

AKCEPTUJĘ

z upoważnienia Ministra Zdrowia

Waldemar Kraska

Sekretarz Stanu

/dokument podpisany elektronicznie/¹

Minister Zdrowia

PROGRAM POLITYKI ZDROWOTNEJ

Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne

OKRES REALIZACJI

Lata 2019-2023

Podstawa prawna: art. 48 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r. poz. 1510, t.j. z 8 sierpnia 2018 r.)

Warszawa, 2018 r.

¹Data akceptacji zgodna z datą złożenia podpisu przez osobę akceptującą

Autorzy programu:

1. prof. dr hab. n. med. Jerzy Windyga - Kierownik Kliniki Zaburzeń Hemostazy i Chorób Wewnętrznych Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie,
2. dr n. med. Joanna Zdziarska - Oddział Kliniczny Hematologii Szpitala Uniwersyteckiego w Krakowie
3. prof. dr hab. n. med. Krystyna Zawilska - Grupa ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów,
4. prof. dr hab. Jerzy Robert Ładny - Konsultant Krajowy w dziedzinie medycyny ratunkowej,
5. prof. dr hab. n. med. Piotr Marek Radziwon - Konsultant Krajowy w dziedzinie transfuzjologii klinicznej,
6. prof. dr hab. n. med. Wiesław Wiktor Jędrzejczak - Konsultant Krajowy w dziedzinie hematologii,
7. dr hab. n. med. Paweł Łaguna - Oddział Kliniczny Hematologii i Pediatrii Samodzielnego Publicznego Dziecięcego Szpitala Klinicznego w Warszawie,
8. dr n. med. Magdalena Górską-Kosicka - Klinika Zaburzeń Hemostazy i Chorób Wewnętrznych Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie,
9. Bogdan Gajewski - Prezes Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię,
10. Zbigniew Babiak - Prezes Stowarzyszenia Chorych na Wrodzone Skazy Krwotoczne,
11. mgr farm. Joanna Królak-Buzakowska - Specjalista w Wydziale Refundacyjno-Analitycznym w Departamencie Polityki Lekowej i Farmacji w Ministerstwie Zdrowia,
12. lek. med. Mirosława Stocka-Mirońska - Naczelnik Wydziału Ratownictwa Medycznego w Departamencie Ratownictwa Medycznego i Obronności w Ministerstwie Zdrowia,
13. dr n. farm. Beata Rozbicka – Dyrektor Narodowego Centrum Krwi,
14. Krystyna Bylicka - Kierownik Wydziału Programowania, Analiz i Programów Polityki Zdrowotnej w Narodowym Centrum Krwi,
15. mgr Ryszard Jakubowski - Starszy specjalista w Wydziale Programowania, Analiz i Programów Polityki Zdrowotnej w Narodowym Centrum Krwi.

Wykaz pojęć i skrótów

NCK Narodowe Centrum Krwi

RCKiK Regionalne Centrum Krwiodawstwa i Krwiolecznictwa

SOR Szpitalny Oddział Ratunkowy

IP Izba Przyjęć

ZRM Zespół ratownictwa medycznego

NFZ Narodowy Fundusz Zdrowia

AOTMiT Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

URPLW MiPB Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych

Spis treści

I. Opis choroby lub problemu zdrowotnego i uzasadnienie wprowadzenia programu polityki zdrowotnej.....	5
I.1. Opis problemu zdrowotnego.....	5
I.2. Dane epidemiologiczne.....	8
I.3. Opis obecnego postępowania.....	22
II. Cele programu polityki zdrowotnej i mierniki efektywności jego realizacji.....	24
II.1. Cel główny.....	24
II.2. Cele szczegółowe.....	24
II.3. Mierniki efektywności realizacji programu polityki zdrowotnej.....	25
III. Charakterystyka populacji docelowej oraz charakterystyka interwencji, jakie są planowane w ramach programu polityki zdrowotnej.....	28
III.1. Populacja docelowa.....	28
III.2. Kryteria kwalifikacji do udziału w programie polityki zdrowotnej oraz kryteria wyłączenia z programu polityki zdrowotnej.....	28
III.3. Planowane interwencje.....	30
III.4. Sposób udzielania świadczeń zdrowotnych w ramach programu polityki zdrowotnej...	37
III.5. Sposób zakończenia udziału w programie polityki zdrowotnej.....	37
IV. Organizacja programu polityki zdrowotnej.....	38
IV.1. Etapy programu polityki zdrowotnej i działania podejmowane w ramach etapów.....	38
IV.2. Warunki realizacji programu polityki zdrowotnej dotyczące personelu, wyposażenia i warunków lokalowych.....	39
V. Sposób monitorowania i ewaluacji programu polityki zdrowotnej.....	40
V.1. Monitorowanie.....	40
V.2. Ewaluacja.....	41
VI. Budżet programu polityki zdrowotnej.....	41
VI.1. Koszty jednostkowe.....	42
VI.2. Koszty całkowite.....	43
VI.3. Źródła finansowania.....	45
VII. Bibliografia.....	46
Załącznik nr 1 - Karta postępowania.....	47
Załącznik nr 2 - Kalkulacja szkoleń realizowanych wspólnie przez ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, którym powierzono funkcję konsultacyjną i szkoleniową.	49
Załącznik nr 3 - Tematyka szkoleń realizowanych wspólnie przez ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, którym powierzono funkcję konsultacyjną i szkoleniową	50
Załącznik nr 4 - Lista realizatorów Programu w zakresie interwencji „ <i>powołanie i funkcjonowanie ośrodków leczenia hemofilii i pokrewne skazy krwotoczne i objęcie pacjentów kompleksową opieką w tych ośrodkach</i> ” dla dorosłych.....	52
Załącznik nr 5 - Lista realizatorów Programu w zakresie interwencji „ <i>powołanie i funkcjonowanie ośrodków leczenia hemofilii i pokrewne skazy krwotoczne i objęcie pacjentów kompleksową opieką w tych ośrodkach</i> ” dla dzieci.....	54
Załącznik nr 6 - Wykaz informacji, jakie powinny znaleźć się w karcie chorego na hemofilię.....	56

Załącznik nr 7 - Wykaz obowiązujących w Polsce rekomendacji dotyczących leczenia chorych na skazy krwotoczne.....	58
Załącznik nr 8 - Procedura wdrażania nowej terapii	59
Załącznik nr 9 - Zamówienie na emicizumab	60
Załącznik nr 10 – Deklaracja o braku lub ujawnieniu konfliktu interesów	61
Załącznik nr 11 – Wzór zgłoszenia pacjenta do dostaw domowych	62

I. Opis choroby lub problemu zdrowotnego i uzasadnienie wprowadzenia programu polityki zdrowotnej.

I.1. Opis problemu zdrowotnego.

Problem zdrowotny obejmuje wrodzone i nabyte niedobory czynników krzepnięcia oraz immunokoagulopatie i trombocytopatie, które są chorobami rzadko występującymi.

Najczęściej odnotowywana w Polsce skaza krwotoczna to hemofilia. Istnieją dwa rodzaje hemofilii: hemofilia A powodowana niedoborem czynnika krzepnięcia VIII i hemofilia B, której przyczyną jest niedobór czynnika krzepnięcia IX. Czynniki krzepnięcia są to białka występujące w osoczu krwi, które odpowiadają za wieloetapowy proces krzepnięcia krwi. Częstość występowania hemofilii w Polsce oceniono na 1:12 300 mieszkańców. 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 (*aktywność czynnika VIII lub IX <1 j.m./dl*), umiarkowany (*1-5 j.m./dl*) lub łagodny (*>5-50 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.

Za najczęściej występującą na świecie wrodzoną skazą krwotoczną uznaje się chorobę von Willebranda. Ocenia się, że objawowa choroba von Willebranda występuje z częstością 1 na 1 000-10 000 osób, zaś bezobjawowe wrodzone defekty czynnika von Willebranda stwierdza się nawet u co 100 osoby (*1% ogółu ludności*). Niedobory pozostałych czynników krzepnięcia (*fibrynogenu, czynników: II, V, VII, X, XI, XIII*) spotyka się rzadko. W Polsce (podobnie jak w innych krajach europejskich) czwartą najczęściej występującą wrodzoną skazą krwotoczną wynikającą z niedoboru czynnika krzepnięcia krwi jest hypoprokonwertynemia, czyli niedobór czynnika VII.

Tak jak w przypadku innych rzadko występujących chorób, koszty leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych są wysokie. Wytwarzanie koncentratów czynników krzepnięcia, stanowiących podstawę terapii, jest oparte o nowoczesne i zaawansowane technologie, co tłumaczy ich wysoką cenę. Jedynie część grupy pacjentów z łagodnymi postaciami hemofilii A, choroby von Willebranda lub innych skaz krwotocznych, kwalifikuje się do leczenia desmopresyną. Desmopresyna jest to produkt leczniczy powodujący zwiększenie stężenia we krwi czynnika VIII i czynnika von Willebranda, a także produkt wykorzystywany we wrodzonych płytkowych skazach krwotocznych.

Pacjenci z niedoborami czynników krzepnięcia krwi wymagają zapewnienia szybkiego i stałego dostępu do koncentratów czynników krzepnięcia lub w niektórych przypadkach desmopresyny. Bez stałego dostępu do tych produktów leczniczych nie jest możliwe płynne prowadzenie długoterminowej profilaktyki. Ponadto, w przypadku leczenia na żądanie, im szybciej zostanie wstrzyknięty odpowiedni koncentrat, tym szybciej zostanie zahamowane krwawienie.

Samoistne krwawienia do stawów są głównym objawem ciężkiej hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych. Bardzo niebezpieczne są samoistne krwawienia do narządów wewnętrznych i jam ciała, np. wylewy krwi śródczaszkowe, krwotoki z przewodu pokarmowego, 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 żadna operacja chirurgiczna i zabieg inwazyjny nie mogą być bezpiecznie przeprowadzone u osób z wrodzonymi skazami krwotocznymi bez uzupełnienia (*substytucji*) niedoborowego czynnika krzepnięcia krwi.

Wysoki standard opieki medycznej nad omawianą grupą pacjentów mogą zapewnić jedynie wybrane ośrodki medyczne, albowiem tak jak w przypadku innych, rzadko występujących chorób, liczba ekspertów w omawianej dziedzinie jest stosunkowo niewielka, a odpowiednia baza laboratoryjna i doświadczona kadra medyczna są zgrupowane w nielicznych ośrodkach o profilu hematologii oraz onkologii i hematologii dziecięcej.

Jednym z największych wyzwań w opiece nad omawianą grupą pacjentów jest właściwa organizacja tej opieki. Od dekad wiadomo, że rzadko występujące choroby stanowią problem dla systemów opieki zdrowotnej. Niewielka liczba ekspertów dedykowanych rzadko występującej chorobie (*lub grupie chorób, jak to ma miejsce w przypadku skaz krwotocznych*) powoduje, że najlepszym rozwiązaniem jest „koncentrowanie wiedzy” w danej dziedzinie w wyspecjalizowanych ośrodkach medycznych. Liczba takich dedykowanych ośrodków w danym kraju powinna odpowiadać skali problemu. W ośrodkach musi być dostępna odpowiednia baza laboratoryjna, gdyż niektóre testy laboratoryjne są ściśle dedykowane rozpoznawaniu i monitorowaniu wyłącznie skaz krwotocznych. Nadto ośrodki te muszą dysponować doświadczoną kadrami lekarsko-pielęgniarską, współpracować ze specjalistami z innych dziedzin w celu zapewnienia kompleksowej opieki dla chorych na wrodzone i nabyte skazy krwotoczne. Najbardziej wyspecjalizowane ośrodki medyczne powinny ponadto uczestniczyć w naukowych programach badawczych i szkoleniowo-edukacyjnych w celu podnoszenia wiedzy w danej dziedzinie na terenie działania ośrodka i w skali całego kraju. Najlepszy model organizacji opieki nad omawianą grupą chorych, to sieć współpracujących ze sobą wyspecjalizowanych poradni, klinik, oddziałów szpitalnych o profilu hematologii oraz onkologii i hematologii dziecięcej, z wyodrębnionymi dwoma ośrodkami krajowymi (*dla dorosłych oraz dla dzieci*). Sieć ta powinna być powiązana systemami elektronicznymi umożliwiającymi zbieranie danych epidemiologicznych i medycznych na temat pacjentów, co z kolei pozwoli lepiej planować dalsze działania leczniczo-organizacyjne na tym polu. Taki model organizacji leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne został wdrożony w wielu krajach, np. w Wielkiej Brytanii, we Włoszech, w Czechach, w Słowacji, w Irlandii, w Niemczech. Trzeba podkreślić, że wyspecjalizowane ośrodki muszą współpracować z lekarzami podstawowej opieki zdrowotnej i innymi podmiotami leczniczymi, gdzie pacjenci z wrodzonymi i nabytymi skazami krwotocznymi wciąż będą trafiać.

W celu zapewnienia koncentratów czynników krzepnięcia, a także opieki tej grupie chorych, w 2001 r. powstał pierwszy w Polsce „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 stopniowego wzrostu nakładów na zakup koncentratów czynników krzepnięcia. Kolejne Programy stanowiły kontynuację ww. Programu.

W 2008 r. wdrożono powszechny program profilaktyki krwawień u dzieci w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego pn. „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”, finansowanego przez Narodowy Fundusz Zdrowia (*który w 2012 roku stał się programem lekowym*). Od 2008 r. koncentraty czynników krzepnięcia w Polsce dostępne są w ramach dwóch programów, jednego finansowanego przez ministra właściwego do spraw zdrowia i drugiego przez NFZ.

Sukcesem Polski w zaopatrzeniu koncentratów czynników krzepnięcia, którego nie wolno zaprzepaścić, jest uzyskiwanie niskich cen produktów leczniczych. Uzyskanie niskich cen jest możliwe dzięki sposobowi udzielania zamówień publicznych w ramach programu ministra właściwego ds. zdrowia pn.: „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018”. W ramach tego programu do przetargu może być zgłoszony dowolny produkt leczniczy dopuszczony do obrotu w danym rodzaju w Polsce lub w Unii Europejskiej, co zwiększa konkurencyjność.

W ramach programu ministra właściwego ds. zdrowia pn.: „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018”, wprowadzono powszechną immunotolerancję, wtórną profilaktykę u

dorosłych chorych oraz wtórną profilaktykę dla dzieci, które nie mogą korzystać z wyżej wymienionego programu lekowego (np. z uwagi na inhibitor).

Dostęp do koncentratów czynników krzepnięcia dzięki omawianym programom jest nieprzerwany. Wyzwaniem natomiast pozostaje organizacja, w tym dostęp do wyspecjalizowanych ośrodków, który poza funkcjonującymi od wielu lat dwoma ośrodkami w Warszawie jest bardzo ograniczony.

Konieczność wyspecjalizowania ośrodków zapewniających optymalną opiekę dla pacjentów ze skazami krwotocznymi w Polsce jest postulowana od lat w kolejnych edycjach programu. Obecnie leczeniem tej grupy pacjentów zajmują się lekarze pracujący w różnych podmiotach leczniczych. Większość tych podmiotów zaspokaja jedynie podstawowe potrzeby pacjentów ze skazami krwotocznymi (*dostęp do podstawowych testów laboratoryjnych, wstrzyknięcie koncentratu lub wydanie zamówienia na odbiór koncentratu do leczenia domowego*), a w przypadku wystąpienia poważniejszych problemów zdrowotnych, jak np. konieczność przeprowadzenia operacji chirurgicznej, hospitalizacji z powodu ciężkiego krwawienia, poprowadzenia programu wywołania tolerancji immunologicznej lub koordynacji leczenia różnych chorób współistniejących, pacjenci są kierowani do ośrodków w Warszawie oraz zaledwie kilku innych ośrodków zapewniających rzeczywistą kompleksową opiekę nad tą grupą chorych. Niejednokrotnie chorzy ci trafiają do placówek służby zdrowia, które nie mają doświadczenia w leczeniu pacjentów ze skazami krwotocznymi, co prowadzi do opóźnień w diagnostyce i terapii, np. podawania zbyt małej lub zbyt dużej ilości koncentratu czynnika krzepnięcia. Chorzy na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne mają ograniczony dostęp do świadczeń specjalistycznych, często spotykają się z odmową wykonania nawet drobnych zabiegów inwazyjnych. Dotychczasowy sposób realizacji Programu uniemożliwiał sprawowanie pełnego nadzoru nad leczeniem domowym. Taki stan rzeczy powoduje, że pacjenci mają co prawda dobry dostęp do koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny, ale już nie do eksperckiej wiedzy, bez której optymalne wykorzystanie koncentratów czynników krzepnięcia dla dobra pacjentów nie jest możliwe.

Aby zapewnić pacjentom możliwość leczenia w kompleksowych ośrodkach zapewniających nie tylko leczenie szpitalne, ale również z zakresu leczenia ambulatoryjnego, Ministerstwo Zdrowia podjęło kroki nad zmianą taryfikacji tych świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.

W ocenie autorów Programu, pośrednio służy on realizacji następujących priorytetów zdrowotnych:

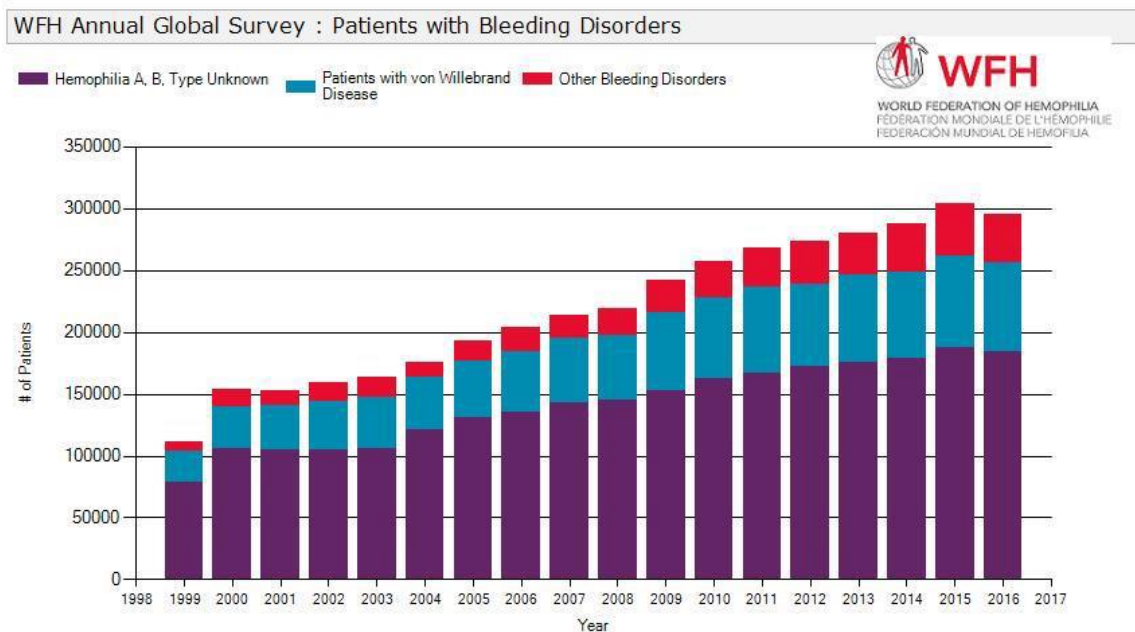
- umożliwieniu rehabilitacji,
- tworzeniu warunków sprzyjających utrzymaniu i poprawie zdrowia w środowisku nauki, pracy i zamieszkania,
- poprawie jakości skuteczności opieki okołoporodowej,
- poprawie jakości leczenia bólu oraz monitorowaniu skuteczności tego leczenia.

I.2. Dane epidemiologiczne.

I.2.1. Dane epidemiologiczne na świecie i w Europie.

Zgodnie z danymi World Federation of Hemophilia częstość występowania hemofilii ocenia się na około 1 na 10 000 urodzeń. Na podstawie corocznych, globalnych badań prowadzonych przez WFH, liczbę osób chorych na hemofilię na całym świecie szacuje się na około 400 000², przy czym zidentyfikowanych i potwierdzonych przypadków jest ok. 300 000.

Szczegółowe dane World Federation of Hemophilia wskazują na trend wzrostu liczby osób chorych w poszczególnych latach.³



Rycina 1. Liczba zdiagnozowanych pacjentów chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.

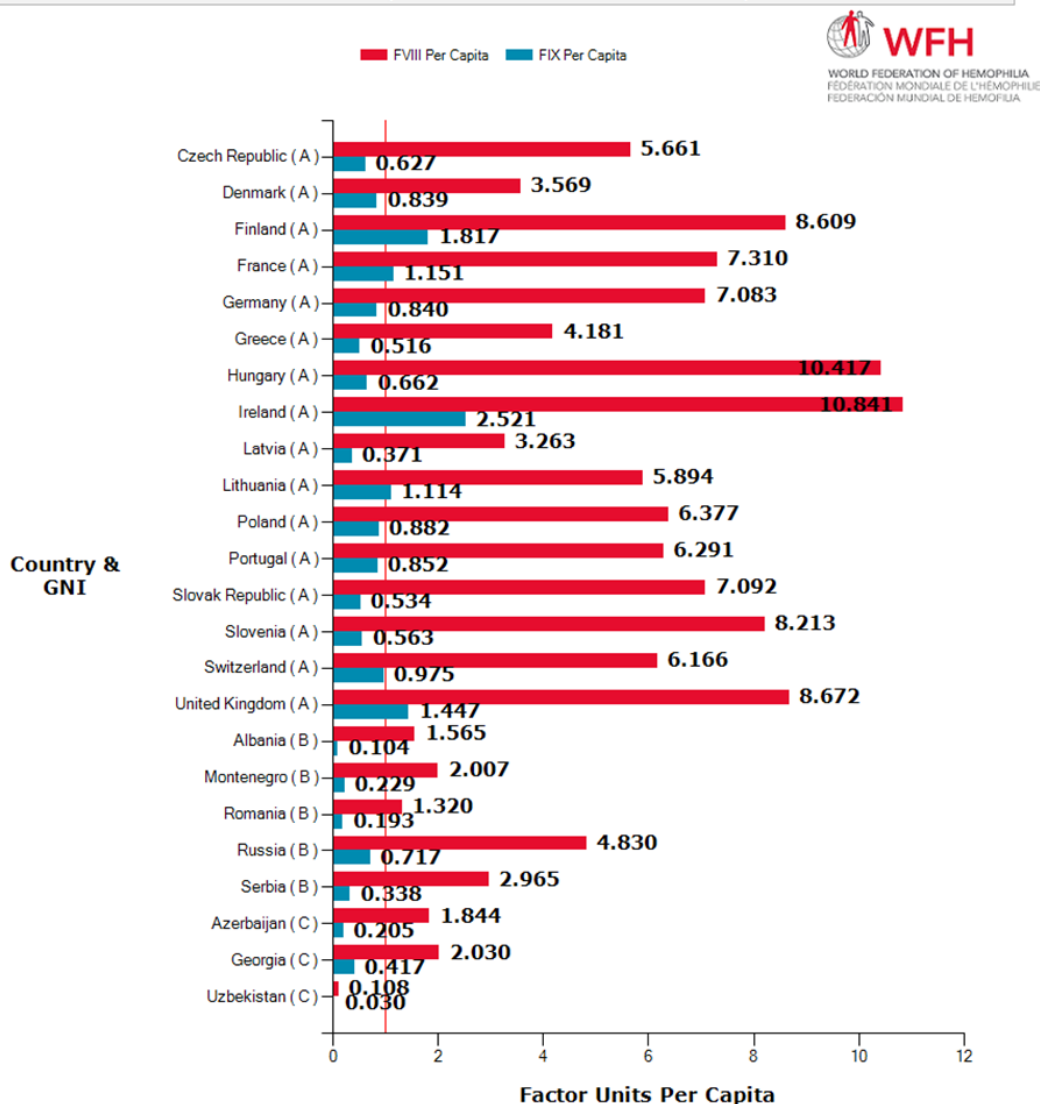
Poziom zaopatrzenia w koncentraty czynników krzepnięcia VIII i IX w wybranych krajach europejskich kształtuje się następująco:⁴

²Srivastava, A., Brewer, A. K., Mauser-Bunschoten, E. P., Key, N. S., Kitchen, S., Llinas, A., ... & Street, A. (2013). Guidelines for the management of hemophilia. *Haemophilia*, 19(1).

³World Federation of Hemophilia report on the Annual Global Survey 2016, październik 2017, str. 6.

⁴Źródło: Ekonomiczna klasyfikacja bazująca na danych Banku Światowego 2016 ranking wg PNB "Gross national income (GNI) per capita, Atlas metod (US\$)". (Produkt Narodowy Brutto w USD: D dochód niski, 0-1,005 USD; C dochód średni niższy, 1,006 USD - 3,955 USD; B dochód średni wyższy, 3,956 USD - 12,235 USD and A dochód wysoki równy lub większy 12,235 USD) (Regions na podstawie klasyfikacji Światowej Organizacji Zdrowia.) Pionowa linia wskazuje poziom 1 j. m. na mieszkańca. Światowa Federacja Hemofilii wskazuje, że 1 j. m. czynnika VIII na mieszkańca powinna być minimalnym celem dla krajów

WFH Annual Global Survey : Factors VIII and IX Units Per Capita in 2016



Rycina 2. Wskaźnik zużycia czynnika VIII i IX na mieszkańca w 2016 roku.

I.2.2. Dane epidemiologiczne w Polsce.

I.2.2.1. Mapy potrzeb zdrowotnych.

dążących do przetrwania chorych na hemofilię. Wyższe poziomy mają na celu osiągnięcie porównywalnego poziomu życia chorych na hemofilię do osób bez hemofilii. Pionowa linia nie odnosi się do czynnika IX. Uwzględniono tylko kraje, które wypełniły ankietę za 2016 rok.

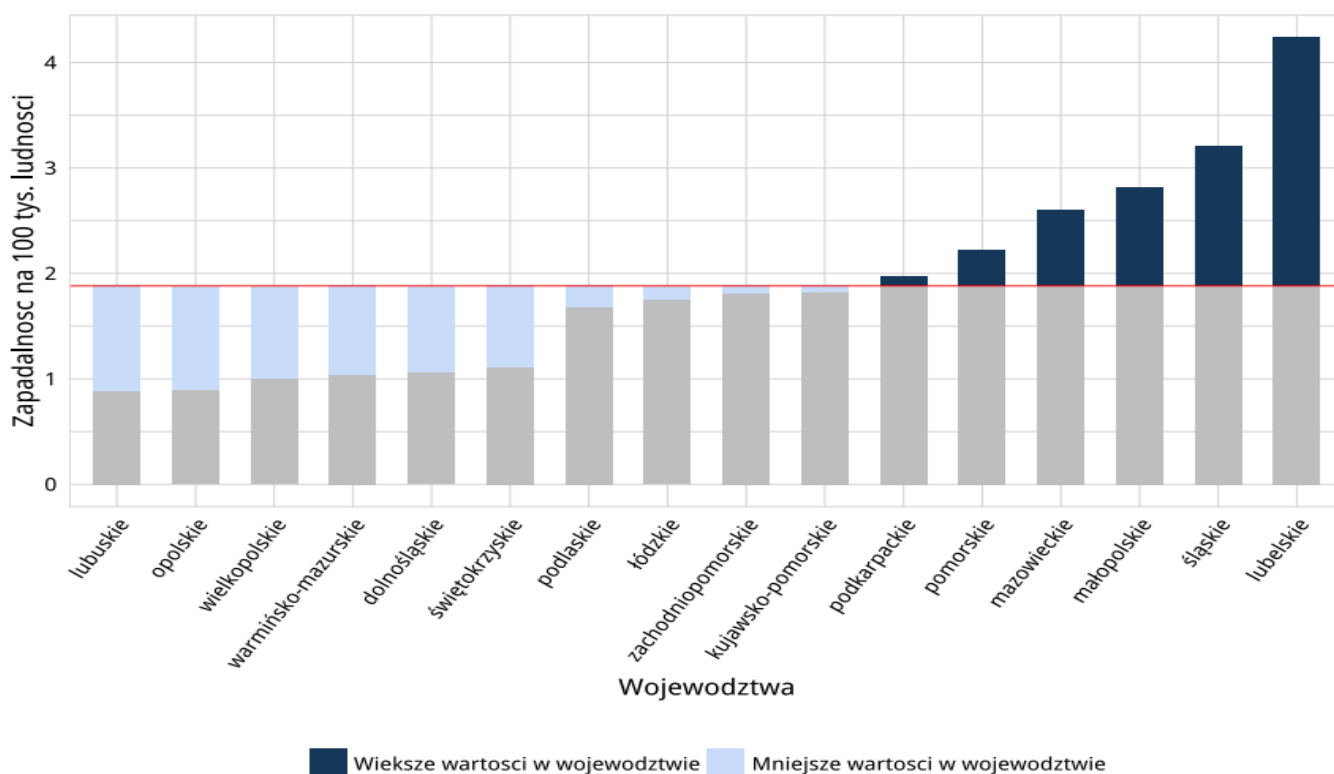
W mapach potrzeb zdrowotnych z zakresu chorób krwi i układu odpornościowego dane dotyczące wybranych jednostek chorobowych z zakresu hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych zostały uwzględnione w niektórych podgrupach wymienionych w tabeli 1.

Mapy potrzeb zdrowotnych opierają się na danych dotyczących szerszej populacji chorych niż grupa docelowa objęta Programem, wobec czego populacja chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne stanowi tylko odsetek pacjentów ujętych w mapach potrzeb zdrowotnych.

Podgrupa	Kod ICD10	Jednostka chorobowa
Zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne (wrodzone)	D66	Dziedziczny niedobór czynnika VIII
	D67	Dziedziczny niedobór czynnika IX
	D68.0	Choroba von Willebranda
	D68.1	Dziedziczny niedobór czynnika XI
	D68.2	Dziedziczny niedobór innych czynników krzepnięcia
Zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne (nabyte)	D47.3	Samoistna trombocytopenia (krwotoczna)
	D65	Rozsiane wykrzepianie wewnątrznaczyniowe
	D68.3	Skazy krwotoczne zależne od obecności krążących antykoagulantów
	D68.4	Nabyty niedobór czynników krzepnięcia
	D68.8	Inne określone zaburzenia krzepnięcia
	D68.9	Nieokreślone zaburzenia krzepnięcia
	D69	Plamica i inne skazy krwotoczne

Tabela 1. Choroby krwi i układu odpornościowego wg klasyfikacji ICD 10

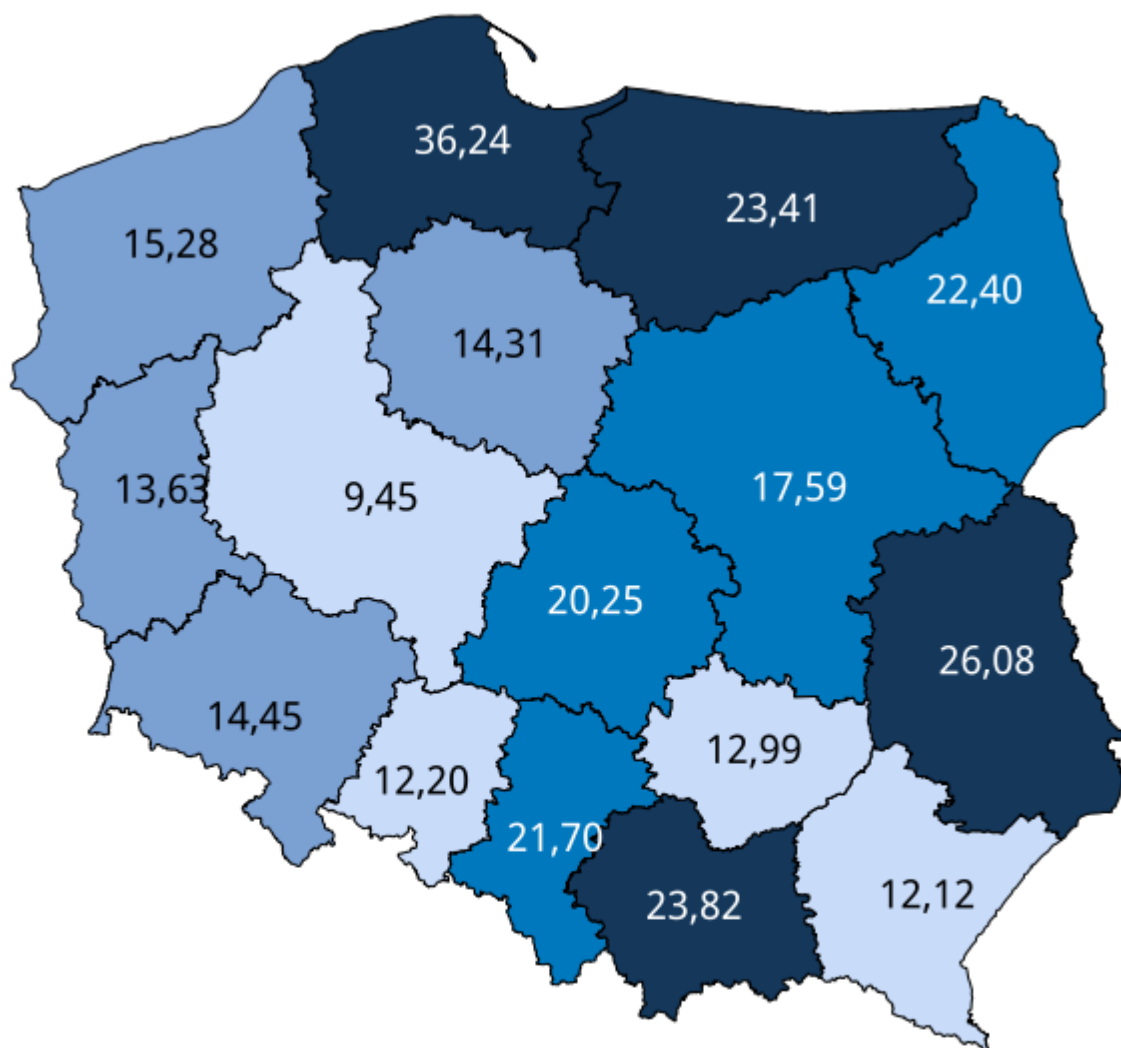
Zgodnie z mapami potrzeb zdrowotnych, zapadalność rejestrowana dla rozpoznań z grupy Zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne (wrodzone) w roku 2014 wyniosła 0,8 tysięcy przypadków w Polsce. Natomiast współczynnik zapadalności rejestrowanej na 100 tys. ludności wyniósł 2,1. Najwyższe wskaźniki zapadalności rejestrowanej na 100 tysięcy osób odnotowano w województwach: lubelskim (4,24), śląskim (3,21), małopolskim (2,82) oraz mazowieckim (2,61).



Źródło: Opracowanie DAiS na podstawie danych NFZ i GUS.

Rycina 3. Wskaźnik zapadalności rejestrowanej na wrodzone zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne na 100 tys. osób w 2014 roku w Polsce, zgodnie z mapami potrzeb zdrowotnych

Liczbę chorych w analizowanej podgrupie w Polsce oszacowano na 7,2 tysięcy (w przeliczeniu na 100 tysięcy mieszkańców, było to 19,0). Najwyższe wskaźniki chorobowości rejestrowanej na 100 tysięcy osób odnotowano w województwach: pomorskim (36,24), lubelskim (26,08), małopolskim (23,82) oraz warmińsko-mazurskim (23,41).



Źródło: Opracowanie DAiS na podstawie danych NFZ i GUS.

Rycina 4. Wskaźnik chorobowości rejestrowanej na wrodzone zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne na 100 tys. osób w Polsce w 2014 roku, według miejsca zamieszkania pacjenta, zgodnie z mapami potrzeb zdrowotnych.

Województwo	Łączna liczba hospitalizacji (w tym tryb jednolodowy)	Liczba hospitalizacji trwających 1 dzień (bez trybu jednolodowego) Liczba hosp. w trybie jednolodowym	% hosp. spoza województwa	Liczba hosp. pacj. z tego woj. w innych woj.	Liczba hosp. na 100 tys. ludności
dolnośląskie	75	59	12,0	23	2,58
kujawsko-pomorskie	10	1	-	21	0,48
lubelskie	32	28	3,1	11	1,49
lubuskie	16	5	6,2	23	1,57
łódzkie	21	4	4,8	14	0,84
małopolskie	16	-	-	3	0,48
mazowieckie	241	94	38,2	3	4,52
opolskie	6	1	-	6	0,60
podkarpackie	9	-	11,1	5	0,42
podlaskie	8	1	25,0	1	0,67
pomorskie	38	30	7,9	4	1,65
śląskie	29	12	-	9	0,63
świętokrzyskie	1	-	-	5	0,08
warmińsko-mazurskie	4	1	-	10	0,28
wielkopolskie	394	373	11,4	14	11,35
zachodniopomorskie	21	7	9,5	5	1,22

Źródło: Opracowanie DAiS na podstawie danych NFZ i GUS.

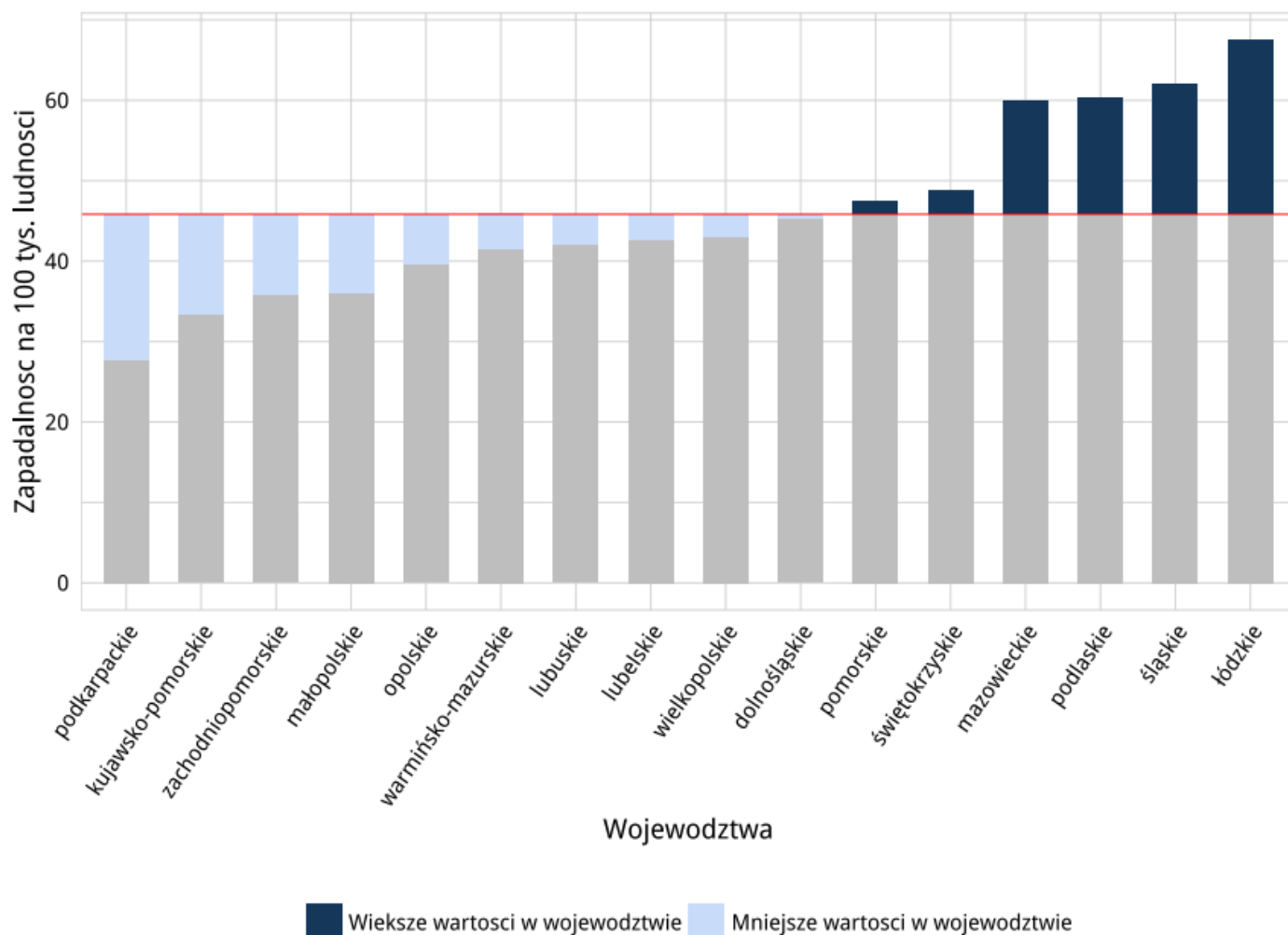
Tabela 2. Dane w zakresie liczby i struktury hospitalizacji z powodu chorób z podgrupy Zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne (wrodzone) wśród osób dorosłych w 2014 r. w Polsce, zgodnie z mapami potrzeb zdrowotnych.

Województwo	Łączna liczba hospitalizacji (w tym tryb jednolodowy)	Liczba hospitalizacji trwających 1 dzień (bez trybu jednolodowego) Liczba hosp. w trybie jednolodowym	% hosp. spoza województwa	Liczba hosp. pacj. z tego woj. w innych woj.	Liczba hosp. na 100 tys. ludności
dolnośląskie	60	45	13,3	1	2,06
kujawsko-pomorskie	25	7	4,0	3	1,20
lubelskie	19	14	-	19	0,88
lubuskie	7	1	-	5	0,69
łódzkie	70	45	4,3	7	2,80
małopolskie	48	23	-	-	1,43
mazowieckie	168	112	27,4	6	3,15
podkarpackie	59	47	-	-	2,77
podlaskie	25	19	-	6	2,10
pomorskie	155	82	5,2	4	6,73
śląskie	36	5	2,8	1	0,79
świętokrzyskie	9	2	11,1	-	0,71
warmińsko-mazurskie	38	17	-	6	2,63
wielkopolskie	132	64	2,3	10	3,80
zachodniopomorskie	70	50	8,6	1	4,08

Źródło: Opracowanie DAiS na podstawie danych NFZ i GUS.

Tabela 3. Dane w zakresie liczby i struktury hospitalizacji z powodu chorób z podgrupy Zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne (wrodzone) wśród dzieci w 2014 roku w Polsce, zgodnie z mapami potrzeb zdrowotnych

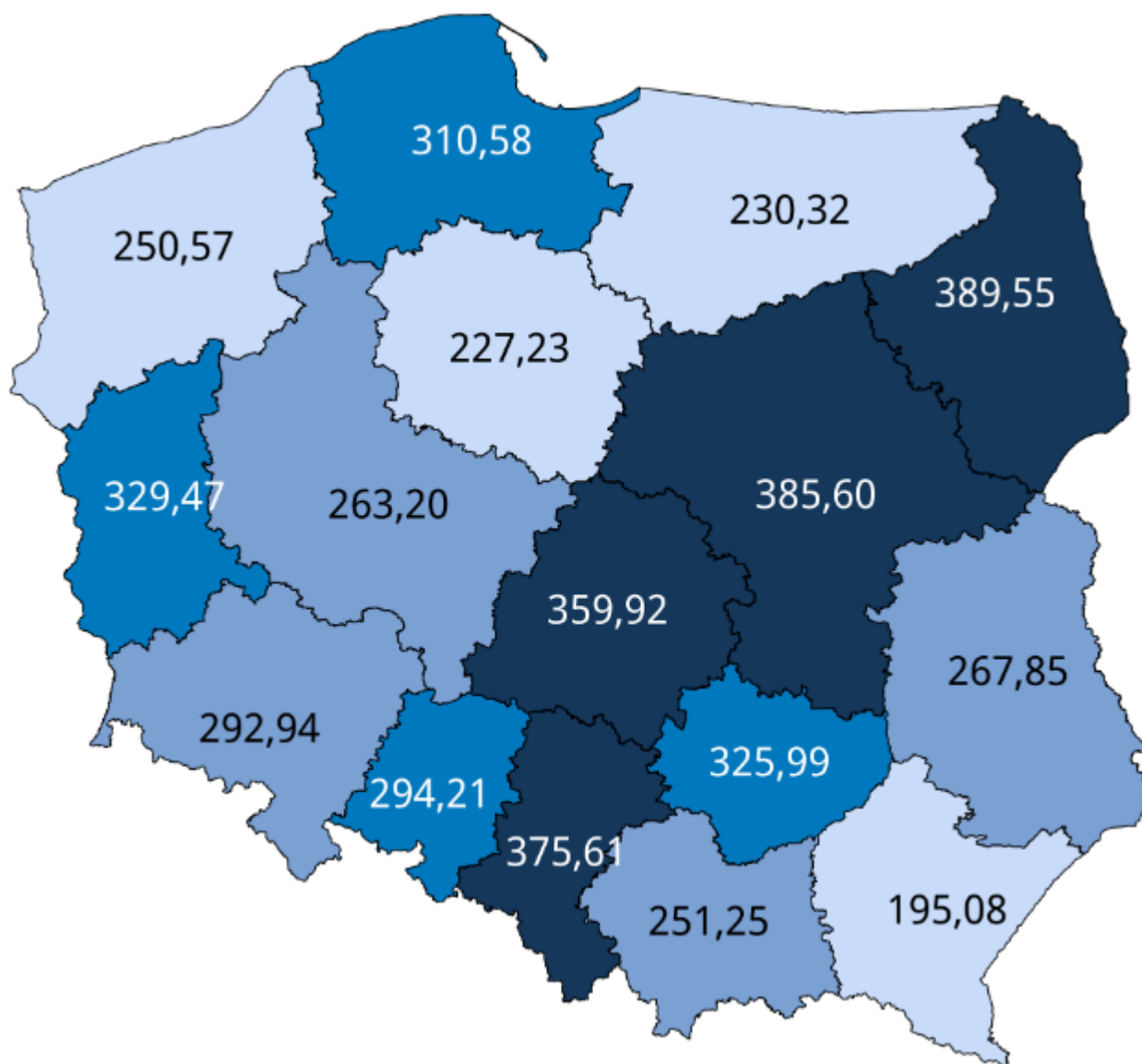
Zapadalność rejestrowana dla rozpoznań z grupy Zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne (*nabyte*) w 2014 roku wyniosła 18,4 tysięcy przypadków w Polsce. Natomiast współczynnik zapadalności rejestrowanej na 100 tys. ludności wyniósł 48,5. Najwyższe wskaźniki zapadalności rejestrowanej na 100 tys. osób odnotowano w województwach: łódzkim (67,64), śląskim (61,94), podlaskim (60,33) oraz w mazowieckim (60,00).



Źródło: Opracowanie DAiS na podstawie danych NFZ i GUS.

Rycina 5. Wskaźnik zapadalności rejestrowanej na nabyte zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne na 100 tys. osób w 2014 roku w Polsce, zgodnie z mapami potrzeb zdrowotnych.

Liczbę chorych w analizowanej podgrupie w Polsce oszacowano na 117,4 tysięcy (*w przeliczeniu na 100 tysięcy mieszkańców było to 308,9*). Najwyższe wskaźniki chorobowości rejestrowanej na 100 tys. osób odnotowano w województwach: podlaskim (389,55), mazowieckim (385,60), śląskim (375,61) oraz w łódzkim (359,92).



Rycina 6. Wskaźnik chorobowości rejestrowanej na nabyte zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne na 100 tys. osób w Polsce w 2014 roku, według miejsca zamieszkania pacjenta, zgodnie z mapami potrzeb zdrowotnych.

Województwo	Łączna liczba hospitalizacji (w tys. ; w tym tryb jednolodowy)	Liczba hospitalizacji trwających 1 dzień (w tys.; bez trybu jednolodowego) Liczba hosp.	(w tys.) w trybie jednolodowym	% hosp. spoza województwa	Liczba hosp. pacj. z tego woj. w innych woj.	Liczba hosp. na 100 tys. ludności
dolnośląskie	0,45	0,14	-	9,0	18	15,34
kujawsko-pomorskie	0,28	0,06	-	2,2	48	13,21
lubelskie	0,33	0,09	-	6,7	57	15,37
lubuskie	0,15	0,08	-	15,1	79	14,31
łódzkie	0,26	0,08	-	0,4	36	10,47
małopolskie	0,35	0,08	-	5,2	33	10,27
mazowieckie	1,43	0,24	-	15,4	21	26,85
opolskie	0,11	0,01	-	1,9	19	10,60
podkarpackie	0,32	0,05	-	2,2	26	14,98
podlaskie	0,20	0,08	-	8,8	15	17,20
pomorskie	0,55	0,38	0,00	11,3	23	23,81
śląskie	0,66	0,06	-	2,3	26	14,42
świętokrzyskie	0,12	0,01	-	7,2	32	9,90
warmińsko-mazurskie	0,22	0,03	-	8,1	63	15,38
wielkopolskie	0,71	0,35	-	16,0	31	20,57
zachodniopomorskie	0,24	0,04	-	2,9	55	14,29

Źródło: Opracowanie DAiS na podstawie danych NFZ i GUS.

Tabela 4. Dane w zakresie liczby i struktury hospitalizacji z powodu chorób z podgrupy Zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne (nabyte) wśród osób dorosłych w 2014 roku w Polsce, zgodnie z mapami potrzeb zdrowotnych.

Województwo	Łączna liczba hospitalizacji (w tym tryb jednodniowy)	Liczba hospitalizacji trwających 1 dzień (bez trybu jednodniowego) Liczba hosp.	w trybie jednodniowym	% hosp. spoza województwa	Liczba hosp. pacj. z tego woj. w innych woj.	Liczba hosp. na 100 tys. ludności
dolnośląskie	561	380	-	20,0	10	19,30
kujawsko-pomorskie	208	16	-	6,2	35	9,95
lubelskie	293	137	-	4,8	10	13,64
lubuskie	81	5	-	4,9	33	7,94
łódzkie	352	145	-	3,4	23	14,06
małopolskie	398	39	-	14,6	13	11,82
mazowieckie	825	361	-	8,8	49	15,47
opolskie	70	-	-	1,4	58	7,00
podkarpackie	216	20	-	2,8	40	10,15
podlaskie	200	111	-	18,5	5	16,78
pomorskie	366	125	-	9,6	15	15,90
śląskie	535	12	-	3,0	18	11,67
świętokrzyskie	124	2	-	8,1	13	9,82
warmińsko-mazurskie	129	6	-	16,3	54	8,94
wielkopolskie	346	33	-	4,0	63	9,97
zachodniopomorskie	229	112	-	7,9	5	13,35

Źródło: Opracowanie DAiS na podstawie danych NFZ i GUS.

Tabela 5. Dane w zakresie liczby i struktury hospitalizacji z powodu chorób z podgrupy Zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne (nabyte) wśród dzieci w 2014 roku w Polsce, zgodnie z mapami potrzeb zdrowotnych.

I.2.2.2. Liczba pacjentów ze zdiagnozowaną hemofilią lub inną pokrewną skazą krwotoczną wg baz danych prowadzonych przez Narodowe Centrum krwi, Narodowy Fundusz Zdrowia i Instytut Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie.

Omawiając liczebność populacji w Polsce, należy uwzględnić:

1. bazę danych prowadzoną przez Instytut Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie, do której część ośrodków hematologicznych dobrowolnie przekazuje dane dotyczące pacjentów. Baza ta może być niekompletna, ponieważ przekazywanie danych nie jest obowiązkowe;
2. liczbę pacjentów korzystających z programów „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018” oraz „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”. Dane te zawierają informacje o pacjentach, którzy dotychczas przynajmniej raz przyjęli koncentrat czynnika krzepnięcia i/lub desmopresynę z tych programów w danym okresie sprawozdawczym i nie zawierają informacji o pacjentach, którzy np. z uwagi na łagodną postać skazy krwotocznej, nie mieli potrzeby przyjęcia leku w danym okresie lub przyjmowali lek np. w okresie poprzedzającym obowiązek sprawozdawczy, dotyczący imiennego zużycia czynników krzepnięcia.

Wyżej wymienione źródła danych cechuje zróżnicowanie, gdyż inny jest klucz doboru danych. Celem bazy danych prowadzonej przez Instytut Hematologii i Transfuzjologii jest pozyskanie danych medycznych na temat pacjentów będących pod opieką Instytutu i współpracujących z Instytutem ośrodków hematologicznych. Z kolei dla płatników programów „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018” oraz „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B” najistotniejsze zawsze były informacje dotyczące liczb poszczególnych grup pacjentów oraz wykorzystania kosztownych leków jakimi są koncentraty czynników krzepnięcia.

W opinii ekspertów dla potrzeb niniejszego Programu najbardziej optymalnym źródłem danych epidemiologicznych, pokrywającym się w dużej części z mierzoną w perspektywie kilkuletniej zgłaszalności do „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018” jest baza danych prowadzona przez Instytut Hematologii i Transfuzjologii. Dlatego, interwencję „Powołanie i funkcjonowanie ośrodków leczenia hemofilii i pokrewne skazy krwotoczne i objęcie pacjentów kompleksową opieką w tych ośrodkach” (opisaną w rozdziale III.3 pkt 1.1 Programu), dla której miernik wskazano w rozdziale II.3 pkt 1 Programu oszacowano w oparciu o tę bazę danych.

Rodzaj skazy krwotocznej	Liczba pacjentów
Hemofilia A	2253
Hemofilia A powikłana inhibitorem	148
Nosicielki hemofilii A	41
Nabyta hemofilia A	47
Hemofilia B	399
Hemofilia B powikłana inhibitorem	4
Nosicielki hemofilii B	24
Choroba von Willebranda	1978
Nabyty zespół von Willebranda	2
Niedobory fibrynogenu	116

Niedobór protrombiny	1
Niedobór czynnika V	31
Niedobór czynnika VII	309
Niedobór czynnika X	25
Niedobór czynnika XI	72
Niedobór czynnika XIII	11
Złożony niedobór czynnika V i czynnika VIII	3
Trombastenia Glanzmanna	27
Zespół Bernarda-Souliera	9
Inne wrodzone trombocytopatie	208
RAZEM	5708

Tabela 6. Liczba chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne w Polsce wykazana w bazie danych prowadzonej przez Instytut Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie (stan na marzec 2018 roku).

Rok	Podział wg wieku	Hemofilia A	Hemofilia B	Choroba von Willebranda	Nabyta hemofilia A	Inne skazy krwotoczne
2017	Dorośli	1243	193	437	44	181
	Dzieci	297	54	200	0	64
	Razem dorośli i dzieci	1540	247	637	44	245
	Razem wszystkie skazy krwotoczne	2713				

Tabela 7. Łączna liczba chorych, którzy w 2017 roku przynajmniej raz pobrali koncentrat czynnika krzepnięcia lub desmopresynę w ramach „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018”.

Liczba pacjentów wykazana w tabeli 7 uwzględnia zarówno pacjentów, którzy regularnie raz w roku przyjmują koncentraty czynników krzepnięcia i/lub desmopresynę, jak również tych, którzy przyjmują lek rzadziej, np. raz na kilka lat. W związku z tym liczba pacjentów, którzy przynajmniej raz przyjęli lek w ramach „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018” jest wyższa, niż średnia roczna liczba pacjentów. W internetowym systemie zleceń na koncentraty czynników krzepnięcia i desmopresynę, prowadzonym od grudnia 2012 roku, znalazły się rekordy 4994 pacjentów, którzy korzystali dotychczas z przedmiotowego programu (stan na dzień 28 czerwca 2018 roku).

Poniżej przedstawiono liczbę pacjentów w programie „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”.

Grupa pacjentów	Liczba pacjentów
Pacjenci z hemofilią A leczeni czynnikiem VIII osoczopochodnym	180
Pacjenci z hemofilią A leczeni czynnikiem VIII rekombinowanym	125
Pacjenci z hemofilią B leczeni czynnikiem IX osoczopochodnym	34

Pacjenci z hemofilią B leczeni czynnikiem IX rekombinowanym	23
---	----

Tabela 8. Liczba chorych, którzy otrzymują koncentrat czynnika krzepnięcia w ramach programu „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B” (stan na czerwiec 2018 roku).

I.3. Opis obecnego postępowania.

W ramach programu polityki zdrowotnej pn. „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018”, pacjenci otrzymują produkty lecznicze na podstawie zamówienia indywidualnego na produkty krwiopochodne, rekombinowane koncentraty czynników krzepnięcia oraz desmopresynę, które wystawić może lekarz dowolnej specjalności. Pacjenci mają dostęp do leku, przy czym brak jest systemowego rozwiązania w zakresie nadzoru nad efektami leczenia prowadzonego przez lekarzy hematologów.

W ramach „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018”, zapewnia się powszechną dostępność produktów leczniczych dla pacjentów z inhibitorem oraz bez inhibitora na następujące wskazania:

- leczenie domowe, w tym leczenie krwawień, immunotolerancję, wtórną profilaktykę u dorosłych chorych, wtórną profilaktykę dla dzieci, które nie mogą korzystać z programu „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B” (np. z uwagi na inhibitor),
- leczenie ambulatoryjne,
- leczenie szpitalne.

W ramach „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019-2023” planuje się utrzymanie dostępności do produktów leczniczych dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.

Przedstawiając powyższe, obecne postępowanie determinują:

1. rekomendacje opracowane przez Grupę do Spraw Hemostazy przy Polskim Towarzystwie Hematologów i Transfuzjologów. Wykaz obowiązujących w Polsce rekomendacji dotyczących leczenia chorych na skazy krwotoczne stanowi załącznik nr 7 do Programu,
2. ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, w następstwie której:
 - 2.1 realizowany jest dotychczasowy Program,
 - 2.2 wydano rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 22 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego, zawierające warunki leczenia szpitalnego hemofili i pokrewnych skaz krwotocznych. Warunki te umieszczono w załączniku nr 3, części I poz. 21 lit. A i B oraz poz. 32 lit. A i B,
3. ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, na podstawie której realizowany jest program lekowy „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”,
4. ustawa z dnia 8 września 2006 r. o Państwowym Ratownictwie Medycznym, na podstawie której wydano rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 20 kwietnia 2016 r. w sprawie medycznych czynności ratunkowych, które mogą być udzielane przez ratownika medycznego, umożliwiające ratownikom podawanie koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny, z zasobów własnych chorego,
5. ustawa z dnia 15 lipca 2011 r. o zawodach pielęgniarstwa i położnej, na podstawie której wydano rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 28 lutego 2017 r. w sprawie rodzaju i zakresu świadczeń zapobiegawczych, diagnostycznych, leczniczych i rehabilitacyjnych udzielanych przez pielęgniarkę albo położną samodzielnie bez zlecenia lekarskiego, umożliwiające pielęgniarkom i położnym podawanie produktów krwiopochodnych, rekombinowanych koncentratów czynników krzepnięcia oraz desmopresyny, w stanach nagłego zagrożenia zdrowotnego,

6. ustawa z dnia 22 sierpnia 1997 r. *o publicznej służbie krwi*, zobowiązująca RCKiK do realizacji zaopatrzenia w produkty krwiopochodne, rekombinowane koncentraty czynników krzepnięcia oraz desmopresynę, na podstawie której wydano rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 13 grudnia 2018 r. w sprawie szczegółowego wzoru zamówienia indywidualnego na produkty krwiopochodne, rekombinowane koncentraty czynników krzepnięcia oraz desmopresynę.

II. Cele Programu polityki zdrowotnej i mierniki efektywności jego realizacji.

II.1. Cel główny:

Zapewnienie opieki i poprawa standardu leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.

II. 2. Cele szczegółowe:

1. Poprawa jakości życia osób chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, zmniejszenie chorobowości poprzez objęcie opieką w specjalistycznych ośrodkach dedykowanych tej grupie chorych.
2. Zaopatrzenie w leki niezbędne dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, poprawa jakości obsługi tej grupy chorych poprzez zmniejszenie uciążliwości związanych z odbiorem produktów leczniczych, celem prowadzenia profilaktyki i leczenia domowego.
3. Wzmocnienie nadzoru nad stosowaniem produktów leczniczych u ww. grupy chorych, skoordynowanie działań na szczeblu ogólnopolskim oraz podniesienie wiedzy personelu medycznego zaangażowanego w sprawowanie specjalistycznej opieki nad tą grupą chorych oraz monitorowanie leczenia z wykorzystaniem rejestru medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.

II.3. Mierniki efektywności realizacji programu polityki zdrowotnej.

1. Liczba pacjentów objętych opieką ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.

Na koniec 2023 roku liczba pacjentów, którym założono karty postępowania zgodnie z załącznikiem nr 1 do Programu powinna wynieść 6 000 pacjentów⁵, czyli szacowaną w 2018 roku przez Instytut Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie, liczbę chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne w kraju (*zaokrągloną do pełnych tysięcy*). Celem jest usystematyzowanie powiązania pacjentów z ośrodkami leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, tym samym przeciwdziałanie zjawisku utraty kontaktu chorych z hematologami.

2. Średnie roczne zużycie poszczególnych produktów leczniczych na mieszkańca kraju.

Przewidywane do osiągnięcia mierniki rocznego zużycia poszczególnych koncentratów czynników krzepnięcia w ramach „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne” na mieszkańca kraju, ujęto w tabeli 9. Przewiduje się wzrost zużycia do wartości zbliżonych do zużycia na mieszkańca w krajach „starej” UE. (*Tabela nie uwzględnia ilości koncentratów czynników krzepnięcia VIII i IX w ramach programu „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”, w ramach którego dotychczas wydawano koncentrat czynnika VIII w ilości ponad 1 j. m. na mieszkańca i koncentrat czynnika IX w ilości ok. 0,2 j. m. na mieszkańca*). Mierniki zostały oszacowane na podstawie ilości koncentratów czynników krzepnięcia wskazanych w tabeli 14 pierwotnie przyjętej wersji Programu.

Produkty lecznicze	Roczne zużycie poszczególnych koncentratów czynników krzepnięcia na mieszkańca kraju				
	2019	2020	2021	2022	2023
czynnik VIII ⁶ (j.m.)	5,30	5,99	6,68	7,58	8,00
czynnik IX ⁵ (j.m.)	0,75	0,86	0,97	1,04	1,11
czynnik VIII zawierający czynnik von Willebranda (j.m.) ⁷	0,53	0,61	0,64	0,7	0,76
koncentrat aktywowanych czynników zespołu protrombiny (aPCC) (j.m.)	0,59	0,66	0,79	0,79	0,79
koncentrat czynników zespołu protrombiny (PCC) (j.m.)	0,03	0,03	0,03	0,04	0,04
koncentrat czynnika VII (j.m.)	0,02	0,02	0,02	0,02	0,02
koncentrat rekombinowanego czynnika VIIa (mcg)	0,82	0,88	0,92	0,92	0,92
koncentrat fibrynogenu (mcg)	6,58	7,24	7,89	8,68	9,21
koncentrat czynnika XIII (j.m.)	0,005	0,005	0,006	0,007	0,007

Tabela 9. Roczne zużycie poszczególnych koncentratów czynników krzepnięcia w ramach „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne” na mieszkańca kraju.

Na etapie opracowania Programu, wzrost ilości koncentratów czynników krzepnięcia oszacowano tak, aby w trakcie realizacji Programu, roczna średnia wzrostu zużycia koncentratów czynników krzepnięcia na mieszkańca wynosiła 10%, z wyjątkiem dwóch ostatnich lat, kiedy w związku ze zbliżeniem wskaźników

⁵W danym roku sprawozdawczym liczba pacjentów objętych opieką ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, którym wystawiono karty postępowania może nie być tożsama z liczbą pacjentów, którzy otrzymali produkty lecznicze, gdyż dopuszcza się wydanie produktu leczniczego dla pacjentów w stanach nagłych lub tych z podejrzeniem skazy krwotocznej, zanim trafią pod opiekę specjalistycznego ośrodka.

⁶Do wyciszenia wartości zużycia koncentratów czynników krzepnięcia VIII i IX na mieszkańca kraju sumowane są koncentraty osoczopochodnych i rekombinowanych czynników krzepnięcia VIII i IX w ramach niniejszego Programu.

⁷Do wyciszenia wartości miernika zużycia koncentratu czynnika krzepnięcia zawierającego czynnik von Willebranda sumowane będą ilości preparatu o proporcji VWF:FVIII co najmniej 1:1 oraz co najmniej 2:1.

zużycia na mieszkańca do wartości uzyskiwanych w krajach „starej” UE, wzrost zużycia osiągnie wartości: 7% w 2022 roku i 6% w 2023 roku. Przewidywane przyrosty procentowe poszczególnych koncentratów czynników krzepnięcia na mieszkańca wraz ze średnią przyrostu zużycia, uwzględniono w tabeli 10.

Produkty lecznicze	Przyrosty procentowe rocznego zużycia poszczególnych koncentratów czynników krzepnięcia na mieszkańca kraju				
	2019/2018 ⁸	2020/2019	2021/2020	2022/2021	2023/2022
czynnik VIII (j.m.)	12%	13%	12%	13%	6%
czynnik IX (j.m.)	39%	15%	13%	7%	6%
czynnik VIII zawierający czynnik von Willebranda (j.m.)	32%	15%	7%	8%	9%
koncentrat aktywowanych czynników zespołu protrombiny (aPCC) (j.m.)	-12%	10%	9%	13%	11%
koncentrat czynników zespołu protrombiny (PCC) (j.m.)	18%	11%	20%	0%	0%
koncentrat czynnika VII (j.m.)	-14%	0%	8%	0%	7%
koncentrat rekombinowanego czynnika VIIa (mcg)	2%	7%	5%	0%	0%
koncentrat fibrynogenu (mcg)	-6%	10%	9%	10%	6%
koncentrat czynnika XIII (j.m.)	20%	11%	13%	11%	10%
Średnia przyrostu zużycia	10%	10%	10%	7%	6%

Tabela 10. Przewidywane przyrosty procentowe poszczególnych koncentratów czynników krzepnięcia na mieszkańca wraz ze średnią przyrostu zużycia.

W ramach ww. mierników przewiduje się ilość koncentratów rekombinowanych czynników krzepnięcia VIII i IX, aby zabezpieczyć wzrost zużycia wynikający:

- ze zwiększenia liczby dzieci, które nie otrzymywały wcześniej produktów osoczopochodnych oraz ze wzrostu ich wagi ciała,
- z konieczności zabezpieczenia leku dla dorosłych uczulonych na produkty osoczopochodne.

3. Liczba pacjentów objętych dostawami domowymi koncentratów czynników krzepnięcia ze środków Programu:

Docelowa, szacowana liczba pacjentów wskazana jest w rozdziale IV.1 pkt 2. podpunkt 2.4 Programu.

Określenie docelowej liczby pacjentów wynika z analizy pilotażu dostaw domowych prowadzonego przez RCKiK w trakcie realizacji „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018”. Dostawami domowymi objęci są pacjenci mający trudności w poruszaniu się, weryfikacja tych osób nastąpiła w porozumieniu z Polskim Stowarzyszeniem Chorych na Hemofilię. W pilotażu dotychczas udział wzięło ok. 20 osób w sześciu województwach (średnio na województwo przypada ok. 3 pacjentów). Jeżeli dostawy domowe zostaną rozszerzone na kolejne 10 województw, należy spodziewać się wzrostu liczby pacjentów do 50 w 2020 roku. W każdym kolejnym roku liczba pacjentów we wszystkich województwach będzie zwiększała się o kolejnych 3 pacjentów, aż do uzyskania liczby 200. Zgodnie z szacunkami lekarzy - współautorami Programu, liczba 200 pacjentów odzwierciedla liczbę pacjentów mających trudności w odebraniu produktu leczniczego. Dostawy

⁸ Porównanie do mierników przewidzianych na 2018 roku w dokumencie programowym „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018”. Dla prawidłowości porównania, w mierniku na 2018, odjęto program „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”.

domowe będą docelowo realizowane przez wykonawcę dostarczającego produkt leczniczy, lecz do czasu ich uruchomienia w tym trybie, przewiduje się kontynuację pilotażu prowadzonego przez RCKiK.

4. Liczba depozytów koncentratów czynników krzepnięcia ze środków Programu.

Odsetek liczby utworzonych depozytów koncentratów czynników krzepnięcia ze środków Programu w stosunku do liczby wynikającej z depozytów rekomendowanych przez Radę Programu.

5. Liczba ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, z których przeszkolono kadrę medyczną w ramach Programu.

W 2023 roku każdy z ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych powinien wykazać się przeszkoleniem każdej z grup zawodowych, wymienionych w załączniku nr 2 z zakresu tematyki określonej w załączniku nr 3.

III . Charakterystyka populacji docelowej oraz charakterystyka interwencji, jakie są planowane w ramach programu polityki zdrowotnej.

III.1. Populacja docelowa.

Programem zostaną objęci chorzy z rozpoznaniem wrodzonych lub nabytych skaz krwotocznych oraz inne grupy pacjentów wymienione poniżej. Liczebność populacji docelowej została omówiona w rozdziale I.2.2.2. Programu. Do Programu zostaną włączeni także pacjenci w trakcie diagnostyki, u których istnieje silne podejrzenie skazy krwotocznej wymienionej w Programie, gdyż w pewnych sytuacjach niezastosowanie natychmiastowego leczenia może doprowadzić w krótkim czasie do pogorszenia stanu zdrowia, skutkującego poważnym uszkodzeniem funkcji życiowych organizmu lub utraty życia.

Wykaz skaz krwotocznych i innych grup pacjentów objętych programem:

1. hemofilia A,
2. hemofilia A powikłana inhibitorem,
3. nabyta hemofilia A,
4. hemofilia B,
5. hemofilia B powikłana inhibitorem,
6. choroba von Willebranda,
7. nabyty zespół von Willebranda,
8. niedobory fibrynogenu,
9. niedobór protrombiny,
10. niedobór czynnika V,
11. niedobór czynnika VII (hypoprokonwertynemia),
12. niedobór czynnika X,
13. niedobór czynnika XI,
14. niedobór czynnika XIII,
15. złożony niedobór czynnika V i czynnika VIII,
16. złożony wrodzony niedobór czynnika II, czynnika VII, czynnika IX i czynnika X,
17. obecność inhibitora fibrynogenu, czynnika II, V, VII, X, XI lub XIII (*allo- lub autoprzeciwiał*)
18. Trombastenia Glanzmanna,
19. zespół Bernarda-Souliera,
20. inne wrodzone trombocytopatie,
21. nosicielki hemofilii A i B z graniczną aktywnością czynnika VIII lub IX oraz dodatnim wywiadem krwotocznym,
22. osoby z graniczną aktywnością czynnika von Willebranda oraz dodatnim wywiadem krwotocznym.

III.2. Kryteria kwalifikacji do udziału w programie polityki zdrowotnej oraz kryteria wyłączenia z programu polityki zdrowotnej:

**program polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia
Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019-2023**

Moduł	Przeznaczenie leków	Kryteria kwalifikacji	Kryteria wyłączenia
Moduł 1 Zapewnienie produktów leczniczych dostępnych niezależnie od wieku pacjenta: 1. koncentratu czynnika VIII ⁹ , 2. koncentratu czynnika IX ¹⁰ , 3. koncentratu czynnika VIII zawierającego czynnik von Willebranda o proporcji VWF:FVIII co najmniej 1:1, 4. koncentratu aktywowanych czynników zespołu protrombiny aPCC, 5. koncentratu czynników zespołu protrombiny (PCC), 6. koncentratu czynnika VII, 7. koncentratu rekombinowanego czynnika VIIa, 8. koncentratu fibrynogenu, 9. koncentratu czynnika XIII, 10. desmopresyny dożylniej, 11. desmopresyny donosowej.	1. Leczenie krwawień w warunkach domowych, 2. profilaktyka dorosłego chorego na hemofilię A lub B o ciężkim przebiegu klinicznym, niepowiklaną inhibitorem, 3. program immunotolerancji, 4. profilaktyka chorego z hemofilią A lub B powiklaną inhibitorem, niezależnie od wieku, 5. profilaktyka chorego z inną niż hemofilią A lub B skazą krwotoczną o ciężkim przebiegu klinicznym, niezależnie od wieku oraz obecności inhibitora, 6. leczenie ambulatoryjne, 7. leczenie szpitalne.	Stwierdzenie lub podejrzenie następujących skaz krwotocznych: 1. hemofilia A, 2. hemofilia A powikłana inhibitorem, 3. nabyta hemofilia A, 4. hemofilia B, 5. hemofilia B powikłana inhibitorem, 6. choroba von Willebranda, 7. nabyty zespół von Willebranda, 8. niedobory fibrynogenu, 9. niedobór protrombiny, 10. niedobór czynnika V, 11. niedobór czynnika VII (hypoprokonwertynemia), 12. niedobór czynnika X, 13. niedobór czynnika XI, 14. niedobór czynnika XIII, 15. złożony niedobór czynnika V i czynnika VIII, 16. złożony wrodzony niedobór czynnika II, czynnika VII, czynnika IX i czynnika X, 17. obecność inhibitora fibrynogenu, czynnika II, V, VII, X, XI lub XIII (allo-lub autoprzeciwciał), 18. Trombastenia Glanzmanna, 19. zespół Bernarda-Souliera, 20. inne wrodzone trombocytopatie, 21. nosicielki hemofilii A i B z graniczną aktywnością czynnika VIII lub IX oraz dodatnim wywiadem krwotocznym, 22. osoby z graniczną aktywnością czynnika von Willebranda oraz dodatnim wywiadem krwotocznym.	1. Zgon, 2. nie potwierdzenie się podejrzenia skazy krwotocznej, 3. ustanie lub wyleczenie skazy krwotocznej (np. po przeszczepie wątroby lub ustanie nabytej hemofilii A), 4. wyłączenie na życzenie pacjenta, na dowolnym etapie.
Moduł 2 1. Zapewnienie koncentratów rekombinowanych czynników krzepnięcia VIII i IX dla dzieci i dorosłych, którzy nie otrzymywali wcześniej osoczopochodnych koncentratów czynników krzepnięcia VIII i IX w ramach programu „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”. 2. Zapewnienie koncentratów rekombinowanych czynników krzepnięcia VIII i IX innym pacjentom, u których stwierdzono działania niepożądane po stosowaniu więcej niż jednego osoczopochodnego koncentratu czynnika krzepnięcia VIII lub IX i zostało to udokumentowane oraz zgłoszone do URPLWMIpB. 3. W przypadku dorosłych pacjentów, którzy nie otrzymywali wcześniej osoczopochodnych koncentratów czynników krzepnięcia VIII i IX (nie dotyczy pkt 1 i 2) warunkiem dostępu do leczenia rekombinowanymi czynnikami jest weryfikacja przez lekarza z ośrodka leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych i wydanie opinii Radzie Programu oraz ostateczna kwalifikacja przez Radę Programu.	1. Leczenie krwawień w warunkach domowych, 2. profilaktyka dorosłego chorego na hemofilię A lub B o ciężkim przebiegu klinicznym, niepowiklaną inhibitorem. 3. profilaktyka dziecka chorego na hemofilię A lub B niepowiklaną inhibitorem, przez okres poprzedzający włączenie do programu „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B” i pod warunkiem rozpoczętej procedury kwalifikacji do tego programu. 4. program immunotolerancji (o ile niemożliwe jest wykazanie odpowiedzialności podmiotu odpowiedzialnego za wytworzenie inhibitora), 5. leczenie ambulatoryjne, 6. leczenie szpitalne.	Dzieci i dorośli, którzy nie otrzymywali wcześniej osoczopochodnych koncentratów czynnika VIII i IX w następujących skazach krwotocznych: 1. hemofilia A, 2. hemofilia A powikłana inhibitorem, 3. hemofilia B, 4. hemofilia B powikłana inhibitorem. W wyjątkowych przypadkach dla dorosłych oraz dzieci, u których stwierdzono działania niepożądane po stosowaniu więcej niż jednego osoczopochodnego koncentratu czynnika krzepnięcia VIII lub IX, a działania niepożądane zostały udokumentowane i zgłoszone do URPLWMIpB.	1. Zgon, 2. ustanie lub wyleczenie skazy krwotocznej (np. po przeszczepie wątroby lub ustanie nabytej hemofilii A), 3. wyłączenie na życzenie pacjenta, na dowolnym etapie.
Moduł 3 Zapewnienie koncentratu czynnika VIII zawierającego czynnik von Willebranda o proporcji VWF:FVIII co najmniej 2:1	1. Leczenie krwawień w warunkach domowych, 2. profilaktyka u chorych na chorobę von Willebranda o ciężkim przebiegu klinicznym, niezależnie od wieku, 3. program immunotolerancji, 4. leczenie ambulatoryjne, 5. leczenie szpitalne.	Choroba von Willebranda lub nabyty zespół von Willebranda w przypadku: 1. zagrożenia przeladowaniem czynnika VIII lub 2. braku reakcji na koncentrat czynnika VIII zawierający czynnik von Willebranda o proporcji VWF:FVIII co najmniej 1:1.	1. Ustanie zagrożenia przeladowaniem czynnika VIII, 2. zgon, 3. ustanie lub wyleczenie skazy krwotocznej (np. po przeszczepie wątroby lub ustanie nabytego Zespołu von Willebranda), 4. wyłączenie na życzenie pacjenta, na dowolnym etapie.
Moduł 4 Zapewnienie produktów emicizumab (z wyłączeniem modułu 4a), wieprzowego rekombinowanego czynnika VIII, czynników krzepnięcia o przedłużonym działaniu oraz innych nowo rejestrowanych produktów leczniczych do leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych dla pacjentów wskazanych przez Radę Programu.	Pacjenci zgłoszeni do Rady Programu (w przypadku emicizumabu do NCK) i wskazanie do podania produktu leczniczego zaakceptowane przez ministra właściwego do spraw zdrowia, po uprzedniej opinii AOTMiT.	Spełnianie łącznie trzech kryteriów: 1. zgłoszenie pacjentów do Rady Programu – nie dotyczy wieprzowego rekombinowanego czynnika VIII do nabytej hemofilii A, 2. wykazanie efektywności medycznej lub kosztowej, w ramach możliwości budżetu Programu, zgodnie z procedurą w załączniku nr 8 do programu. 3. opinia AOTMiT odnośnie wskazania do stosowania leku.	1. Niepotwierdzenie się efektywności medycznej lub kosztowej wobec dotychczas stosowanych produktów leczniczych, 2. zgon, 3. ustanie lub wyleczenie skazy krwotocznej (np. po przeszczepie wątroby lub ustanie nabytego Zespołu von Willebranda), 4. wyłączenie na życzenie pacjenta, na dowolnym etapie.
Moduł 4a Zapewnienia produktu emicizumab	Dla chorych z obecnością inhibitora czynnika VIII u których próba wywołania immunotolerancji zakończyła niepowodzeniem lub wystąpiły przeciwwskazania do tego typu leczenia.	Spełnianie łącznie dwóch kryteriów ¹¹ : 1. zgłoszenie pacjenta do Rady Programu, 2. obecność inhibitora czynnika VIII w hemofilii A, 3. próba wywołania immunotolerancji zakończona niepowodzeniem lub wystąpienie przeciwwskazań do tego typu leczenia.	1. Nadwrażliwość na substancję czynną, 2. zgon, 3. ustanie lub wyleczenie skazy krwotocznej (np. po przeszczepie wątroby lub ustanie nabytego Zespołu von Willebranda), 4. wyłączenie na życzenie pacjenta, na dowolnym etapie.

Tabela 11. Kryteria kwalifikacji do udziału w programie polityki zdrowotnej oraz kryteria wyłączenia z programu polityki zdrowotnej.

III.3. Planowane interwencje.

W ramach niniejszego Programu przewidywane są niżej wymienione interwencje.

1. W ramach celu szczegółowego „Poprawa jakości życia osób chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, zmniejszenie chorobowości poprzez objęcie opieką w specjalistycznych ośrodkach dedykowanych tej grupie chorych”, planowane są następujące interwencje:
 - 1.1. powołanie i funkcjonowanie ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych i objęcie pacjentów kompleksową opieką w tych ośrodkach.
 - 1.1.1. Powołanie, zadania i sposób ich realizacji przez ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.

Ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych zostaną powołane poprzez upoważnienie do realizacji zadań Programu. Z ośrodkami tymi zostaną zawarte umowy na realizację interwencji „powołanie i funkcjonowanie ośrodków leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne i objęcie pacjentów kompleksową opieką w tych ośrodkach”. Warunkiem udziału w Programie jest spełnienie wymagań określonych w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 22 listopada 2013 roku w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego, dla zakresu „Leczenie hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych”. Ośrodki te zostały wskazane w załącznikach nr 4-5 do Programu, gdyż podmioty te złożyły do Narodowego Funduszu Zdrowia deklarację spełnienia ww. warunków lub są to podmioty lecznicze realizujące Program „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”. Warunkiem upoważnienia i podpisania oraz dalszej realizacji ww. umów jest weryfikacja w NFZ, czy ww. podmioty mają zapewnione finansowania świadczeń tej grupy chorych.

Zadania ośrodka leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych:

- 1) sprawowanie kompleksowej opieki nad chorymi na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne zgodnie z polskimi wytycznymi postępowania,
- 2) sprawowanie nadzoru nad leczeniem w warunkach domowych chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne i prowadzenie instruktażu dla pacjentów i ich rodzin w zakresie bezpiecznego stosowania produktów leczniczych, zasad podawania i sposobu przechowywania ww. produktów leczniczych, m.in. monitorowanie elektronicznych dzienniczków zużycia leków udostępnianych w szczególności w ramach nowych terapii oraz dostaw domowych czynników krzepnięcia,
- 3) regularna ocena stanu zdrowia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne,
- 4) potwierdzanie wykonywanych zadań poprzez wystawianie i aktualizację każdemu pacjentowi, w terminach wynikających z zaleceń lekarza, kart postępowania zgodnie z załącznikiem nr 1 do Programu; w pierwszym etapie realizacji Programu do 31 grudnia 2021 roku, ośrodek leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych powinien zapewnić priorytetową obsługę pacjentów, celem wydania jak największej liczby kart postępowania warunkujących dalsze leczenie pacjentów poza ośrodkiem,

⁹Przyjmuje się możliwość stosowania zarówno koncentratów czynników krzepnięcia VIII osoczopochodnych jak i rekombinowanych, a także o standardowym i przedłużonym działaniu (jednocześnie w ramach jednego roku kalendarzowego oraz w trakcie danego roku kalendarzowego), w zależności od wyników postępowania o udzielenie zamówienia publicznego.

¹⁰Przyjmuje się możliwość stosowania zarówno koncentratów czynników krzepnięcia IX osoczopochodnych jak i rekombinowanych, a także o standardowym i przedłużonym działaniu (jednocześnie w ramach jednego roku kalendarzowego oraz w trakcie danego roku kalendarzowego), w zależności od wyników postępowania o udzielenie zamówienia publicznego.

¹¹Czas wdrożenia do terapii musi uwzględniać możliwość planowania zakupów. Pacjent po zakwalifikowaniu może oczekiwać do kolejnego cyklu dostaw.

- 5) prowadzenie depozytu koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny na podstawie umowy zawartej z RCKiK w przypadku, gdy w bezpośrednim sąsiedztwie ośrodka nie znajduje się RCKiK,
 - 6) całodobowy dyżur konsultacyjny dla innych podmiotów leczniczych, w tym lekarzy podstawowej opieki zdrowotnej i Państwowego Ratownictwa Medycznego,
 - 7) wprowadzanie danych pacjentów do rejestru medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, po jego uruchomieniu, a do czasu jego uruchomienia nadzór nad realizacją Programu realizowany będzie na dotychczasowych zasadach;
 - 8) weryfikacja dorosłych pacjentów, którzy nie byli dotychczas leczeni osoczopochodnymi koncentratami czynników krzepnięcia VIII i IX oraz wydanie opinii Radzie Programu w tym zakresie,
 - 9) zgłaszanie pacjentów do NCK do dostaw domowych,
 - 10) zgłaszanie pacjentów do Rady Programu w ramach leczenia w module 2 i 4, w przypadku modułu 4a do NCK (wzór zamówienia na emicizumab, który służy zgłoszeniu do modułu 4a, określa załącznik nr 9 do programu),
 - 11) kierowanie kadry medycznej na szkolenia prowadzone przez ośrodki leczenia hemofilii, którym powierzono funkcję konsultacyjną i szkoleniową,
 - 12) konsultacje dla pacjentów w ośrodku leczenia, telefonicznie lub drogą elektroniczną,
 - 13) diagnostyka hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych – finansowana ze środków NFZ. Zakres badań diagnostycznych - zgodnie z rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 22 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego, załącznik nr 3, część I poz. 21 lit. A lub B lub 32 lit. A lub B.
 - 14) Przyjęcie na stan, przechowywanie i magazynowanie zakupionych leków niesubstytucyjnych do leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, z wyłączeniem desmopresyny, zgodnie z umowami zawartymi przez NCK i wykonawcę.
 - 15) Wydawanie pacjentom emicizumabu. Wzór zamówienia na emicizumab określa załącznik nr 9 do programu.
 - 16) Opracowanie i wdrożenie procedury postępowania z chorymi na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne w przypadkach nagłych przez izbę przyjęć i SOR (o ile ośrodek posiada SOR).
- 1.1.2. Sposób realizacji zadań przez ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.
- 1) Potwierdzeniem objęcia opieką pacjenta przez ośrodek leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych będzie wystawienie karty postępowania zgodnie z załącznikiem nr 1 do Programu. Ośrodki leczenia będą wydawać również karty chorego na hemofilię. Karta chorego na hemofilię powinna zawierać informacje zgodnie z załącznikiem nr 6.
 - 2) Pacjent powinien regularnie (*według zaleceń lekarza z ośrodka*) zgłaszać się do ośrodka w celu oceny stanu zdrowia, uzyskania informacji o badaniach kontrolnych i innych procedurach zalecanych przez lekarza, a także celem weryfikacji karty postępowania i karty chorego na hemofilię. W sytuacjach niewymagających (*według oceny lekarza*) osobistej wizyty w ośrodku pacjent może uzyskać poradę lub np. zamówienie na czynnik krzepnięcia/desmopresynę, kontaktując się z lekarzem. Pacjent ma obowiązek udostępnić lekarzowi wymagane przez niego dokumenty (*np. wyniki badań, karty informacyjne z hospitalizacji*).
 - 3) Karta postępowania będzie wystawiana w trzech egzemplarzach, po jednym dla ośrodka leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, pacjenta, w celu okazania w sytuacji postępowania nagłego (*np. przez Państwowe Ratownictwo Medyczne*) a trzeci dla lekarza, który zazwyczaj będzie wypisywał pacjentowi zamówienia indywidualne na produkty krwiopochodne, rekombinowane koncentraty czynników krzepnięcia oraz desmopresynę. Karta chorego na hemofilię będzie wystawiana w jednym egzemplarzu (*dla pacjenta*).

- 4) Z uwagi na wieloaspektowy charakter opieki, jaką ośrodek leczenia chorych na hemofilię będzie zobowiązany zapewnić pacjentom, przyznawane będzie wynagrodzenie ryczałtowe w wysokości 300 zł rocznie na jednego zarejestrowanego w ośrodku pacjenta. Ryczałt będzie obejmował, m. in. obsługę administracyjną, zapewnienie całodobowego dyżuru telefonicznego dla innych podmiotów leczniczych, w tym lekarzy podstawowej opieki zdrowotnej i Państwowego Ratownictwa Medycznego, druk i wydanie kart postępowania oraz kart chorego na hemofilię. W celu uniknięcia podwójnej zapłaty za pacjenta, ośrodek będzie zobowiązany zgłosić pacjenta objętego opieką do NCK. W przypadku dwukrotnego, w ciągu roku kalendarzowego, przypisania pacjenta do ośrodka, wynagrodzenie otrzyma jedynie ośrodek, który jako pierwszy objął pacjenta opieką. Jeżeli lekarz prowadzący w ośrodku wskaże na karcie postępowania częstotliwość wizyt rzadziej niż raz w roku, ryczałt będzie wypłacany do czasu, gdy inny ośrodek nie przejmie opieki nad pacjentem i nie zostanie to zgłoszone do NCK. Płatności ryczałtowe za pacjentów, którzy będą mieli wystawione karty postępowania z terminem ważności zaleceń dłuższym niż jeden rok, będą realizowane w grudniu danego roku. W takim przypadku ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych będą zobowiązane dokonać zgłoszenia pacjentów, będących pod ich opieką, do 30 listopada danego roku. Powyższe nie dotyczy przypadków wystawienia przez ten sam ośrodek leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych nowej karty postępowania.
- 1.2. Wprowadzenie strategii postępowania w przypadku działań z zakresu ratownictwa medycznego.
- 1.2.1. Priorytety w strategii postępowania z chorymi na skazy krwotoczne wymienione w Programie w stanach nagłych.
- 1) Stan nagłego zagrożenia zdrowotnego określony w Art. 3 pkt 8 ustawy o Państwowym Ratownictwie Medycznym w przypadku chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne występuje mimo braku widocznych objawów pogorszenia stanu zdrowia i wymaga natychmiastowego leczenia koncentratami czynników krzepnięcia. Bez tej ratunkowej pomocy medycznej należy przewidywać w krótkim czasie pogorszenie stanu zdrowia, skutkujące poważnym uszkodzeniem funkcji życiowych organizmu lub utraty życia.
 - 2) W sytuacjach krytycznych pacjentom z hemofilią i pokrewnymi skazami krwotocznymi trzeba, dla ich własnego bezpieczeństwa, zapewnić natychmiastowy dostęp do leczenia oraz specjalistycznej opieki medycznej, za pośrednictwem ZRM/SOR/IP oraz wielu lekarzy specjalistów.
 - 3) W razie wystąpienia urazu (*zwłaszcza głowy*) i/lub wystąpienia powikłań krwotocznych, a w szczególności przed każdą procedurą inwazyjną i operacyjną, pacjent powinien jak najszybciej otrzymać koncentrat czynnika krzepnięcia.
 - 4) Koncentrat odpowiedniego czynnika krzepnięcia musi być podany na miejscu zdarzenia przez personel medyczny z zasobów własnych chorego, a jeżeli chory nie posiada leku, to ZRM powinien niezwłocznie przewieźć pacjenta do SOR/IP, w którym prowadzony jest depozyt szpitalny koncentratów czynników krzepnięcia.
 - 5) Przy braku możliwości pozyskania koncentratu czynnika krzepnięcia ze szpitalnego depozytu, lekarz pełniący dyżur na SOR/IP niezwłocznie po otrzymaniu informacji od ZRM dokonuje zamówienia koncentratu w RCKiK.
 - 6) Po podaniu koncentratu niedoborowego czynnika, lekarz, ratownik medyczny lub pielęgniarka z ZRM/SOR/IP konsultuje pacjenta z lekarzem z ośrodka leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.
 - 7) Przeprowadzenie konsultacji z lekarzem z ośrodka leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne jest obowiązkowe przed każdym zabiegiem diagnostycznym bądź leczniczym przebiegającym z naruszeniem ciągłości tkanek u pacjenta chorego na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, jak również

przed podaniem leku upośledzającego hemostazę (*o działaniu przeciwplatekowym, przeciwkrzepliny, trombolitycznym*).

UWAGA: Lekarz powinien zamówić ilość czynnika krzepnięcia wystarczającą na co najmniej pierwszą dawkę lub podać preparat, który pacjent posiada we własnych zasobach (*leczeniu domowym*) – w zależności od tego, co może uczynić szybciej. W stanie nagłym rodzaj koncentratu i wielkość pierwszej dawki należy ustalić w oparciu o kartę postępowania lub kartę chorego na hemofilię wydaną przez ośrodek leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, pisemne zalecenia ośrodka (*jeżeli pacjent takie posiada*), albo na podstawie ulotki dołączonej do opakowania czynnika, który jest w posiadaniu pacjenta. W razie braku dokumentacji należy skontaktować się z lekarzem z ośrodka leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.

2. W ramach celu szczegółowego „Zaopatrzenie w leki niezbędne dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, poprawa jakości obsługi tej grupy chorych poprzez zmniejszenie uciążliwości związanych z odbiorem produktów leczniczych, celem prowadzenia profilaktyki i leczenia domowego”, planowane są następujące interwencje:
 - 2.1 Zakupy produktów leczniczych dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne. Podstawowe zasady zakupów produktów leczniczych:
 - 2.1.1. Zakup będzie dokonywany przez Narodowe Centrum Krwi za pośrednictwem Zakładu Zamówień Publicznych przy Ministrze Zdrowia. Koncentraty czynników krzepnięcia VIII i IX będą kupowane bez różnicowania na produkty osoczopochodne i rekombinowane oraz bez preferencji za czas działania, z zastrzeżeniem pkt 2.1.2. Zakup produktu leczniczego będzie następował wraz z zestawem do dożylnego albo podskórnego podawania, którego koszt, w ramach postępowania o udzielenie zamówienia publicznego, powinien być ujęty przez Wykonawcę w cenie jednostkowej tego produktu. W przypadku, gdy produkt leczniczy jest sprzedawany przez Wykonawcę osobno, a zestaw do podawania osobno, Wykonawca, w ramach postępowania przetargowego, będzie musiał w oferowanej cenie jednostkowej produktu ująć koszt zestawu do podawania, ale w dokumentach rozliczeniowych przedkładanych Zamawiającemu będzie miał możliwość wyszczególnienia kwoty, która stanowi cenę zestawu do podawania. Przez zestaw do podawania rozumie się również wodę do infuzji, o ile jest to niezbędne do podania leku właściwego.
 - 2.1.2. Koncentraty czynników krzepnięcia VIII i IX dla dzieci, będą kupowane za pośrednictwem Zakładu Zamówień Publicznych przy Ministrze Zdrowia, we wspólnych postępowaniach o udzielenie zamówień publicznych przez Narodowe Centrum Krwi oraz jednostkę koordynującą program lekowy „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”. Celem wspólnych przetargów będzie koordynacja metod zakupu produktów leczniczych w obydwu programach, przede wszystkim zakup tych samych produktów leczniczych dla dzieci w obydwu programach, a także z uwzględnieniem możliwości zapewnienia takich samych usług towarzyszących.
 - 2.1.3. W postępowaniach o udzielenie zamówienia publicznego, będą stosowane odpowiednie kryteria oceny ofert lub wymagania, celem uzyskania zestawów do podawania koncentratów czynników krzepnięcia poprzez port dla wszystkich pacjentów z założonym portem, w ramach serwisu posprzedażowego (niezależnie od zestawu do dożylnego lub podskórnego podawania bez udziału portu).
 - 2.2 Zapewnienie pacjentom zakupionych produktów leczniczych zgodnie z kryteriami kwalifikacji i wyłączenia w rozdziale III.2 Programu.
 - 2.2.1 Zakupione koncentraty czynników krzepnięcia i desmopresyna będą przekazywane przez NCK na podstawie stosownych umów do RCKiK, a emicizumab ośrodkom leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.

Zadania RCKiK:

- 1) Przyjęcie na stan, przechowywanie i magazynowanie zakupionych koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny, zgodnie z rozdzielnikami dostaw opracowanymi przez NCK.
 - 2) Wydawanie koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny do leczenia pacjentom i podmiotom leczniczym, na podstawie imiennego zamówienia, zgodnie z rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 13 grudnia 2018 r. w sprawie szczegółowego wzoru zamówienia indywidualnego na produkty krwiopochodne, rekombinowane koncentraty czynników krzepnięcia oraz desmopresynę.
 - 3) Realizacja przesunięć koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny z innych RCKiK, na podstawie dyspozycji NCK.
 - 4) Umożliwienie podmiotom leczniczym zawarcia umów pisemnych na utworzenie depozytów szpitalnych koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny, regulujących między innymi: zasady odpowiedzialności i rotowania koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny (*w celu uniknięcia przeterminowania*).
 - 5) Przekazywanie właściwemu wojewodzie informacji o utworzeniu depozytu szpitalnego, ze wskazaniem adresu szpitala, gdzie taki depozyt został utworzony oraz wykazu skaz krwotocznych, które będą zabezpieczone w ramach tego depozytu, celem przesłania informacji przez wojewodę do dysponentów zespołów ratownictwa medycznego, posiadających dyspozytornie medyczne.
- 2.2.2 Realizacja i zapewnienie dostaw domowych koncentratów czynników krzepnięcia. Sposób organizacji dostaw domowych:
- 1) Ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych zgłoszą do NCK pacjentów regularnie pobierających koncentraty czynników krzepnięcia, którzy zgodzą się na dostawy domowe i będą przyjmować kupiony w zamówieniu publicznym produkt leczniczy. W pierwszej kolejności ośrodki zgłaszać będą pacjentów, którzy ze względu na ograniczoną sprawność ruchową, oddalenie miejsca zamieszkania od RCKiK lub sytuację rodzinną, mają ograniczone możliwości odbioru produktów leczniczych. Wzór zgłoszenia do dostaw domowych określa załącznik nr 11 do Programu. Lekarz wypełniając wniosek przydziela następującą punktację:
 - a. stopień niepełnosprawności, wg skali sprawności wg Eastern Cooperative Oncology Group (ECOG) – do punktacji należy brać pod uwagę stopień sprawności 1-4, za każdy stopień 2 pkt, maksymalna liczba 8 pkt
 - b. odległość miejsca zamieszkania od miejsca odbioru produktu leczniczego, do 20km 2 pkt, 21-50 km 4 pkt, > 51 km 6 pkt
 - c. sytuację rodzinną pacjenta:
 - jednoosobowe gospodarstwo domowe, samotne wychowywanie dziecka do 16 r.ż – 10 pkt.
 - praca zawodowa jedyne go członka rodziny osoby o ograniczonej sprawności ruchowej / obojga rodziców – 8 pkt pacjent lub rodzic pracujący zawodowo – 6 pkt
 - konieczność korzystania z transportu publicznego (brak samochodu) – 5 pkt dziecko do 7 r.ż. – 2 pkt
 - Inne – 3 pkt (uzasadnienie pisemne),
 - d. profilaktyka pierwotna, wtórna lub wtórna trzeciorzędowa krwawień, program ITI- 2 pkt
 - e. leczenie na żądanie w uzasadnionych przypadkach, gdy chory nie jest objęty profilaktyką krwawień – 1 pkt
 - f. port centralnego dostępu żylnego – 1 pkt
 - 2) NCK na podstawie otrzymanych wniosków tworzy i uzupełnia oddzielną dla każdego rodzaju produktu leczniczego listę pacjentów regularnie pobierających dany rodzaj koncentratu czynnika krzepnięcia wraz z dawkowaniem i danymi teleadresowymi pacjentów, spełniających kryteria kwalifikacji, celem zorganizowania i wykonywania zamówienia publicznego na zakup produktu leczniczego wraz z dostawami

do domów pacjentów. Kolejność włączania do dostaw domowych odbywa się zgodnie z punkcją określoną w pkt 2, przy czym pierwszeństwo na liście mają pacjenci uczestniczący w pilotażu dostaw domowych prowadzonego przez RCKiK w trakcie realizacji „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018”, którzy są automatycznie kwalifikowani do dostaw domowych w ramach niniejszego Programu.

- 3) W ramach dostaw domowych koncentratów czynników krzepnięcia dostępne będą koncentraty czynników krzepnięcia, które mogą być podawane regularnie taką samą ilością co miesiąc i które wydaje się pacjentowi cyklicznie, tj.¹²:
 - a. koncentrat czynnika VIII,
 - b. koncentrat czynnika IX
 - c. koncentrat czynnika VIII zaw. Czynnikiem von Willebranda o proporcji VWF:FVIII 1:1
 - d. koncentrat czynnika VIII zaw. Czynnikiem von Willebranda o proporcji co najmniej VWF:FVIII co najmniej 2:1
 - e. koncentrat aktywowanych czynników zespołu protrombiny aPCC
 - f. w uzasadnionych przypadkach koncentrat rekombinowanego czynnika VIIa.
 - 4) W ramach dostaw domowych koncentratów czynników krzepnięcia VIII i IX nie uczestniczą dzieci objęte programem „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”.
 - 5) Jeżeli przed uruchomieniem lub w trakcie funkcjonowania dostaw domowych okaże się, że pacjent nie może korzystać z dostaw domowych, np. z uwagi na zakontraktowanie leku, którego pacjent nie może stosować, NCK proponuje uczestnictwo w dostawie domowej innemu pacjentowi.
 - 6) W przypadku braku możliwości odbioru dostawy przez pacjenta w trzech różnych cyklach dostaw, NCK przysługuje prawo zaproponowania dostaw domowych kolejnemu pacjentowi z listy w miejsce pacjenta, do którego realizacja dostaw domowych okazała się niemożliwa.
 - 7) Dostawy domowe będą odbywały się na podstawie umowy zawartej pomiędzy NCK a wykonawcą. Usługa dostawy domowej będzie wliczona w cenę jednostkową koncentratu czynnika krzepnięcia. Wybrany wykonawca będzie dostarczał koncentrat czynnika krzepnięcia do domu pacjenta zgodnie z ustawą z dnia 6 września 2001 r. prawo farmaceutyczne.
- 2.2.3 Wdrażanie nowo rejestrowanych leków, emicizumabu, rekombinowanego wieprzowego czynnika VIII oraz czynników krzepnięcia o przedłużonym w uzasadnionych przypadkach w ramach budżetu Programu.
- 1) Z uwagi na spodziewane przez środowisko ekspertów w zakresie leczenia hemofili i pokrewnych skaz krwotocznych, rejestracje i wejście na rynek nowych produktów leczniczych, dopuszcza się modyfikację Programu przez ministra właściwego do spraw zdrowia. Rada Programu będzie monitorowała rejestrację nowych terapii i ich wejście na rynek, a następnie w razie zasadności, będzie proponowała ministrowi właściwemu do spraw zdrowia, modyfikację Programu. Modyfikacja Programu będzie odbywała się w ramach środków przeznaczonych na Program, a wprowadzenie nowych leków będzie odbywało się poprzez zmniejszenie wolumenu produktów leczniczych dotychczas stosowanych. Rozwiązanie to pozwoli na wprowadzenie konkurencyjności pomiędzy produktami leczniczymi dotychczas stosowanymi, a nowymi.
Procedurę wdrażania nowych terapii określona w załączniku nr 8 do Programu.
 - 2) Warunkiem modyfikacji Programu będzie wykazanie efektywności medycznej lub kosztowej w ramach możliwości budżetu Programu, przy stosowaniu nowo zarejestrowanych terapii wobec dotychczas

¹² Postępowanie o udzielenie zamówienia publicznego może być wstrzymane do czasu uzyskania pięciu zgłoszeń na dany produkt leczniczy i/lub uzyskania wolnych środków budżetowych.

dostępnych w Programie koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny. Aktualizacja Programu w tym zakresie będzie przedmiotem opinii AOTMiT.

3. W ramach celu szczegółowego „*Wzmocnienie nadzoru nad stosowaniem produktów leczniczych u ww. grupy chorych, skoordynowanie działań na szczeblu ogólnopolskim oraz podniesienie wiedzy personelu medycznego zaangażowanego w sprawowanie specjalistycznej opieki nad tą grupą chorych oraz monitorowanie leczenia z wykorzystaniem rejestru medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne*”, podjęte zostaną następujące interwencje:

3.1. Powierzenie funkcji konsultacyjnej i szkoleniowej.

Funkcję konsultacyjną oraz szkoleniową przejmą dwa ośrodki referencyjne drugiego stopnia zlokalizowane w Warszawie, tj.: Instytut Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie oraz Samodzielny Publiczny Dziecięcy Szpital Kliniczny w Warszawie.

Zadaniem ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, którym zostanie powierzona funkcja konsultacyjna i szkoleniowa, będzie prowadzenie szkoleń dla kadry medycznej, zgodnie z załącznikami nr 2 i 3 do Programu. Ponadto, z uwagi na spodziewane największe zaangażowanie tych ośrodków w realizację interwencji „*powołanie i funkcjonowanie ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych i objęcie pacjentów kompleksową opieką w tych ośrodkach*”, tj. największy udział w budżecie przeznaczonym na tę interwencję, będą one zobowiązane do konsultowania najtrudniejszych przypadków na rzecz pozostałych ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.

3.2. Powołanie i funkcjonowanie Rady Programu:

3.2.1. Sposób powołania i funkcjonowania Rady Programu:

- 1) Rada Programu zostanie powołana przez Ministra Zdrowia i będzie składać się z przedstawicieli ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, stowarzyszeń chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, Ministerstwa Zdrowia, Narodowego Centrum Krwi oraz innych osób powołanych zgodnie z *zarządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 25 kwietnia 2018 r. w sprawie prowadzenia prac nad opracowaniem i realizacją programów polityki zdrowotnej oraz wylaniania realizatorów innych programów realizowanych przez ministra właściwego do spraw zdrowia*. Rada Programu może zaprosić do udziału w posiedzeniach dodatkowe osoby.
- 2) Rada Programu będzie obradować co najmniej dwa razy w roku. Obsługę techniczną Rady zapewni Narodowe Centrum Krwi.

3.2.2. Zadania Rady Programu:

- 1) Doradzanie i tworzenie rekomendacji dla ministra właściwego do spraw zdrowia w aspekcie hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, z własnej inicjatywy lub na polecenie ministra.
- 2) Ewaluacja realizacji Programu.
- 3) Merytoryczna ocena i analiza stopnia osiągnięcia celów Programu.
- 4) Określenie szczegółowych kryteriów kwalifikacji do dostaw domowych koncentratów czynników krzepnięcia i kwalifikowanie pacjentów do tych dostaw. Kryteria powinny uwzględniać co najmniej odległość miejsca zamieszkania od miejsca odbioru produktu leczniczego, sytuację rodzinną pacjenta, tj. czy prowadzi jednoosobowe gospodarstwo domowe, możliwość zapewnienia opieki przez pozostałych członków rodziny, itp.
- 5) Przyjmowanie i opiniowanie zgłoszeń pacjentów do leczenia wybranych terapii, zgodnie z rozdziałem III. 2, moduł 2 i 4.

W przypadku głosowania nad opiniowaniem zgłoszeń pacjentów do leczenia wybranych terapii, jak również w ramach procedury określonej w załączniku nr 8 do Programu, członkowie Rady Programu są zobowiązani do składania deklaracji o braku lub ujawnieniu konfliktu interesów każdorazowo przed głosowaniem. W przypadku ujawnienia konfliktu interesów tj. powiązań w okresie ostatnich trzech lat z wytwórcami lub podmiotami odpowiedzialnymi za nową terapię, albo terapię alternatywną

(konkurencyjną) z omawianą terapią, członek Rady Programu zostaje wyłączony z głosowania. Wyłączenie z głosowania następuje również w przypadku odmowy złożenia deklaracji. Wzór deklaracji o braku lub ujawnieniu konfliktu stanowi załącznik nr 10 do programu.

- 6) Rekomendowanie NCK podmiotów leczniczych, w których powinny być tworzone depozyty koncentratów czynników krzepnięcia oraz określanie ilości leków do umieszczenia w tych depozytach, istotnych z punktu widzenia ratownictwa medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.
- 7) Inicjatywa w zakresie proponowania Ministrowi Zdrowia rekomendacji dotyczących wprowadzenia do Programu nowych zadań oraz odstępowania od kontynuowania zadań już realizowanych, w tym wprowadzania do Programu nowo rejestrowanych produktów leczniczych dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.
- 8) Inicjatywa w zakresie proponowania Ministrowi Zdrowia rekomendacji z zakresu ratownictwa medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.
- 9) Opracowywanie coroczne i po zakończeniu realizacji Programu, raportu dla ministra właściwego do spraw zdrowia zawierającego ocenę Programu, w terminie wskazanym przez ministra właściwego do spraw zdrowia.

3.3. Utworzenie i prowadzenie rejestru medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne:

3.3.1. Zakres danych:

- 1) zużycie koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny,
- 2) inhibitory,
- 3) infekcje wirusami HCV, HBV, HIV, inne infekcje przenoszone drogą krwi,
- 4) choroby współistniejące (*w tym nowotworowe, układu sercowo-naczyniowego, udarów niedokrwiennych mózgu, migotania przedsionków*),
- 5) wyniki stanu fizycznego pacjenta,
- 6) zastosowane metody obrazowania,
- 7) wyniki czynnościowe,
- 8) przebyte operacje chirurgiczne,
- 9) data i przyczyna zgonu,
- 10) jakość życia pacjenta oraz generowane koszty, np. liczba dni opuszczonych w szkole lub w pracy.

3.3.2. Wykorzystanie dotychczasowych doświadczeń:

Wdrażanie rejestru chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne będzie odbywało się w oparciu o doświadczenia funkcjonowania innych baz danych, które dotychczas wspomagały nadzór nad realizacją Programu, w szczególności internetowego systemu zleceń na koncentraty czynników krzepnięcia i desmopresynę. Przy czym zakłada się, iż funkcjonalności internetowego systemu zleceń będą odzwierciedlone w rejestrze.

III.4. Sposób udzielania świadczeń zdrowotnych w ramach programu polityki zdrowotnej.

W ramach niniejszego Programu nie finansuje się świadczeń opieki zdrowotnej.

III.5. Sposób zakończenia udziału w programie polityki zdrowotnej.

Zakończenie udziału pacjenta w Programie jest jednocześnie kryterium wyłączenia i możliwe jest w przypadku:

1. zgonu pacjenta,
2. wyleczenia lub ustąpienia skazy krwotocznej (*np. przeszczep wątroby, ustąpienie nabytej hemofilii A, itp.*),
3. rezygnacji pacjenta, na każdym etapie,

4. nie potwierdzenia się podejrzenia skazy krwotocznej.

IV . Organizacja programu polityki zdrowotnej.

IV.1. Etapy programu polityki zdrowotnej i działania podejmowane w ramach etapów:

W zakresie wyżej wymienionych celów szczegółowych, Program będzie realizowany w następujących etapach:

1. W ramach realizacji celu szczegółowego „*Poprawa jakości życia osób chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, zmniejszenie chorobowości poprzez objęcie opieką w specjalistycznych ośrodkach dedykowanych tej grupie chorych*”, wyróżnia się następujące etapy:
 - 1.1 Etap pierwszy – po zatwierdzeniu Programu do realizacji - zawarcie umów ze wszystkimi realizatorami. Treść umów przygotuje NCK w imieniu Ministra Zdrowia.
 - 1.2 Etap drugi – do realizacji od 2019 roku po podpisaniu umów na realizację ww. działania w danym województwie, stopniowe obejmowanie opieką pacjentów.
2. W ramach realizacji celu szczegółowego „*Zaopatrzenie w leki niezbędne dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, poprawa jakości obsługi tej grupy chorych poprzez zmniejszenie uciążliwości związanych z odbiorem produktów leczniczych, celem prowadzenia profilaktyki i leczenia domowego*”, wyróżnia się następujące etapy:
 - 2.1 Etap pierwszy – po zatwierdzeniu Programu do realizacji - zawarcie umów z RCKiK zgodnie z art. 23 ust 3 ustawy z dnia 22 sierpnia 1997 r. o publicznej służbie krwi. Umowy w imieniu Ministra Zdrowia zostaną przygotowane przez NCK.
 - 2.2 Etap drugi – do realizacji od 2019 roku - tworzenie depozytów koncentratów czynników krzepnięcia w podmiotach leczniczych, w szczególności w nowo powołanych ośrodkach leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych oraz we wskazanych przez Radę Programu podmiotach leczniczych, istotnych dla postępowania z chorymi na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne przez Państwowe Ratownictwo Medyczne, a także potwierdzenie funkcjonowania dotychczasowych depozytów.
 - 2.3 Etap trzeci - do realizacji od 2019 roku - informowanie przez RCKiK właściwego wojewody o utworzonym depozycie koncentratów czynników krzepnięcia.
 - 2.4 Etap czwarty – do realizacji począwszy od 2019 roku - wprowadzenie dostaw domowych koncentratów czynników krzepnięcia na poziomie co najmniej¹³:
 - 1) 50 pacjentów do 31 grudnia 2020 roku,
 - 2) 100 pacjentów do 31 grudnia 2021 roku (*w tym pacjenci z poprzedniego roku*),
 - 3) 150 pacjentów do 31 grudnia 2022 roku (*w tym pacjenci z poprzednich lat*),
 - 4) 200 pacjentów do 31 grudnia 2023 roku (*w tym pacjenci z poprzednich lat*).
3. W ramach realizacji celu szczegółowego „*Wzmocnienie nadzoru nad stosowaniem produktów leczniczych u ww. grupy chorych, skoordynowanie działań na szczeblu ogólnopolskim oraz podniesienie wiedzy personelu medycznego zaangażowanego w sprawowanie specjalistycznej opieki nad tą grupą chorych oraz monitorowanie leczenia z wykorzystaniem rejestru medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne*”, wyróżnia się następujące etapy w zakresie niżej wymienionych interwencji:
 - 3.1. „*Powołanie i funkcjonowanie Rady Programu*”:

¹³ W przypadku braku różnicy cenowej pomiędzy produktami kupowanymi z dostawą do RCKiK a produktami z dostawą domową, liczba pacjentów objętych dostawami domowymi może być większa od zakładanej.

- 3.1.1. Etap pierwszy – do realizacji od 2019 roku – powołanie przez Ministra Zdrowia Rady Programu i zwołanie przez NCK pierwszego posiedzenia Rady Programu, celem ustalenia regulaminu Rady i wyboru jej władz. W przypadku wyboru kolejnych realizatorów, kooptacja przedstawicieli kolejnych ośrodków do Rady Programu.
- 3.1.2. Etap drugi – do realizacji od 2019 roku - regularne posiedzenia Rady, nie mniej niż dwa razy w ciągu roku, w razie potrzeby, dodatkowe posiedzenia na polecenie Ministra Zdrowia.
- 3.2. „*Powierzenie funkcji konsultacyjnej i szkoleniowej*”:
- 3.2.1. Etap pierwszy - po zatwierdzeniu Programu do realizacji - NCK w imieniu Ministra Zdrowia podpisze umowę na realizację ww. interwencji z ośrodkami leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, zgodnie z art. 48b ust. 1a pkt 1 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, którym powierzono funkcję konsultacyjną i szkoleniową.
- 3.2.2. Etap drugi - do realizacji od 2019 roku – coroczne prowadzenie szkoleń zgodnie z załącznikami nr 2 i 3 do Programu.
- 3.3. „*Utworzenie i prowadzenie rejestru medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne*”:
- 3.3.1. Etap pierwszy – po zatwierdzeniu Programu do realizacji, jednak nie wcześniej niż w 2020 roku – spełnienie wymogów prawnych w celu utworzenia rejestru medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, tj.:
- 1) sporządzenie analizy potrzeb utworzenia rejestru medycznego, zgodnie z art. 19 ust. 4 ustawy z dnia 28 kwietnia 2011 roku o systemie informacji w ochronie zdrowia,
 - 2) opracowanie rozporządzenia ministra właściwego do spraw zdrowia dotyczącego utworzenia rejestru medycznego, zgodnie z art. 20 ust. 1 ustawy z dnia 28 kwietnia 2011 roku o systemie informacji w ochronie zdrowia.
- 3.3.2. Etap drugi – do realizacji od 2021 roku (*etap uzależniony jest od terminu wejścia w życie rozporządzenia ministra właściwego do spraw zdrowia dotyczącego utworzenia rejestru medycznego*) – wytworzenie oprogramowania i zakup infrastruktury do utrzymania rejestru medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.
- 3.3.3. Etap trzeci – do realizacji od IV kwartału 2021 roku (*etap uzależniony jest od terminu wejścia w życie rozporządzenia ministra właściwego do spraw zdrowia dotyczącego utworzenia rejestru medycznego*) –utrzymywanie rejestru medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.

IV.2. Warunki realizacji programu polityki zdrowotnej dotyczące personelu, wyposażenia i warunków lokalowych.

1. Realizatorzy w części dotyczącej celu szczegółowego: „*Poprawa jakości życia osób chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, zmniejszenie chorobowości poprzez objęcie opieką w specjalistycznych ośrodkach dedykowanych tej grupie chorych*”:
- 1.1. Umowy na realizację interwencji dotyczących ww. celu szczegółowego w zakresie leczenia dorosłych zostaną zawarte z podmiotami leczniczymi spełniającymi wymagania rozporządzenia 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 lub B, którym Minister Zdrowia powierzy do realizacji zadania Programu, zgodnie z art. 48b ust. 1a pkt 1 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych.
- W załączniku nr 4 do Programu lista podmiotów leczniczych, z którymi zostaną zawarte umowy w zakresie leczenia dorosłych.
- 1.2. Umowy na realizację ww. celu szczegółowego w zakresie leczenia dzieci zostaną zawarte z podmiotami leczniczymi realizującymi program lekowy „*Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B*”, którym

Minister Zdrowia powierzy do realizacji zadania Programu zgodnie z art. 48b ust. 1a pkt 1 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z podmiotami leczniczymi realizującymi program lekowy „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”. W załączniku nr 5 do Programu lista podmiotów leczniczych, z którymi zostaną zawarte umowy w zakresie leczenia dzieci.

2. W części dotyczącej celu szczegółowego „Zaopatrzenie w leki niezbędne dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, poprawa jakości obsługi tej grupy chorych poprzez zmniejszenie uciążliwości związanych z odbiorem produktów leczniczych, celem prowadzenia profilaktyki i leczenia domowego” działania będą wykonywane przez RCKiK, a w przypadku dostaw domowych koncentratów czynników krzepnięcia, przez wykonawcę zamówienia publicznego na zakup produktu leczniczego wraz z dostawą domową (koszt dostawy domowej będzie wówczas wliczony w cenę produktu leczniczego).
3. W części dotyczącej celu szczegółowego „Wzmocnienie nadzoru nad stosowaniem produktów leczniczych u ww. grupy chorych, skoordynowanie działań na szczeblu ogólnopolskim oraz podniesienie wiedzy personelu medycznego zaangażowanego w sprawowanie specjalistycznej opieki nad tą grupą chorych oraz monitorowanie leczenia z wykorzystaniem rejestru medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne” w zakresie interwencji „Powierzenie funkcji konsultacyjnej i szkoleniowej”, działania będą realizowane przez dwa ośrodki referencyjne drugiego stopnia zlokalizowane w Warszawie, tj.: Instytut Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie oraz Samodzielny Publiczny Dziecięcy Szpital Kliniczny w Warszawie.
4. W części dotyczącej celu szczegółowego „Wzmocnienie nadzoru nad stosowaniem produktów leczniczych u ww. grupy chorych, skoordynowanie działań na szczeblu ogólnopolskim oraz podniesienie wiedzy personelu medycznego zaangażowanego w sprawowanie specjalistycznej opieki nad tą grupą chorych oraz monitorowanie leczenia z wykorzystaniem rejestru medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne” w zakresie interwencji „Utworzenie i prowadzenie rejestru medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne” działania będą realizowane przez Centrum Systemów Informacyjnych Ochrony Zdrowia.

V. Sposób monitorowania i ewaluacji programu polityki zdrowotnej.

Monitorowanie i ewaluacja będzie prowadzona przez NCK i Radę Programu.

V.1. Monitorowanie:

1. Półroczne monitorowanie liczby pacjentów, objętych opieką ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, którym założono karty postępowania, zgodnie z załącznikiem nr 1.
2. Coroczne monitorowanie wskaźników zużycia poszczególnych rodzajów koncentratów czynników krzepnięcia na mieszkańca kraju (wskaźniki zużycia będą wyliczane na podstawie zużycia w ramach niniejszego Programu, w przypadku czynników VIII i IX sumowane będzie zużycie czynników osoczopochodnych i rekombinowanych).
3. Coroczne monitorowanie liczby pacjentów, u których faktycznie wykonywano dostawy domowe koncentratów czynników krzepnięcia.
4. Bieżące monitorowanie liczby utworzonych depozytów koncentratów czynników krzepnięcia w stosunku do liczby depozytów wskazanych przez Radę Programu.
5. Coroczne monitorowanie liczby uczestników szkoleń prowadzonych przez ośrodki leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, którym powierzono funkcję konsultacyjną i szkoleniową.
6. Narzędziem wspomagającym monitorowanie będzie internetowy system zleceń na koncentraty czynników krzepnięcia i desmopresynę działający w ramach aplikacji komputerowej, udostępnionej przez Narodowy Fundusz Zdrowia:

- 6.1. W ramach aplikacji lekarz ma możliwość wystawienia zamówienia indywidualnego na produkty krwiopochodne, rekombinowane koncentraty czynników krzepnięcia oraz desmopresynę, a w przypadku wystawienia takiego dokumentu w formie papierowej, RCKiK jest zobowiązane do wprowadzenia danych do systemu informatycznego.
- 6.2. Wprowadzone dane pozostają w systemie informatycznym umożliwiając tworzenie wybranych raportów, jak również eksport zanonimizowanych danych do formatu edytowalnego.
- 6.3. Wybrane raporty będą scalać dane z niniejszego Programu oraz programu lekowego „*Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B*”.
- 6.4. Doświadczenia w funkcjonowaniu internetowego systemu zleceń na koncentraty czynników krzepnięcia i desmopresynę będą wykorzystane w pracach nad rejestrem chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.

V.2. Ewaluacja:

Podczas ewaluacji Programu wykorzystywane będą niżej wskazane wskaźniki realizacji Programu:

1. liczba pacjentów, objętych opieką ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych na koniec programu polityki zdrowotnej,
2. wskaźniki zużycia poszczególnych rodzajów koncentratów czynników krzepnięcia na mieszkańca kraju,
3. liczba pacjentów objętych dostawami domowymi koncentratów czynników krzepnięcia,
4. liczba uczestników szkoleń w ramach Programu,

Dane do oceny stopnia realizacji Programu gromadzić będzie NCK.

VI . Budżet programu polityki zdrowotnej.

W ramach Programu finansowane będą niżej wymienione działania:

1. opieka nad pacjentami przez utworzone ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, w ramach interwencji „*Powołanie i funkcjonowanie ośrodków leczenia hemofilii i pokrewne skazy krwotoczne i objęcie pacjentów kompleksową opieką w tych ośrodkach*”,
2. szkolenia w ramach interwencji „*Powierzenie funkcji konsultacyjnej i szkoleniowej*”,
3. interwencja „*Powołanie i funkcjonowanie Rady Programu*”,
4. interwencja „*Zakupy produktów leczniczych dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne oraz zapewnienie pacjentom zakupionych produktów leczniczych zgodnie z kryteriami kwalifikacji i wyłączenia w rozdziale III. 2. Programu*”,
5. interwencja „*Utworzenie i prowadzenie rejestru medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne*”.

VI.1. Koszty jednostkowe.

INTERWENCJA	2019		2020		2021	2022	2023
	Koszty zaangażowane	Koszty planowane	Koszty zaangażowane	Koszty planowane			
Powołanie i funkcjonowanie ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych i objęcie pacjentów kompleksową opieką w tych ośrodkach	300,00 zł	300,00 zł	300,00 zł	300,00 zł	300,00 zł	300,00 zł	300,00 zł
Powierzenie funkcji konsultacyjnej i szkoleniowej	51,84 zł	26,67 zł	0 zł	0 zł	27,67 zł	27,67 zł	27,67 zł
Powołanie i funkcjonowanie Rady Programu	1,96 zł	5,00 zł	0,24 zł	5,00 zł	5,00 zł	5,00 zł	5,00 zł
Zakupy produktów leczniczych dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne oraz zapewnienie pacjentom zakupionych produktów leczniczych zgodnie z kryteriami kwalifikacji i wyłączenia w rozdziale III. 2. Programu	97 324,93 zł	47 116,67 zł	100 198,82	52 361,00 zł	58 616,67 zł	61 600,00 zł	63 650,00 zł
Utworzenie i prowadzenie rejestru medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne	0,00 zł	0,00 zł	0,00 zł	0,00 zł	475,83 zł	73,00 zł	73,00 zł
Łącznie:	97 678,73 zł	47 448,34 zł	100 499,06 zł	52 666,00 zł	59 425,17 zł	62 005,67 zł	64 055,67 zł

Tabela 12. Koszty ww. interwencji na jednego pacjenta na poszczególne lata realizacji Programu (*koszty jednostkowe oszacowano przy założeniu udziału w Programie 6 000 pacjentów – dotyczy kosztów planowanych, w przypadku lat 2019-2020 koszty zaangażowane - dla faktycznej liczby pacjentów*).

VI.2. Koszty całkowite.

INTERWENCJA	FINANSOWANIE DZIAŁANIE	2019		2020		2021	2022	2023
		Koszty zaangażowane	Koszty planowane	Koszty zaangażowane	Koszty planowane			
Powołanie i funkcjonowanie ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych i objęcie pacjentów kompleksową opieką w tych ośrodkach	Działania wskazane w rozdziale III.3 Programu, pkt 1.1	872 700,00 zł <i>(2909 pacjentów × 300 zł)</i>	1 800 000 zł <i>(6000 pacjentów × 300 zł)</i>	1 067 400 zł <i>(3558 pacjentów × 300 zł)</i>	1 800 000 zł <i>(6000 pacjentów × 300 zł)</i>	1 800 000 zł <i>(6000 pacjentów × 300 zł)</i>	1 800 000 zł <i>(6000 pacjentów × 300 zł)</i>	1 800 000 zł <i>(6000 pacjentów × 300 zł)</i>
Powierzenie funkcji konsultacyjnej i szkoleniowej	Szkolenia kadry medycznej	150 800 zł	160 000 zł	0 zł	0 zł	332 000 zł	166 000 zł	166 000 zł
Powołanie i funkcjonowanie Rady Programu	Finansowanie kosztów dojazdu na posiedzenia oraz obsługi 36+ organizacyjnej posiedzeń	5 715,37 zł	30 000 zł	866,60	30 000 zł	30 000 zł	30 000 zł	30 000 zł
Zakupy produktów leczniczych dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne oraz zapewnienie pacjentom zakupionych produktów leczniczych zgodnie z kryteriami kwalifikacji i wyłączenia w rozdziale III. 2. Programu	Finansowanie produktów leczniczych zgodnie z tabelą 14	283 118 224,43 zł	282 700 000 zł	356 507 392,50 zł	314 166 000 zł	351 700 000 zł	369 600 000 zł	381 900 000 zł
Utworzenie i prowadzenie rejestru medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne	1. Wytworzenie oprogramowania 2. Zakup infrastruktury 3. Utrzymanie rejestru 4. Koszty po stronie CSIOZ	0 zł	0 zł	0 zł	0 zł <i>(sporządzenie analizy potrzeb utworzenia rejestru medycznego i opracowanie rozporządzenia)</i>	2 855 000 zł	438 000 zł	438 000 zł
łącznie		284 147 439,80 zł*	284 690 000 zł	357 575 659,10	315 996 000 zł	356 551 000 zł	372 034 000 zł	384 334 000 zł

Tabela 13. Koszty całkowite interwencji na poszczególne lata.

*plan finansowy na 2019 rok po zmianach

program polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia
Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019-2023

NAZWA PRODUKTU LECNICZEGO ¹⁴	2019		2020		2021	2022	2023
	Ilości zakupione	Ilości planowane	Ilości zakupione	Ilości planowane			
koncentrat czynnika VIII (j.m.)	249 339 750	200 000 000	228 673 500	225 000 000	250 000 000	280 000 000	290 000 000
koncentrat rekombinowanego czynnika VIII (j.m.)	2 630 000	1 500 000	8 300 000	2 500 000	4 000 000	8 000 000	14 000 000
koncentrat czynnika IX (j.m.)	35 599 400	28 000 000	31 036 600	32 000 000	36 000 000	38 000 000	40 000 000
koncentrat rekombinowanego czynnika IX (j.m.)	170 000	450 000	700 000	700 000	1 000 000	1 500 000	2 000 000
koncentrat czynnika VIII zawierającego czynnik von Willebranda o proporcji VWF:FVIII co najmniej 1:1 (j. m. czynnika von Willebranda)	13 000 200	10 000 000	15 999 600	12 000 000	12 500 000	13 500 000	15 000 000
koncentrat czynnika VIII zawierającego czynnik von Willebranda o proporcji VWF:FVIII co najmniej 2:1 (jednostka międzynarodowa czynnika von Willebranda)	4 990 200	10 000 000	9 041 400	11 000 000	12 000 000	13 000 000	14 000 000
koncentrat czynników zespołu protrombiny (PCC) (j.m.)	609 600	1 000 000	558 000	1 100 000	1 200 000	1 350 000	1 500 000
koncentrat aktywowanych czynników zespołu protrombiny (aPCC) (j.m.)	23 500 000	22 500 000	30 117 000	16 462 000	18 616 000	18 616 000	18 616 000
Emicizumab (mg)	-	-	160 950	113 400	151 200	151 200	151 200
koncentrat czynnika VII (j.m.)	645 000	650 000	880 200	650 000	700 000	700 000	750 000
koncentrat rekombinowanego czynnika VIIa (mg)	20 500	31 000	36 800	33 500	25 200	25 200	25 200
Koncentrat rekombinowanego wieprzowego czynnika VIII (j. m.)	0	0	0	0	4 732 000	4 732 000	4 732 000
koncentrat fibrynogenu (g)	470	250	590	275	300	330	350
koncentrat czynnika XIII (j.m.)	244 750	180 000	80 000	200 000	225 000	250 000	275 000
desmopresyna dożylna w amp. 4 µg (amp.)	1 900	2 250	1 800	2 500	2 750	3 000	3 250
desmopresyna donosowa (opak.)	958	550	6	600	650	700	750
Razem (PLN)	283 118 224,43 zł*	282 700 000 zł	356 507 392,50 zł	314 000 000 zł	351 700 000 zł	369 600 000 zł	381 900 000 zł

Tabela 14. Ilości koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny przewidywane do zakupu w kolejnych latach realizacji Programu.

¹⁴ Zgodnie z art. 29 ust. 3 ustawy z dnia 29 stycznia 2004 roku Prawo zamówień publicznych, nie wskazuje się nazw handlowych produktów leczniczych, dopuszczając wybór dowolnego produktu w danym rodzaju w zależności od wyniku postępowania o udzielenie zamówienia publicznego.

*plan finansowy na 2019 rok

Uzasadnienie:

Wzrost ilości stosowanych produktów leczniczych będzie następował z uwagi na upowszechnianie się opieki nad pacjentami przez ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych. Obecnie, chorzy którzy nie mają kontaktu z hematologami, wielokrotnie przyjmują zbyt małe dawki leków (*poniżej ilości wskazanych w zaleceniach*).

Duży wzrost zaopatrzenia w koncentraty rekombinowanych czynników VIII i IX wynika ze zwiększenia liczby dzieci, które nie otrzymywały wcześniej produktów osoczopochodnych, wzrostu ich masy ciała oraz zabezpieczenia leku dla dorosłych uczulonych na produkty osoczopochodne.

Jednocześnie Program zakłada bardzo ograniczony wzrost stosowania koncentratu aktywowanych czynników zespołu protrombiny (*aPCC*) i koncentratu rekombinowanego czynnika VIIa, gdyż zakłada się, że wobec poprawiającej się opieki, nie powinno przybywać pacjentów z inhibitorami.

VI.3. Źródła finansowania.

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

VII. Bibliografia

1. Windyga J., K. Chojnowski K, Klukowska, Łętowska M, Mital A, Młynarski W, Musiał J, Peregud-Pogorzelski J, Podolak-Dawidziak M, Treliński J, Undas A, Urański T, Zdziarska J, Zawilska K. Część II: Wytyczne postępowania w hemofilii A i B powiklanej inhibitorem czynnika VIII i IX (2 wydanie). *Acta Hematol. Pol.* 2017; 48(3) 137-159.
2. Windyga J, Chojnowski K, Klukowska A, Łętowska M, Mital A, Musiał J, Peregud-Pogorzelski J, Podolak-Dawidziak M, Treliński J, Undas A, Urański T, Zdziarska J, Zawilska K. Wytyczne postępowania w hemofilii A i B niepowiklanej inhibitorem czynnika VIII i IX (wydanie zaktualizowane). *Acta Haematol Pol.* 2016;47(2): 86-114.
3. Zawilska K, Chojnowski K, Klukowska A, Łętowska M, Mital A, Musiał J, Podolak-Dawidziak M, Undas A, Windyga J, Zdziarska J. w imieniu Grupy Roboczej ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów. Polskie zalecenia postępowania w rzadkich niedoborach osoczowych czynników krzepnięcia. *Hematologia*, 2(4), 2011, 303-310.
4. Windyga J, Chojnowski K, Klukowska A, Łętowska M, Mital A, Musiał J, Podolak-Dawidziak M, Undas A, Zdziarska J, Zawilska K. Polskie zalecenia postępowania w nabytej hemofilii A w imieniu Grupy Roboczej ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów. *Med. Prakt.*, 2011, 10: 42-51.
5. Zdziarska J, Chojnowski K, Klukowska A, Łętowska M, Mital A, Podolak-Dawidziak M, Windyga J, Zawilska K. Postępowanie w chorobie von Willebranda. Zalecenia Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów 2008. *Medycyna Praktyczna*, wyd. specj. 12/2008.
6. Chojnowski K, Klukowska A, Łętowska M, Musiał J, Mital A, Podolak-Dawidziak M, Windyga J, Zdziarska J, Zawilska K. Polskie zalecenia postępowania we wrodzonych skazach krwotocznych na tle niedoboru czynników krzepnięcia. Część III: Zasady postępowania we wrodzonych zaburzeniach czynności płytek krwi. *Acta Haematologica Polonica* 2009, 40(3): 731-763.

Załącznik nr 1

KARTA POSTĘPOWANIA

Dane ośrodka (*nazwa, adres, telefony w godzinach pracy, telefon całodobowy - konsultacje*):

Dane pacjenta (*imię i nazwisko, PESEL, adres zamieszkania*):

Dane opiekuna prawnego (*imię i nazwisko, adres zamieszkania*):

Rozpoznanie skazy krwotocznej (*rodzaj, postać, obecność inhibitora*):

Inne choroby, stosowane leki:

Aktualna masa ciała:

Objawy/dolegliwości pacjenta:

Aktualne leczenie (*preparaty, schemat leczenia, zalecane dawki: profilaktyczne, do leczenia niewielkich krwawień, do leczenia krwawień zagrażających życiu*):

Pozostałe zalecenia:

Inne informacje:

Lekarz prowadzący w ośrodku leczenia hemofilii:

Daty aktualizacji karty:

Termin aktualizacji karty w ośrodku leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych (*data ważnego zalecenia*):

Informacje ogólne:

Niniejsza karta jest jednocześnie zleceniem dożylnego podania koncentratu czynnika krzepnięcia/desmopresyny. Koncentrat czynnika krzepnięcia/desmopresynę można podawać w każdej placówce służby zdrowia, w tym w POZ oraz SOR/IP, jak również w warunkach domowych (*bez obecności lekarza*).

UWAGA: Warunkiem wystawienia zamówienia na produkty lecznicze przez lekarza z innego podmiotu leczniczego niż ośrodek leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne do profilaktyki i leczenia domowego jest przedstawienie przez pacjenta karty postępowania, z uwzględnieniem informacji w niej zawartej – obowiązuje od 1 stycznia 2022 roku.

Opóźnienie podania koncentratu czynnika krzepnięcia/desmopresyny może spowodować znaczny uszczerbek na zdrowiu, a nawet zagrożenie życia. W przypadku pierwszych objawów krwawienia (np. bolesność, niewielki obrzęk, uczucie rozpięcia stawu) lub urazów niosących duże ryzyko krwawienia (urazy głowy, brzucha) należy jak najszybciej podać koncentrat czynnika krzepnięcia/desmopresynę w odpowiedniej dawce, a dopiero potem rozpocząć niezbędne badania diagnostyczne.

Pacjent objęty leczeniem domowym posiada przy sobie lub w domu odpowiedni preparat. Należy go użyć w sytuacji krwawienia lub konieczności podania dawki profilaktycznej. Jeżeli pacjent nie posiada preparatu, należy pilnie zamówić go w Regionalnym Centrum Krwiodawstwa i Krwiolécznictwa (... adres, telefon....) za pośrednictwem systemu internetowego „Czynnik na Ratunek” (<https://csm-swd.nfz.gov.pl/cnr/>). Ośrodek zamawiający nie płaci za lek, jest on finansowany z budżetu Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne.

ZASTRZEŻENIA :

- Układ graficzny karty nie jest wiążący.

- *Posiadanie karty nie warunkuje dostępu pacjenta do leczenia w stanach zagrażających zdrowiu i życiu pacjentów, jest ona dokumentem dodatkowym/pomocniczym w kontaktach pacjenta ze służbą zdrowia.*
- *Karta powinna być aktualizowana przez lekarza prowadzącego w ośrodku.*

Załącznik nr 2

Kalkulacja szkoleń, ze wskazaniem grup zawodowych, realizowanych wspólnie przez ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, którym powierzono funkcję konsultacyjną i szkoleniową*

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					
Liczba 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
Dyspozytorzy medyczni**					
Liczba grup	Ilość osób			Suma grup	Suma uczestników
Grupa I – rok 2019	30			1	30
Grupa I – lata 2020-2023	45			1	45
Liczba organizowanych szkoleń w ciągu roku - 10					
Suma wszystkich uczestników szkolenia - 300 osób w roku 2019, 315 osób na rok w latach 2020-2023					
Czas trwania jednego szkolenia - 8 godz.					
Koszt szkoleń					
Wykładowca	1h= 500 zł	8h= 4000 zł			
Obsługa (sala, catering, materiały edukacyjne, inne koszty organizacyjne)	400 zł od osoby				
Ogólne koszty					
Wykładowca	40 000 zł				
Obsługa (sala, catering, materiały edukacyjne, inne koszty organizacyjne) – rok 2019	120 000 zł				
Obsługa (sala, catering, materiały edukacyjne, inne koszty organizacyjne) – lata 2020-2023	126 000 zł				
SUMA – rok 2019	160 000 zł				
SUMA w roku – lata 2020-2023	166 000 zł				

*Kalkulacja sporządzona dla szkoleń stacjonarnych. Rada Programu może podjąć decyzję o zastąpieniu szkoleń stacjonarnych szkoleniami e-learningowymi w ramach przewidzianego budżetu i pod warunkiem uzyskania takiej samej liczby uczestników, jak zakładana w szkoleniach stacjonarnych.

**Dyspozytorów medycznych na szkolenia kierują pracodawcy. Realizator może dodatkowo zwrócić się o wsparcie do innych podmiotów w pozyskiwaniu uczestników, np. ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, konsultantów wojewódzkich, towarzystw naukowych i związków zawodowych.

***Z uwagi na zagrożenie epidemiologiczne szkolenia z 2020 roku zostały przeniesione na 2021 rok.

Załącznik nr 3

Tematyka szkoleń realizowanych wspólnie przez ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, którym powierzono funkcję konsultacyjną i szkoleniową.

Lp.	Grupa zawodowa	Tematy szkoleń*
1.	Lekarze	Wrodzone i nabyte osoczowe skazy krwotoczne – patofizjologia, obraz kliniczny, diagnostyka i leczenie
		Wrodzone i nabyte płytkowe skazy krwotoczne – patofizjologia, obraz kliniczny, diagnostyka i leczenie
		Wrodzone i nabyte naczyniowe skazy krwotoczne – patofizjologia, obraz kliniczny, diagnostyka i leczenie
		Wrodzone i nabyte skazy krwotoczne – postępowanie w stanach nagłych
		Zasady rozpoznawania krwawień i ich powikłań
		Organizacja systemu opieki nad chorymi na skazy krwotoczne w Polsce (regulacje prawne, system dystrybucji czynników, leczenie domowe)
		Zasady podawania i przechowywania dostępnych w Polsce produktów leczniczych do leczenia skaz krwotocznych
2.	Pielęgniarki	Wrodzone i nabyte skazy krwotoczne – podstawowe informacje na temat patofizjologii, obrazu klinicznego i leczenia
		Zasady rozpoznawania krwawień i ich powikłań
		Wrodzone i nabyte skazy krwotoczne – postępowanie w stanach nagłych
		Zasady podawania i przechowywania dostępnych w Polsce produktów leczniczych do leczenia skaz krwotocznych
		Techniki dojścia dożylnego u chorych na skazy krwotoczne
		Edukacja pacjentów i ich rodzin
		Organizacja systemu opieki nad chorymi na skazy krwotoczne w Polsce (regulacje prawne, system dystrybucji czynników, leczenie domowe)
3.	Fizjoterapeuci	Wrodzone i nabyte skazy krwotoczne – podstawowe informacje na temat patofizjologii, obrazu klinicznego i leczenia
		Patofizjologia i leczenie artropatii w przebiegu skaz krwotocznych
		Nowoczesne metody fizjoterapii w leczeniu artropatii hemofilowej
		Warsztaty praktyczne

program polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia
Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019-2023

4.	Diagności laboratoryjni	Diagnostyka wrodzonych i nabytych osoczowych skaz krwotocznych
		Diagnostyka wrodzonych i nabytych płytkowych skaz krwotocznych
		Monitorowanie leczenia czynnikami krzepnięcia i desmopresyną
		Współpraca diagnosty i lekarza w zakresie rozpoznawania i leczenia skaz krwotocznych
		Wrodzone i nabyte skazy krwotoczne – postępowanie w stanach nagłych
		Zasady podawania i przechowywania dostępnych w Polsce produktów leczniczych do leczenia skaz krwotocznych
		Warsztaty praktyczne
5.	Ratownicy medyczni	Wrodzone i nabyte skazy krwotoczne – podstawowe informacje na temat patofizjologii, obrazu klinicznego i leczenia
		Wrodzone i nabyte skazy krwotoczne – postępowanie w stanach nagłych
		Zasady rozpoznawania krwawień i ich powikłań
		Organizacja systemu opieki nad chorymi na skazy krwotoczne w Polsce (regulacje prawne, system dystrybucji czynników, leczenie domowe)
		Zasady podawania i przechowywania dostępnych w Polsce produktów leczniczych do leczenia skaz krwotocznych
		Techniki dojścia dożylnego u chorych na skazy krwotoczne
6.	Dyspozytorzy medyczni	Wrodzone i nabyte skazy krwotoczne – podział i podstawowe informacje na temat obrazu klinicznego
		Wrodzone i nabyte skazy krwotoczne – postępowanie w stanach nagłych
		Organizacja systemu opieki nad chorymi na skazy krwotoczne w Polsce (regulacje prawne, system dystrybucji czynników, leczenie domowe)
		Zasady podawania i przechowywania dostępnych w Polsce produktów leczniczych do leczenia skaz krwotocznych

*W przypadku podjęcia przez Radę Programu decyzji o zastąpieniu szkoleń stacjonarnych szkoleniami e-learningowymi, szkolenia e-learningowe będą uwzględniać wszystkie tematy.

Załącznik nr 4

Lista realizatorów Programu w zakresie interwencji „*powołanie i funkcjonowanie ośrodków leczenia hemofilii i pokrewne skazy krwotoczne i objęcie pacjentów kompleksową opieką w tych ośrodkach*” dla dorosłych.*

Województwo	szpital	adres szpitala	dane kontaktowe
podlaskie	Uniwersytecki Szpital Kliniczny w Białymstoku	ul. M. Skłodowskiej 24a 15-276 Białystok	Tel. (85) 746 82 07
kujawsko-pomorskie	Szpital Uniwersytecki nr 2 im. dr Jana Bizuela w Bydgoszczy	ul. Ujejskiego 75 85-168 Bydgoszcz	Tel. (52) 365 52 75
	Specjalistyczny Szpital Miejski im. Mikołaja Kopernika w Toruniu	ul. Batorego 17/19 87-100 Toruń	Tel.: (56) 610 03 21; (56) 610 04 13; (56) 610 04 17
pomorskie	Uniwersyteckie Centrum Kliniczne w Gdańsku	ul. Dębinki 7 80-952 Gdańsk	Tel. (58) 349 28 76
śląskie	Samodzielny Publiczny Szpital Kliniczny im. Andrzeja Mielęckiego Śląskiego Uniwersytetu Medycznego w Katowicach	ul. Francuska 20-24 40-027 Katowice	Tel. (32) 259 12 00
świętokrzyskie	Świętokrzyskie Centrum Onkologii Samodzielny Publiczny Zakład Opieki Zdrowotnej w Kielcach	ul. Stefana Artwińskiego 3 25-734 Kielce	Tel. (41) 367 48 48,(41) 367 48 47, (41) 367 48 42
małopolskie	Szpital Uniwersytecki w Krakowie	ul. Mikołaja Kopernika 36 31-501 Kraków	Tel. (12) 424 76 32
lubelskie	Samodzielny Publiczny Szpital Kliniczny Nr 1 w Lublinie	ul. Stanisława Staszica 16 20-081 Lublin	Tel. (81) 534 23 97; (81) 534 54 92; (81) 534 54 96; (81) 534 54 56; (81) 534 54 48
łódzkie	Wojewódzkie Wielospecjalistyczne Centrum Onkologii i Traumatologii im. M. Kopernika w Łodzi	ul. Pabianicka 62 93-513 Łódź	Tel.: (42) 689 51 91; (42) 689 51 93; (42) 689 51 96
wielkopolskie	Szpital Kliniczny Przemienienia Pańskiego Uniwersytetu Medycznego im. Karola Marcinkowskiego w Poznaniu	ul. Długa 1/2 61-848 Poznań	Tel. centrala: (61) 854 90 00 fax (61) 852 94 72
zachodniopomorskie	Samodzielny Publiczny Szpital Kliniczny Nr 1 Pomorskiego Uniwersytetu Medycznego im. prof. Tadeusza Sokołowskiego w Szczecinie	ul. Unii Lubelskiej 1 71-252 Szczecin	Tel. (91) 425 33 47; 695 112 044
mazowieckie	Instytut Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie	ul. Indry Gandhi 14 02-776 Warszawa	Tel. (22) 34 96 158; (22) 34 96 481; (22) 349 61 54; (22) 349 61 53

program polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia
Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019-2023

dolnośląskie	Uniwersytecki Szpital Kliniczny im. Jana Mikulicza Radeckiego we Wrocławiu	ul. Borowska 213 50-556 Wrocław	Tel. (71) 733 11 00 ; (71) 733 11 10 fax (71) 733 12 09
lubuskie	Wielospecjalistyczny Szpital Wojewódzki w Gorzowie Wlkp. Spółka z Ograniczoną Odpowiedzialnością	ul. Dekerta 1 66-400 Gorzów Wielkopolski	Tel. (95) 733 18 90; (95) 7331 498; (95) 733 14 96, (95) 733 14 95
	Szpital Uniwersytecki im. Karola Marcinkowskiego Sp. z o. o. w Zielonej Górze	ul. Zyty 26, 65-046 Zielona Góra	Tel. (68) 32 96 200 , (68) 32 96 386, (68) 32 96 372

* W województwach podkarpackim, warmińsko-mazurskim i opolskim brak jest podmiotów leczniczych, które spełniają warunki dla zakresu Leczenie hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, określonych w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 22 listopada 2013 roku w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego, zał. nr 3, części I poz. 21. Pacjenci z tych województw mogą korzystać z opieki realizatorów w innych województwach. W przypadku wyspecjalizowania się podmiotów leczniczych spełniających warunki ww. rozporządzenia dla leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych w województwach: podkarpackim, warmińsko-mazurskim i opolskim, dopuszcza się podpisanie z nimi umów na realizację Programu.

Załącznik nr 5

Lista realizatorów Programu w zakresie interwencji „powołanie i funkcjonowanie ośrodków leczenia hemofilii i pokrewne skazy krwotoczne i objęcie pacjentów kompleksową opieką w tych ośrodkach” dla dzieci.*

Województwo	szpital	adres szpitala	dane kontaktowe
podlaskie	Uniwersytecki Dziecięcy Szpital Kliniczny im. Ludwika Zamenhofs Białymstoku	ul. Waszyngtona 17 15-274 Białystok	Tel. (85) 74 50 842, 74 50 846
kujawsko-pomorskie	Szpital Uniwersytecki nr 1 im. dr Antoniego Jurasza w Bydgoszczy	ul Skłodowskiej-Curie 9 85-094 Bydgoszcz	Tel. (52) 781 446 829, 585 48 60
pomorskie	Uniwersyteckie Centrum Kliniczne w Gdańsku	ul. Dębinki 7 80-952 Gdańsk	Tel. (58) 349 28 76, 349 28 80
śląskie	Samodzielny Publiczny Szpital Kliniczny Nr 1 im. Prof. Stanisława Szyszko w Zabrze, Śląskiego Uniwersytetu Medycznego	ul. 3 Maja 13-15 41-800 Zabrze	Tel. (32) 37 04 381 lub 372, 373
świętokrzyskie	Wojewódzki Szpital Zespolony w Kielcach, Świętokrzyskie Centrum Pediatrii im. Władysława Buszkowskiego	ul. Grunwaldzka 45 25-736 Kielce	Tel. (41) 345 63 25, 345 85 53 wew. 32,35, 347 05 60
małopolskie	Uniwersytecki Szpital Dziecięcy w Krakowie	ul. Wielicka 265 30-663 Kraków	Tel. (12) 658 20 11, 333 92 20 lub 21
lubelskie	Uniwersytecki Szpital Dziecięcy w Lublinie	ul. Gębali 6 20-093 Lublin	Tel. (81) 718 88 11, 718 55 00, 718 55 20
łódzkie	Centralny Szpital Kliniczny Uniwersytetu Medycznego w Łodzi, Ośrodek Pediatriczny im. M. Konopnickiej	ul. Pomorska 251 92-213 Łódź	Tel. (42) 61 77 959, 61 77 757 lub 751, 750
warmińsko-mazurskie	Wojewódzki Specjalistyczny Szpital Dziecięcy im. Prof. Stanisława Popowskiego w Olsztynie	ul. Żołnierska 18 A 10-561 Olsztyn	Tel. (89) 539 33 75 lub 71, 533 319 557
wielkopolskie	Specjalistyczny Zespół Opieki Zdrowotnej nad Matką i Dzieckiem w Poznaniu	ul. B. Kryszewicza 7/8 61-825 Poznań	Tel. (61) 850 62 79 lub 78, 85
podkarpackie	Kliniczny Szpital Wojewódzki nr 2 im. Św. Jadwigi Królowej w Rzeszowie	ul. Lwowska 60 35-301 Rzeszów	Tel. (17) 866 46 01 lub 588
zachodniopomorskie	Samodzielny Publiczny Szpital Kliniczny Nr 1 im. Prof. Tadeusza Sokołowskiego, PUM w Szczecinie	ul. Unii Lubelskiej 1 71-252 Szczecin	Tel. (91) 425 31 60 lub 61, 695 112 034
mazowieckie	Uniwersyteckie Centrum Kliniczne Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego	ul. Żwirki i Wigury 63 A 02-091 Warszawa	Tel. (22) 317 96 20 lub 21, 790 338 596

program polityki zdrowotnej Ministra Zdrowia
Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019-2023

dolnośląskie	Uniwersytecki Szpital Kliniczny im. Jana Mikulicza Radeckiego we Wrocławiu	ul. Borowska 213 50-556 Wrocław	Tel. (71) 733 27 00 lub 85, 885 852 282
lubuskie	Szpital Uniwersytecki im. Karola Marcinkowskiego Sp. z o. o. w Zielonej Górze	ul. Zyty 26 65-046 Zielona Góra	Tel. (68) 32 96 386, 603 563 648, 722 213 999

* W województwie opolskim brak jest podmiotu leczniczego, który realizuje program „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”. W przypadku wyspecjalizowania się takiego podmiotu leczniczego w województwie opolskim dopuszcza się podpisanie z nim umowy na realizację Programu.

Załącznik nr 6

Wykaz informacji, jakie powinny znaleźć się w karcie chorego na hemofilię.

1. Dane pacjenta wraz z rozpoznaną skazą krwotoczną, poziomem czynnika, grupą krwi, informacją czy pacjent odpowiada na desmopresynę i czy ma inhibitor oraz inne istotne informacje medyczne, pieczęć i podpis lekarza.
2. Opis zalecanego leczenia:
 - w przypadku krwawień zagrażających życiu,
 - w przypadku krwawień łagodnych lub umiarkowanych.
3. Informacja o zasadzie „*najpierw czynnik*”, mówiąca o tym, że:
 - Najpierw podaj czynnik potem diagnozuj!
 - Niezwłoczne podanie leku powstrzyma krwawienie, zminimalizuje poważne komplikacje i może uratować życie.
 - Jeśli krwawienie przedłuża się, jest poważne lub zagraża życiu, postępuj zgodnie z podanymi zaleceniami.
 - Należy skontaktować się z ośrodkiem leczenia chorych na hemofilię i pokrewnych skaz krwotocznych celem określenia działań, planu postępowania w razie konieczności przewiezienia pacjenta do szpitala, dane teleadresowe ośrodka leczenia chorych na hemofilię.
 - Opóźnienie w podaniu czynnika i podjęciu leczenia może spowodować zagrożenie dla życia lub pojawienie się poważnych powikłań.
4. Ponadto informacje o tym, że:
 - jeśli pacjent nie otrzymał koncentratu czynnika krzepnięcia, nie może być poddany zabiegowi inwazyjnemu,
 - nie wolno wykonywać zastrzyków domięśniowych,
 - nie wolno podawać aspiryny i innych niesteroidowych leków przeciwzapalnych,
 - pacjent lub jego opiekun może być źródłem ważnych informacji o sposobie leczenia,
 - w ostrych stanach po podaniu czynnika należy zastosować rutynowe leczenie.
5. Klasyfikacja krwawień w związku z umiejscowieniem krwawień:
 - zagrażających zdrowiu lub życiu: w obrębie głowy oraz szyi, klatki piersiowej, jamy brzusznej, miednicy, kręgosłupa, do mięśnia biodrowo-łędźwiowego, masywny krwotok z dróg rodnych np. u kobiet z chorobą von Willebranda, krwiaki śródmięśniowe uciskające na naczynia krwionośne i nerwy, krwiaki w związku ze złamaniami lub zwichnięciami, głębokie rany, trudne do opanowania krwotoki w innych okolicach ciała,
 - krwawienia umiarkowane i niewielkie: z nosa, w jamie ustnej, w stawach, krwotoczna miesiączka, krwiomocz.
6. Informacje o sposobie postępowania z chorymi na hemofilię:
 - w przypadku zagrożenia życia chorych:
hemofilia A: dożylnie podanie koncentratu czynnika krzepnięcia VIII. W przypadku ciężkiego krwawienia lub jego podejrzenia dawka: 40-50 j.m./kg,
hemofilia B: dożylnie podanie koncentratu czynnika krzepnięcia IX. W przypadku ciężkiego krwawienia lub jego podejrzenia dawka: 80-100 j.m./kg,
choroba von Willebranda: dożylnie podanie koncentratu czynnika VIII zawierającego czynnik von Willebranda. W przypadku ciężkiego krwawienia lub jego podejrzenia dawka: 50 j.m./kg aktywności czynnika von Willebranda (kofaktora ristocetyny).
 - w przypadku typowych krwawień:
hemofilia A: (postać ciężka/umiarkowana): koncentrat czynnika krzepnięcia VIII 20-30 j.m./kg; (postać łagodna, o ile chory odpowiada na desmopresynę): desmopresyna (DDAVP) 0.3 mcg/kg i.v.,
hemofilia B: (postać ciężka/umiarkowana/ łagodna): koncentrat czynnika krzepnięcia IX 40-60 j.m./kg (UWAGA! w przypadku koncentratu rekombinowanego czynnika IX dawkowanie należy zwiększyć; patrz ulotka o leku),
choroba von Willebranda: desmopresyna (DDAVP) 0,3 mcg/kg i.v. u pacjentów odpowiadających na desmopresynę (typ 1, czasem typ 2); koncentrat czynnika VIII zawierający czynnik von Willebranda 25-40 j.m./kg u pacjentów nieodpowiadających na desmopresynę (typ 3, typ 2),
 - w krwawieniach śluzówkowych w przypadku wszystkich skaz krwotocznych:
dodatkowo kwas traneksamowy (Exacyl) 2-4 g/d (u dzieci 20 mg/kg/d) w 2-3 dawkach podzielonych przez 1-7 dni (przeciwwskazaniem jest krwiomocz).
7. Dla ratowania życia jest konieczne natychmiastowe podniesienie poziomu czynnika w osoczu chorego do 80-100% normy.

8. Informację aby w przypadku zagrożenia życia lub zdrowia, jak najszybciej skontaktować się z najbliższym ośrodkiem leczenia chorych na hemofilię.

Załącznik nr 7

Wykaz obowiązujących w Polsce rekomendacji dotyczących leczenia chorych na skazy krwotoczne.

1. Windyga J., K. Chojnowski K, Klukowska, Łętowska M, Mital A, Młynarski W, Musiał J, Peregud-Pogorzelski J, Podolak-Dawidziak, M, Treliński J, Undas A, Urański T, Zdziarska J, Zawilska K. Część II: „Wytoczne postępowania w hemofilii A i B powikłanej inhibitorem czynnika VIII i IX (2 wydanie). *Acta Hematol. Pol.* 2017; 48(3) 137-159”.
2. Windyga J, Chojnowski K, Klukowska A, Łętowska M, Mital A, Musiał J, Peregud-Pogorzelski J, Podolak-Dawidziak M, Treliński J, Undas A, Urański T, Zdziarska J, Zawilska K. „Wytoczne postępowania w hemofilii A i B niepowikłanej inhibitorem czynnika VIII i IX” (wydanie zaktualizowane). *Acta Haematol Pol.* 2016;47(2): 86-114.
3. Zawilska K, Chojnowski K, Klukowska A, Łętowska M, Mital A, Musiał J, Podolak-Dawidziak M, Undas A, Windyga J, Zdziarska J. w imieniu Grupy Roboczej ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów. „Polskie zalecenia postępowania w rzadkich niedoborach osoczonych czynników krzepnięcia. *Hematologia*”, 2(4), 2011, 303-310.
4. Windyga J, Chojnowski K, Klukowska A, Łętowska M, Mital A, Musiał J, Podolak-Dawidziak M, Undas A, Zdziarska J, Zawilska K. „Polskie zalecenia postępowania w nabytej hemofilii A w imieniu Grupy Roboczej ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów. *Med. Prak.*”, 2011, 10: 42-51.
5. Zdziarska J, Chojnowski K, Klukowska A, Łętowska M, Mital A, Podolak-Dawidziak M, Windyga J, Zawilska K. „Postępowanie w chorobie von Willebranda. Zalecenia Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów 2008. *Medycyna Praktyczna*”, wyd. specj. 12/2008.
6. Chojnowski K, Klukowska A, Łętowska M, Musiał J, Mital A, Podolak-Dawidziak M, Windyga J, Zdziarska J, Zawilska K. „Polskie zalecenia postępowania we wrodzonych skazach krwotocznych na tle niedoboru czynników krzepnięcia. Część III: Zasady postępowania we wrodzonych zaburzeniach czynności płytek krwi”. *Acta Haematologica Polonica* 2009, 40(3): 731-763.

Załącznik nr 8

Procedura wdrażania nowej terapii do modułu 4 programu

Wdrożenie nowej terapii odbywać się będzie na podstawie zgłoszenia pacjenta do Rady Programu, o którym mowa w rozdziale 3.2.2. Moduł 4 Programu.

1. W celu dokonania oceny zasadności wprowadzenia nowej terapii, Narodowe Centrum Krwi, na wniosek Przewodniczącego Rady Programu, występuje do przedstawiciela podmiotu odpowiedzialnego o przedstawienie analiz umożliwiających ocenę efektywności medycznej i kosztowej nowych terapii do leków dotychczas stosowanych i możliwych do realizacji w ramach budżetu Programu. Za analizy uznaje się analizy zgodne z wymaganiami jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz o podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu.
2. Po otrzymaniu zgłoszenia pacjenta do Rady Programu oraz analiz, Przewodniczący Rady przygotowuje pismo do ministra właściwego do spraw zdrowia z prośbą o zlecenie AOTMiT dokonania weryfikacji analiz i wydania opinii dotyczącej zasadności wprowadzenia nowej terapii w oparciu o wykazaną efektywność medyczną i kosztową nowych terapii w stosunku do leków dotychczas stosowanych i możliwych do realizacji w ramach budżetu Programu.
3. W przypadku, gdy nowa terapia dotyczy jednostkowych pacjentów, a przedstawiciel podmiotu odpowiedzialnego odmówił przygotowania analiz, o których mowa w ust. 2, Przewodniczący Rady Programu może wystąpić do ministra właściwego do spraw zdrowia z prośbą o zlecenie AOTMiT wydania opinii dotyczącej zasadności wprowadzenia nowej terapii w oparciu o: udowodnioną efektywność medyczną w stosunku do leków dotychczas stosowanych i możliwość do realizacji w ramach budżetu Programu.
4. Uznanie zasadności wprowadzenia nowej terapii następuje po otrzymaniu pozytywnej opinii AOTMiT.
5. Każde głosowanie Rady Programu w ramach niniejszej procedury wymaga złożenia deklaracji o braku lub ujawnieniu konfliktu interesów, której wzór określa załącznik nr 10 do Programu. W przypadku ujawnienia konfliktu interesów tj. powiązań w okresie ostatnich trzech lat z wytwórcami lub podmiotami odpowiedzialnymi za nową terapię, albo terapię alternatywną (konkurencyjną) z omawianą terapią członek Rady Programu zostaje wyłączony z głosowania. Wyłączenie z głosowania następuje również w przypadku odmowy złożenia deklaracji.

Załącznik nr 9

ZAMÓWIENIE NA EMICIZUMAB

Imię i nazwisko pacjenta:

Numer PESEL pacjenta:

Data urodzenia (dd-mm-rrrr): - -

Termin następnej aktualizacji karty postępowania (dd-mm-rrrr): - -

Masa ciała pacjenta:

Postać hemofilii A: ciężka umiarkowana łagodna

Obecność inhibitora czynnika VIII:

niskie maksymalne miano (poniżej 5 jednostek Bethesda) wysokie maksymalne miano (powyżej 5 jednostek Bethesda)

Data oznaczenia inhibitora - -

czynnika VIII po raz ostatni (dd-mm-rrrr):

Dawka wstępna (jeżeli dotyczy): liczba dawek.....dawka jednorazowa.....

tydzień 2 tygodnie 4 tygodnie

Dawka podtrzymująca: liczba dawekdawka jednorazowa.....schemat dawkowania: do wyboru raz na:

tydzień 2 tygodnie 4 tygodnie

Preparat należy wydać przed(podać datę)

Wskazanie do podania:

próba wywołania immunotolerancji zakończona niepowodzeniem

W przypadku zakreślenia powyższego, data zakończenia immunotolerancji:.....

wystąpienie przeciwskażeń do immunotolerancji.

W przypadku zakreślenia powyższego, opis przeciwskażeń do immunotolerancji

.....
.....
.....

.....
/ data/

.....
/czytelny podpis i pieczętka lekarza/

Załącznik nr 10

DEKLARACJA O BRAKU LUB UJAWNIENIU KONFLIKTU INTERESÓW

A. Dane osoby składającej deklarację

1. Imię i nazwisko osoby składającej deklarację:

.....

2. Czas i miejsce składania deklaracji

.....

(data i miejsce złożenia deklaracji)

B. Oświadczenie

Konflikt interesów nie występuje

Oświadczam, że nie mam i w ciągu ostatnich trzech lat nie miałem/am* powiązań ani zależności finansowych wobec żadnego podmiotu prowadzącego działalność gospodarczą w zakresie wytwarzania i/lub obrotu lekami mającymi lub potencjalnie mogącymi mieć zastosowanie w leczeniu hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych poprzez zatrudnienie, doradztwo, wykonywanie umów cywilnoprawnych, posiadanie akcji lub udziałów oraz, że zgodnie z moją wiedzą powiązań i zależności takiej nie mają również mój/moja* mąż/zona/osoba pozostająca we wspólnym pożyciu ze mną*. Ponadto oświadczam, że bezzwłocznie poinformuję Dyrektora Narodowego Centrum Krwi o wszelkich okolicznościach mogących stanowić konflikt interesów lub spowodować jego powstanie.

.....

Podpis

*niepotrzebne skreślić

Oświadczam, że w ciągu ostatnich trzech lat miałem/am* lub mam powiązania lub zależności finansowe wobec podmiotu prowadzącego działalność gospodarczą w zakresie wytwarzania i/lub obrotu lekami mającymi lub potencjalnie mogącymi mieć zastosowanie w leczeniu hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych poprzez zatrudnienie, doradztwo, wykonywanie umów cywilnoprawnych, posiadanie akcji lub udziałów, lub oświadczam, że zgodnie z moją wiedzą powiązania i zależności takie mogą występować u mojego/mojej* męża/zony/osoby pozostającej we wspólnym pożyciu ze mną*.

Powyższe powiązania lub zależności występują lub występowały z niżej wykazanymi podmiotami:

.....
.....
.....
.....
.....

Jednocześnie oświadczam, że bezzwłocznie poinformuję Dyrektora Narodowego Centrum Krwi o wszelkich okolicznościach mogących stanowić inny niż wyżej wymieniony konflikt interesów lub spowodować jego powstanie.

.....

Podpis

*niepotrzebne skreślić

Załącznik nr 11

Wzór zgłoszenia pacjenta do dostaw domowych

Dane ośrodka (*nazwa, adres, telefon*): Data

Imię i nazwisko pacjenta

Adres dostawy domowej :

Upoważniona osoba/osoby do odbioru dostawy domowej w razie nieobecności chorego:

Skaza krwotoczna (*rodzaj, postać, obecność inhibitora*):

Aktualne leczenie (*preparaty, schemat leczenia, zalecane dawki: profilaktyczne, do leczenia niewielkich krwawień, ilość leku, jaką należy dostarczać pacjentowi w danym cyklu dostawy domowej*):

Cykl dostaw domowych (*co miesiąc, co dwa miesiące, co trzy miesiące*):

Udokumentowane uczulenie na konkretny preparat:

Kryterium		Punktacja
Stopień sprawności wg (ECOG)	Stopień	
Odległość miejsca zamieszkania od miejsca odbioru produktu leczniczego	Ilość km	
Sytuacja rodzinna pacjenta:	zaznaczyć właściwe:	
<ul style="list-style-type: none"> • jednoosobowe gospodarstwo domowe, samotne wychowywanie dziecka do 16 r.ż 	tak/nie	
<ul style="list-style-type: none"> • praca zawodowa jedyne go członka rodziny osoby o ograniczonej sprawności ruchowej / obojga rodziców 	tak/nie	
<ul style="list-style-type: none"> • pacjent lub rodzic pracujący zawodowo 	tak/nie	
<ul style="list-style-type: none"> • konieczność korzystania z transportu publicznego (brak samochodu) 	tak/nie	
<ul style="list-style-type: none"> • dziecko do 7 r.ż. 	tak/nie	
<ul style="list-style-type: none"> • Inne (uzasadnienie pisemne) <p>.....</p> <p>.....</p>		
Profilaktyka pierwotna, wtórna lub wtórna trzeciorzędowa krwawień	tak/nie	
Program ITI	tak/nie	
Leczenie na żądanie	tak/nie	
Port, centralny dostęp żylny	tak/nie	
Suma punktów		

Data ważnego zalecenia zgodnie z kartą postępowania w ośrodku leczenia hemofilii

Podpis i pieczętka lekarza ośrodka leczenia hemofilii