyn, ul. Żołnierska 18a Tel. (89) 533 77 01(centrala), (89) 539 33 71 (oddział hematologii)

Dorośli:

Woj. Szpital Specjalistyczny Pododdział Hematologii 10-561 Olsztyn, ul Żołnierska 18 tel. (89) 538 63 92

OPOLE

Dzieci:

Wojewódzkie Centrum Medyczne Oddział Pediatrii ul. Witosa 26 45-418 Opole tel. (77) 45 20 798

Dorośli:

Szpital Wojewódzki w Opolu, Oddział Hematologii, 45-061 Opole, ul. Katowicka 64 tel. (77) 443 35 95 (centrala), (77) 443 3550 (pielęgniarki oddziału hematologii)

POZNAŃ

Dzieci:

Oddział Chorób Wewnętrznych i Hematologii, Specjalistyczny ZOZ nad Matką i Dzieckiem 61-825 Poznań, ul. B. Krysiwicza 7/8 Tel. (61) 850 62 78/ (61) 850 62 79 (dyrekcja)

Dorośli:

Samodzielny Publiczny Zakład Opieki Zdrowotnej Ministerstwa Spraw Wewnętrznych w Poznaniu im. prof. Ludwika Bierkowskiego 60-631 Poznań, ul. Dojazd 34. Poradnia Hematologiczna - rejestracja telefoniczna pod numerem telefonu 61 846 46 38;

RZESZÓW

Dzieci:

Kliniczny Szpital Wojewódzki nr 2 im. Św. Jadwigi Królowej w Rzeszowie Klinika Onkohematologii Dziecięcej sekretariat tel. : 17-86 64 588 gab. lek.: 17-86 64 558 pielęgniarki:17-86 64 601

Dorośli:

Wojewódzki Szpital Specjalistyczny Oddział Chorób Wewnętrznych z Pododdziałem Hematologii, 35-301 Rzeszów, ul. Lwowska 60 Tel. (17) 86 64 352 (oddział chorób wewnętrznych)

SZCZECIN

Dzieci:

Sam. Publiczny Szpital Kliniczny nr 1 PUM Klinika Chorób Dzieci Oddział Hematologii i Onkologii Dziecięcej, 71-252 Szczecin, ul. Unii Lubelskiej 1 Tel. (91) 425 31 39 ; 425 35 39/ (91) 425 30 00 (centrala)

Dorośli:

Sam. Publiczny Szpital Kliniczny nr 1 PUM Klinika Hematologii, 71-252 Szczecin, ul, Unii Lubelskiej 1 Tel. (91) 425 33 47 Przykliniczna Przychodnia Specjalistyczna Dla Dorosłych, Poradnia Hematologiczna Adres: j.w. Tel. (91) 4253398

TORUŃ

Dorośli:

Szpital Miejski im. M. Kopernika, Oddział Hematologii, 87-100 Toruń ul. S. Batorego 17/19 Tel. (56) 61002 16 (izba przyjęć) (56) 6100 249 (centrala)/ (56) 6100 414 (oddział hematologii), Fax (56) 655 7530

WARSZAWA

Dzieci:

Katedra i Klinika Pediatrii, Hematologii i Onkologii WUM; SPDSK, 02-091 Warszawa, ul. Żwirki i Wigury 63A. Pokój lekarski- 22-3179617 , lub 9614, poradnia 22-317 91-89 / 88, pokój pielęgniarek hematologia - 22-317-96-51, oddział dzienny - hematologia 22-317-96-23, centrala szpitala- 22 317 91 64, lekarz dyżurny- 790-338-596, e-mail: hematologia@spdsk.edu.pl

Dorośli:

Instytut Hematologii i Transfuzjologii 02-776 Warszawa, ul. Indiry Gandhi 14 Tel. (22) 3496 100 — centrala Poradnia Skaz Krwotocznych Rejestracja: (22) 3496 132

Gabinety lekarskie: (22) 3496 153, (22) 3496 154

Gabinet zabiegowy: (22) 3496 155

Klinika Zaburzeń Hemostazy i Chorób Wewnętrznych:

Sekretariat (22) 3496 158/3496 481

Gabinet kinezyterapii: (22) 3496 122

Pokój pielęgniarek: (22) 3496 285

Konsultacje: (22) 3496 249

Klinika Chirurgii Ogólnej i Hematologicznej: Sekretariat (22) 3496 271, Pokój pielęgniarek: (22) 3496 259, Lekarz dyżurny: (22) 3496 276

WROCLAW

Dzieci:

Tel. (71) 733 32 12 / (71) 77 03 212 (centrala), (71) 77 03 167/68 (sekretariat kliniki)

Dorośli:

Klinika Hematologii AM, 50-367 Wrocław, ul. Pasteura 4 Tel. (71) 78401 12/ (71) 784 25 76 (centrala), Fax 784 25 76

ZABRZE

Dzieci:

Samodzielny Miejski Publiczny Szpital Kliniczny nr 1 im. prof. Stanisława Szyszko UMŚ, Klinika Hematologii Dziecięcej 41-800 Zabrze, ul. 3 Maja 13/15 Tel.(32) 370 43 72 Fax (32)273 60 75

ZIELONA GÓRA

Dzieci:

Wojewódzki Szpital Kliniczny im. Karola Marcinkiewicza Sp. z o. o. Oddział Pediatrii, 65-045 Zielona Góra, ul. Zyty 26; Tel. (68) 329 63 88 (centrala), (68) 329 63 86 (ordynator) (68) 329 63 92/ 88 (oddział pediatrii)

Dorośli:

Wojewódzki Szpital Kliniczny im. Karola Marcinkiewicza Sp. z o. o., Oddział Hematologii, 65-045 Zielona Góra, ul. Zyty 26, Tel. (68) 329 63 72, (68) 329 63 78 (ordynator)

Kryteria włączenia i wyłączenia pacjentów chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne do wybranych celów szczegółowych Programu.

Uwaga: pacjent może być jednocześnie zakwalifikowany do więcej niż jednego modułu leczenia, jeżeli stale lub okresowo spełnia kryteria włączenia do każdego z nich.

A. HEMOFILIA A i B

1. Leczenie substytucyjne w hemofilii A i B

2. Leczenie epizodyczne („na żądanie”) w hemofilii A i B

Kryteria kwalifikacji:

- a) hemofilia A lub
- b) hemofilia B lub
- c) uzasadnione podejrzenie hemofilii A lub B poparte wywiadem rodzinnym oraz wynikiem oznaczenia APTT, w czasie oczekiwania na wynik oznaczenia aktywności czynnika VIII i IX lub
- d) kobieta – nosicielka hemofilii A lub B z aktywnością czynnika VIII lub IX bliską dolnej granicy normy (w przedziale 50-60%) oraz dodatnim wywiadem krwotocznym
- e) pacjent po skutecznej eradykacji inhibitora (immunotolerancji, ITI)

Kryteria wyłączenia:

- a) stwierdzenie obecności inhibitora o aktualnie wysokim mianie (powyżej 5 j.B./ml) lub w mianie niższym przy braku reakcji na czynnik VIII lub IX
- b) ustąpienie skazy krwotocznej lub zgon

3. Profilaktyka wtórna w hemofilii A i B

Kryteria kwalifikacji:

- a) rozpoznanie ciężkiej hemofilii A lub B lub w uzasadnionych przypadkach klinicznych (ciężki przebieg kliniczny, np. krwawienia do stawów) w umiarkowanej i łagodnej hemofilii A i B
- b) w przypadku toczącej się wtórnej profilaktyki można ją kontynuować.
- c) pacjent po skutecznej ITI

Kryteria wyłączenia:

- a) stwierdzenie obecności inhibitora o wysokim mianie (powyżej 5 j.B./ml) lub w mianie niższym przy braku reakcji na czynnik VIII lub IX.
- b) ustąpienie skazy krwotocznej lub zgon

4. Profilaktyka trzeciorzędowa w hemofilii A i B

Kryteria kwalifikacji:

- a) rozpoznanie hemofilii A lub B oraz
- b) co najmniej jedno krwawienie w miesiącu lub co najmniej trzy krwawienia do tego samego stawu w ciągu trzech miesięcy lub przebycie samoistnego krwawienia zagrażającego życiu, np. krwawienia do ośrodkowego układu nerwowego lub ciężka artropatia hemofilowa z dużym ryzykiem wystąpienia poważnych krwawień w układzie mięśniowo-szkieletowym. W przypadku toczącej się profilaktyki trzeciorzędowej można ją kontynuować.

Kryteria wyłączenia:

- a) stwierdzenie obecności inhibitora o wysokim mianie (powyżej 5 j.B./ml) lub w mianie niższym przy braku reakcji na czynnik VIII lub IX
- b) ustąpienie skazy krwotocznej lub zgon

5. Okresowa profilaktyka w hemofilii A i B

Kryteria kwalifikacji:

- a) rozpoznanie hemofilii A lub B oraz
- b) sytuacja kliniczna wymagająca zastosowania czasowej profilaktyki krwawień, np. leczenie zapalenia maziówki stawu, nawracające krwawienia w tej samej lokalizacji, fizjoterapia, okres zwiększonego wysiłku fizycznego, operacja chirurgiczna lub zabieg inwazyjny.

Kryteria wyłączenia:

- a) stwierdzenie obecności inhibitora w wysokim mianie (powyżej 5 j.B./ml) lub w mianie niższym przy braku reakcji na czynnik VIII/IX.
- b) ustąpienie skazy krwotocznej lub zgon

6. Stosowanie desmopresyny (DDAVP) w hemofilii A

Kryteria kwalifikacji:

rozpoznanie łagodnej lub umiarkowanej postaci hemofilii A, pod warunkiem uzyskania pozytywnego efektu działania desmopresyny DDAVP po dawce testowej, przy braku przeciwwskazań do desmopresyny DDAVP, każdorazowo przez czas nieprzekraczający 3-4 kolejnych dni

Kryteria wyłączenia:

- a) brak odpowiedzi na desmopresynę lub
- b) nietolerancja desmopresyny lub
- c) przeciwwskazania do stosowania desmopresyny
- d) ustąpienie skazy krwotocznej lub zgon

B. HEMOFILIA POWIKŁANA INHIBITOREM

1. Leczenie krwawień w hemofilii A i B powikłanej inhibitorem

1.1 Leczenie epizodyczne („na żądanie”) w hemofilii A i B powikłanej inhibitorem

Kryteria kwalifikacji:

- a) pacjenci z silną odpowiedzią immunologiczną, tj. miano przeciwciał ≥ 5 j.B./ml stale lub po wstrzyknięciu cz. VIII/cz. IX,
- b) pacjenci ze słabą odpowiedzią immunologiczną tj. miano przeciwciał stale na niskim poziomie < 5 j.B./ml.

Kryteria wyłączenia:

- a) eliminacja inhibitora
- b) ustąpienie skazy krwotocznej lub zgon

2. Długoterminowa profilaktyka krwawień w hemofilii A i B powikłanej inhibitorem

Kryteria kwalifikacji:

- a) pacjenci z silną odpowiedzią immunologiczną, tj. miano przeciwciał ≥ 5 j.B./ml stale lub po wstrzyknięciu cz. VIII/cz. IX,
- b) pacjenci ze słabą odpowiedzią immunologiczną tj. miano przeciwciał stale na niskim poziomie < 5 j.B./ml.
- c) nawracające krwawienia do stawów, mięśni i o innej lokalizacji (co najmniej jedno krwawienie w miesiącu lub co najmniej trzy krwawienia do tego samego stawu w ciągu trzech miesięcy lub przebyte samoistnego krwawienia zagrażającego życiu) lub
- d) oczekiwanie na zmniejszenie miana inhibitora przed włączeniem do programu wywołania tolerancji immunologicznej lub
- e) profilaktyka krwawień w trakcie wywoływania tolerancji immunologicznej,
- f) w przypadku toczącej się profilaktyki wtórnej lub trzeciorzędowej można ją kontynuować.

Kryteria wyłączenia

- a) eliminacja inhibitora
- b) ustąpienie skazy krwotocznej lub zgon

3. Program wywołania immunotolerancji (ITI) w hemofilii A i B powikłanej inhibitorem

Kryteria kwalifikacji:

pacjenci z hemofilią powikłaną inhibitorem zakwalifikowani na podstawie decyzji Zespołu Koordynującego ds. kwalifikacji i weryfikacji leczenia w programie leczenia i profilaktyki krwawień w hemofilii A i B oraz pokrewnych skazach krwotocznych.

Kryteria wyłączenia:

- a) osiągnięcie immunotolerancji (IT) w ciężkiej postaci hemofilii A definiowane jako: zmniejszenie miana inhibitora poniżej granicy wykrywalności, osiągnięcie czasu biologicznego półtrwania cz. VIII ≥ 6 h i stopnia jego odzyskania in vivo $\geq 66\%$ wartości przewidywanej przy braku odpowiedzi anamnestycznej po kolejnych ekspozycjach na cz. VIII. Po uzyskaniu IT stosuje się bezterminową profilaktykę, najczęściej podając koncentrat czynnika VIII 3 razy w tygodniu,
- b) stan IT w hemofilii B rozumiany jako wyeliminowanie inhibitora wykazane w teście Bethesda oraz przywrócenie parametrów farmakokinetycznych cz. IX charakterystycznych dla pacjentów z hemofilią B niepowikłaną inhibitorem oraz wykazanie skuteczności klinicznej wstrzyknięć koncentratu cz. IX. Po uzyskaniu IT stosuje się bezterminową profilaktykę, najczęściej podając cz. IX 2-3 razy w tygodniu.

C. NABYTA HEMOFILIA A

1. Leczenie hemostatyczne

Kryteria kwalifikacji:

- a) rozpoznanie nabytej hemofilii A lub
- b) uzasadnione podejrzenie nabytej hemofilii A (izolowane przedłużenie APTT oraz typowy obraz kliniczny, w oczekiwaniu na wyniki badań koagulologicznych) w sytuacji konieczności leczenia hemostatycznego z powodu zagrożenia zdrowia lub życia.

Kryteria wyłączenia:

- a) uzyskanie remisji choroby (cz. VIII > 50% oraz miano inhibitora < 0,6 jB) i brak objawów skazy krwotocznej.
- b) zgon

2. Eradykacja inhibitora (immunotolerancja)

Kryteria kwalifikacji:

- a) nabyta hemofilia A,
- b) niepowodzenie leczenia immunosupresyjnego.

Kryteria wyłączenia:

- a) przeciwwskazania do leczenia eradykującego inhibitor,
- b) uzyskanie remisji choroby (cz. VIII > 50% oraz miano inhibitora < 0,6 jB)
- c) zgon

D. CHOROBA VON WILLEBRANDA

1. Leczenie choroby von Willebranda

1.1. Leczenie koncentratami czynników krzepnięcia:

Kryteria kwalifikacji:

- a) rozpoznanie choroby von Willebranda lub uzasadnione podejrzenie choroby von Willebranda poparte wywiadem rodzinnym oraz obrazem klinicznym, w czasie oczekiwania na wynik oznaczenia aktywności i stężenia czynnika von Willebranda (vW), lub graniczna aktywność czynnika vW u osoby z dodatnim wywiadem krwotocznym,
- b) brak możliwości stosowania desmopresyny (z powodu typu 3 choroby, braku odpowiedzi w teście z desmopresyną, nietolerancji desmopresyny, przeciwwskazań medycznych lub charakteru operacji bądź natężeniu krwawienia) lub konieczność stosowania leczenia hemostatycznego powyżej 3-4 dni u osób chorych na chorobę von Willebranda leczonych desmopresyną.

Kryteria wyłączenia:

- a) obecność inhibitora czynnika von Willebranda.
- b) zgon

1.2. Stosowanie desmopresyny w chorobie von Willebranda

Kryteria kwalifikacji:

rozpoznanie łagodnej postaci choroby von Willebranda lub graniczna aktywność czynnika von Willebranda u osoby z dodatnim wywiadem krwotocznym, pod warunkiem uzyskania pozytywnego efektu działania desmopresyny po dawce testowej.

Kryteria wyłączenia:

- a) brak odpowiedzi na desmopresynę,
- b) nietolerancja desmopresyny,
- c) przeciwwskazania do stosowania desmopresyny
- d) zgon

2. Profilaktyka krwawień w chorobie von Willebranda

Kryteria kwalifikacji:

- a) rozpoznanie choroby von Willebranda,
- b) nawrotowe krwawienia do stawów, nawracające krwawienia z przewodu pokarmowego, krwawienia z nosa, jamy ustnej i inne nawracające krwawienia wymagające częstego leczenia substytucyjnego lub krwotoczne i/lub przedłużające się krwawienia miesięczne lub stan po samoistnym krwawieniu zagrażającym życiu

Kryteria wyłączenia:

- a) obecność inhibitora czynnika von Willebranda
- b) zgon

3. Choroba von Willebranda powikłana alloprzeciwciałami wobec czynnika von Willebranda

Kryteria kwalifikacji:

stwierdzenie obecności alloprzeciwciał wobec czynnika von Willebranda u osoby chorej na wrodzoną chorobę von Willebranda.

Kryteria wyłączenia:

- a) eliminacja inhibitora czynnika von Willebranda
- b) zgon

E. Nabyty zespół von Willebranda

Kryteria kwalifikacji:

rozpoznanie nabytego zespołu von Willebranda.

Kryteria wyłączenia:

- a) remisja choroby (normalizacja aktywności czynnika von Willebranda i czynnika VIII)
- b) zgon

F. Niedobory fibrynogenu

Afibrynogenemia

Kryteria kwalifikacji:

rozpoznanie wrodzonej afibrynogenemii.

Kryteria wyłączenia:

zgon

UWAGA: decyzja o prowadzeniu profilaktyki krwawień należy do lekarza prowadzącego

Hipo/dysfibrynogenemia

Kryteria kwalifikacji:

rozpoznanie wrodzonej hipofibrynogenemii lub dysfibrynogenemii.

Kryteria wyłączenia:

zgon

UWAGA: decyzja o prowadzeniu profilaktyki krwawień należy do lekarza prowadzącego

G. Niedobór protrombiny

Kryteria kwalifikacji:

rozpoznanie wrodzonego lub nabytego niedoboru protrombiny

Kryteria wyłączenia:

zgon lub wyleczenie skazy krwotocznej

UWAGA: decyzja o prowadzeniu profilaktyki krwawień należy do lekarza prowadzącego

H. Niedobór czynnika V, niedobór czynnika V powikłany inhibitorem (alloprzeciwciała) wobec cz. V oraz nabyty inhibitor (autoopreciwciała) czynnika V

Kryteria kwalifikacji:

- a) rozpoznanie wrodzonego niedoboru cz. V w przypadku braku odpowiedzi na FFP i KKP lub w przypadku wytworzenia inhibitora cz. V
- b) rozpoznanie nabytego niedoboru cz. V (na tle autoopreciwciał).

Kryteria wyłączenia:

ustąpienie skazy krwotocznej lub zgon

UWAGA: decyzja o prowadzeniu profilaktyki krwawień należy do lekarza prowadzącego

I. Niedobór czynnika VII (hypoprokonwertynemia)

Kryteria kwalifikacji:

rozpoznanie wrodzonego niedoboru czynnika VII.

Kryteria wyłączenia:

zgon

UWAGA: decyzja o prowadzeniu profilaktyki krwawień należy do lekarza prowadzącego

J. Niedobór czynnika X

Kryteria kwalifikacji:

rozpoznanie wrodzonego lub nabytego niedoboru cz. X.

Kryteria wyłączenia:

zgon lub wyleczenie skazy krwotocznej

UWAGA: decyzja o prowadzeniu profilaktyki krwawień należy do lekarza prowadzącego

K. Niedobór czynnika XI

Kryteria kwalifikacji:

rozpoznanie wrodzonego lub nabytego niedoboru czynnika XI

Kryteria wyłączenia:

zgon

UWAGA: decyzja o prowadzeniu profilaktyki krwawień należy do lekarza prowadzącego

L. Niedobór czynnika XIII

Kryteria kwalifikacji do bezterminowej profilaktyki i leczenia na żądanie:
rozpoznanie wrodzonego lub nabytego niedoboru czynnika XIII

Kryteria wyłączenia:
zgon

Ł. Złożony niedobór czynnika V i czynnika VIII

Kryteria kwalifikacji:
rozpoznanie wrodzonego złożonego niedoboru czynnika VIII i czynnika V

Kryteria wyłączenia:
zgon

UWAGA: decyzja o prowadzeniu profilaktyki krwawień należy do lekarza prowadzącego

M. Złożony wrodzony niedobór czynnika II, czynnika VII, czynnika IX i czynnika X

Kryteria kwalifikacji:
rozpoznanie wrodzonego złożonego niedoboru czynnika II, czynnika VII, czynnika IX i czynnika X.

Kryteria wyłączenia:
zgon

UWAGA: decyzja o prowadzeniu profilaktyki krwawień należy do lekarza prowadzącego

N. Obecność inhibitora czynnika II, VII, X, XI lub XIII (alo- lub autoprzeciwciał)

Kryteria kwalifikacji:
rozpoznanie inhibitora czynnika II, V, VII, X, XI lub XIII (alo- lub autoprzeciwciał)

Kryteria wyłączenia:

- a) eradykacja inhibitora
- b) zgon lub wyleczenie skazy krwotocznej

UWAGA: decyzja o prowadzeniu profilaktyki krwawień należy do lekarza prowadzącego

O. Trombastenia Glanzmanna

Kryteria kwalifikacji:
rozpoznanie trombastenii Glanzmanna.

Kryteria wyłączenia:
zgon

UWAGA: decyzja o prowadzeniu profilaktyki krwawień należy do lekarza prowadzącego

P. Zespół Bernarda-Souliera

Kryteria kwalifikacji:
rozpoznanie zespołu Bernarda-Souliera.

Kryteria wyłączenia:
zgon

UWAGA: decyzja o prowadzeniu profilaktyki krwawień należy do lekarza prowadzącego

R. Inne łagodne wrodzone trombocytopatie

Kryteria kwalifikacji:
rozpoznanie trombocytopatii innej niż trombastenia Glanzmanna i zespół Bernarda-Souliera

Kryteria wyłączenia:
zgon

UWAGA: decyzja o prowadzeniu profilaktyki krwawień należy do lekarza prowadzącego

REJESTR WSTRZYKNIĘĆ KONCENTRATÓW CZYNNIKÓW KRZEPNIĘCIA LUB DESMOPRESYNY CHOREGO NA WRODZONĄ SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

Prawidłowe i regularne wypełnianie rejestru jest niezwykle ważne!

DANE PACJENTA

Nazwisko i Imię:

PESEL

Adres:

Telefon:

e.mail:

Masa ciała (kg)						
Data – jeśli zmiana \pm 5 kg						

Osoba opiekująca się:

Rozpoznanie (rodzaj i stopień ciężkości skazy krwotocznej):

Aktywność niedoborowego czynnika krzepnięcia:

Inne ważne wyniki badań (np. testy w kierunku inhibitora)

Ośrodek sprawujący opiekę nad chorym:

Adres:

Telefony:

Lekarz prowadzący:

Telefon:

Ośrodek wydający koncentrat czynnika krzepnięcia:

Telefon:

program polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia
Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018

Data podania	Przyczyna podania	Nazwa koncentratu	Seria	Ilość jednostek	Objawy uboczne Uwagi