

AKCEPTUJĘ
Minister Zdrowia

MINISTER ZDROWIA

PROGRAM POLITYKI ZDROWOTNEJ

Narodowy Program Leczenia Chorych Na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028

Podstawa prawna: art. 48a ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r. poz. 2561, z późn. zm.)

Warszawa, 2023 r.

Wykaz skrótów

AOTMiT - Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

IP - Izba Przyjęć

KOR - Kliniczny Oddział Ratunkowy

MZ - Ministerstwo Zdrowia

NCK - Narodowe Centrum Krwi

NFZ - Narodowy Fundusz Zdrowia

RCKiK - Regionalne Centrum Krwiodawstwa i Krwiolecznictwa

SOR - Szpitalny Oddział Ratunkowy

URPLWMiPB - Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych

ZRM - Zespół ratownictwa medycznego

Spis treści:

I. Opis choroby lub problemu zdrowotnego i uzasadnienie wprowadzenia programu polityki zdrowotnej	4
I.1. Opis problemu zdrowotnego	4
I.2. Dane epidemiologiczne	5
I.3. Opis obecnego postępowania	12
II. Cele programu polityki zdrowotnej i mierniki efektywności jego realizacji	14
II.1. Cel główny	14
II.2. Cele szczegółowe	14
II.3. Mierniki efektywności realizacji programu polityki zdrowotnej	15
III. Charakterystyka populacji docelowej oraz charakterystyka interwencji, jakie są planowane w ramach programu polityki zdrowotnej	15
III.1. Populacja docelowa	15
III.2. Kryteria kwalifikacji do udziału w programie polityki zdrowotnej oraz kryteria wyłączenia z programu polityki zdrowotnej, i linie leczenia	17
III.3. Planowane interwencje	22
III.4. Sposób udzielania świadczeń zdrowotnych w ramach programu polityki zdrowotnej	30
III.5. Sposób zakończenia udziału w programie polityki zdrowotnej	30
IV. Organizacja programu polityki zdrowotnej	31
IV.1. Etapy programu polityki zdrowotnej i działania podejmowane w ramach etapów	31
IV.2. Warunki realizacji programu polityki zdrowotnej dotyczące personelu, wyposażenia i warunków lokalowych	33
V. Sposób monitorowania i ewaluacji programu polityki zdrowotnej	34
V.1. Monitorowanie	34
V.2. Ewaluacja	34
VI. Budżet programu polityki zdrowotnej	35
VI.1. Koszty jednostkowe	35
VI.2. Koszty całkowite	35
VI.3. Źródła finansowania	38
VII. Bibliografia	38
Załączniki	38
Załącznik nr 1 - Karta postępowania	39
Załącznik nr 2 - Wykaz informacji, jakie powinny znaleźć się w karcie chorego na hemofilię	40
Załącznik nr 3 - Skierowanie do Ośrodka Leczenia Hemofilii i Pokrewnych Skaz Krwotocznych	41
Załącznik nr 4 - Wykaz obowiązujących w Rzeczypospolitej Polskiej rekomendacji dotyczących leczenia chorych na skazy krwotoczne	43
Załącznik nr 5 - Wzór zgłoszenia pacjenta do dostaw domowych	44
Załącznik nr 6 - Wniosek o zapewnienie osprzętu do podawania czynnika krzepnięcia przez port	45
Załącznik nr 7 - Kalkulacja szkoleń realizowanych wspólnie przez ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, którym powierzono funkcję konsultacyjną i szkoleniową	46
Załącznik nr 8 - Tematyka szkoleń realizowanych wspólnie przez ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, którym powierzono funkcję konsultacyjną i szkoleniową	47
Załącznik nr 9 - Zamówienie na bispecyficzne przeciwciała naśladujące aktywny czynnik VIII	48
Załącznik nr 10 - Procedura wdrażania nowej terapii	49
Załącznik nr 11 - Deklaracja o braku lub ujawnieniu konfliktu interesów	50
Załącznik nr 12 - Wniosek o włączenie populacji pacjentów do nowej terapii „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028”	51
Załącznik nr 13 - 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	53

Załącznik nr 14 - 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	54
--	----

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 Rzeczypospolitej Polskiej 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 Rzeczypospolitej Polskiej oceniono na 1:12 300 mieszkańców¹. 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 postać ciężką (*aktywność czynnika VIII lub IX* <1 j.m./dl), umiarkowaną (1-≤5 j.m./dl) lub łagodną (>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 skazę 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 Rzeczypospolitej Polskiej (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 produktów leczniczych, stanowiących podstawę terapii tej grupy chorych, jest oparte o nowoczesne i zaawansowane technologie, co tłumaczy wysoką ich 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 produktów leczniczych - koncentratów czynników krzepnięcia oraz innych leków hemostatycznych niebędących czynnikami krzepnięcia (np. bispecyficzne przeciwciała naśladujące aktywny czynnik VIII) lub w niektórych przypadkach desmopresyny. Bez stałego dostępu do tych produktów leczniczych nie jest możliwe płynne prowadzenie długoterminowej profilaktyki. Ponadto,

¹ J. Windyga, S. Lopaciuk, E. Stefańska, A. Klukowska, *Hemophilia and other inherited blood coagulation disorders in Poland*, Pol Arch Med. Wewn, 2004 Oct; 112(4): 1197-202. PIMD: 15773432



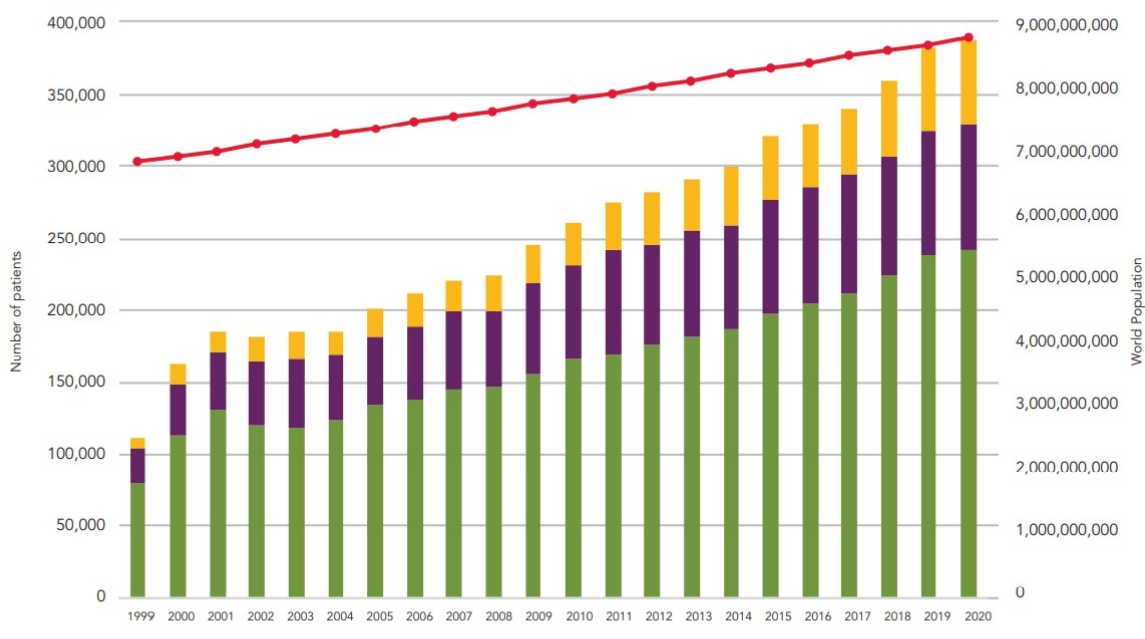
w przypadku leczenia na żądanie, im szybciej zostanie podany odpowiedni koncentrat, tym szybciej zostanie zahamowane krwawienie. Samoistne krwawienia do stawów są głównym objawem ciężkiej hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych. Bardzo niebezpieczne są samoistne krwawienia do narządów wewnętrznych i 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 w większości przypadków operacja chirurgiczna i zabieg inwazyjny nie mogą być bezpiecznie przeprowadzone u osób z wrodzonymi skazami krwotocznymi bez uzupełnienia (substytucji) niedoborowego czynnika krzepnięcia krwi. Działania podejmowane w Narodowym Programie Leczenia Chorych Na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028, zwanym dalej „Programem”, będą zgodne z potrzebami zdrowotnymi i wyzwaniem systemu opieki zdrowotnej wynikającymi z Krajowego Planu Transformacji na lata 2022-2026, w szczególności obszarami działania 2.5 – *Ambulatoryjna Opieka Specjalistyczna* i 2.6 – *Leczenie szpitalne*.

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 urodzeń². Na podstawie corocznych, globalnych badań prowadzonych przez WFH, liczbę osób chorych na hemofilię na całym świecie szacuje się (wykorzystując przedstawione szacunki) na około 815 100, z czego około 276 900 to chorzy w stanie ciężkim³. Z danych przedstawionych przez 120 krajów wynika, że chorych jest około 400 000 (393 658)⁴.

Szczegółowe dane World Federation of Hemophilia wskazują na trend wzrostu liczby osób chorych w poszczególnych latach (rycina 1).



² <https://elearning.wfh.org/elearning-centres/hemophilia> [dostęp: 30.08.2022]

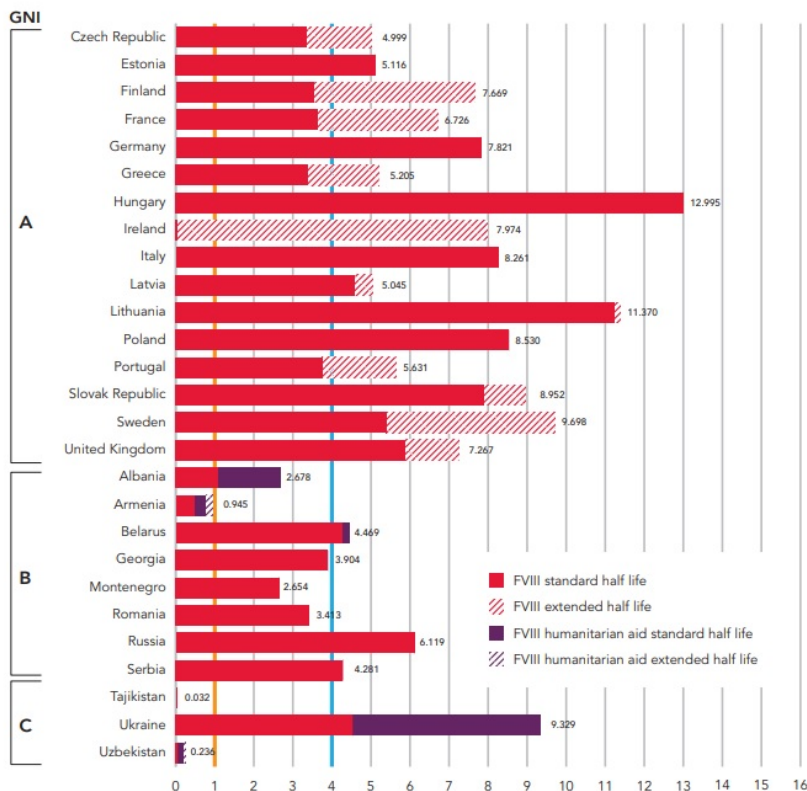
³ World Federation of Hemophilia, *Report on the Annual Global Survey 2020*, październik 2021, str. 4.

⁴ World Federation of Hemophilia, *Report on the Annual Global Survey 2020*, październik 2021, str. 7.

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

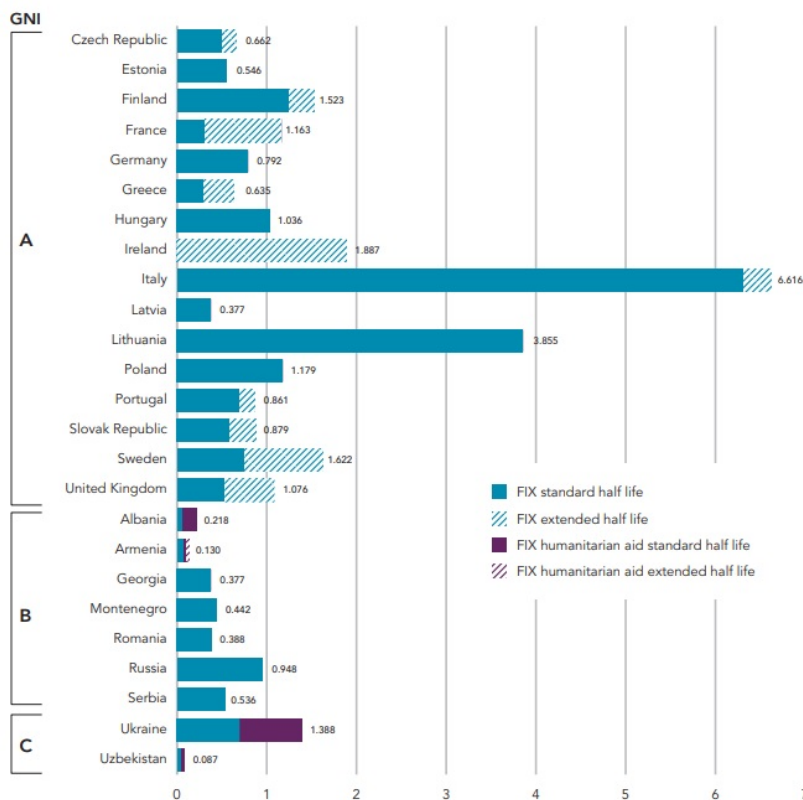
Źródło: World Federation of Hemophilia, *Report on the Annual Global Survey 2020*, październik 2021, str. 8.

Poziom zużycia koncentratów czynników krzepnięcia VIII i IX w wybranych krajach europejskich przedstawiono na rycinie 2 i 3.



Rycina 2. Wskaźnik zużycia czynnika VIII na mieszkańca w 2020 roku (j/mieszkańca).

Źródło: World Federation of Hemophilia, *Report on the Annual Global Survey 2020*, październik 2021, str. 28.



Rycina 3. Wskaźnik zużycia czynnika IX na mieszkańca w 2020 roku (j/mieszkańca).

Źródło: World Federation of Hemophilia, *Report on the Annual Global Survey 2020*, październik 2021, str. 29.

1.2.2. Dane epidemiologiczne w Rzeczypospolitej Polskiej

1.2.2.1. Mapy potrzeb zdrowotnych

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.

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

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

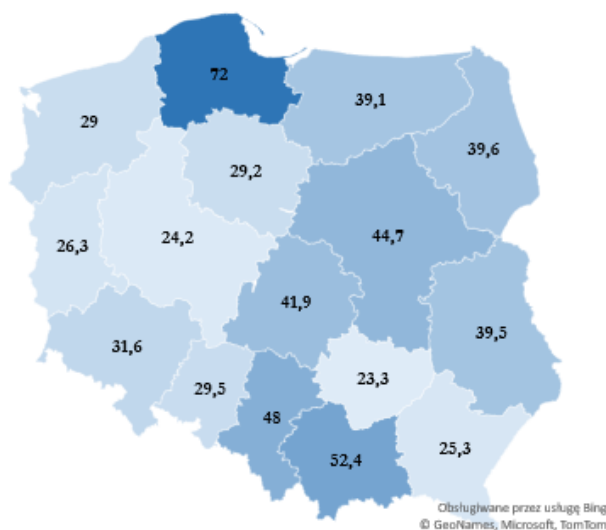
	D68.4	Nabyty niedobór czynników krzepnięcia
	D68.8	Inne określone zaburzenia krzepnięcia
	D68.9	Nieokreślone zaburzenia krzepnięcia
	D69	Plamica i inne skazy krwotoczne

Źródło: Departament Analiz i Strategii Ministerstwa Zdrowia (opracowano w 2022 r.).

Zgodnie z mapami potrzeb zdrowotnych zapadalność rejestrowana dla rozpoznania z grupy „Zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne (wrodzone)” w 2021 r. wyniosła 1,3 tys. przypadków w Rzeczypospolitej Polskiej. Natomiast współczynnik zapadalności rejestrowanej na 100 tysięcy ludności wzrósł w porównaniu do 2014 r. z 2,1 do 3,4. Z kolei Zapadalność rejestrowana dla rozpoznania z grupy „Zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne (nabyte)” w 2021 r. wyniosła 16,8 tys. przypadków w Rzeczypospolitej Polskiej. Natomiast współczynnik zapadalności rejestrowanej na 100 tysięcy ludności wyniósł 44,2.

Z kolei chorobowość rejestrowaną oszacowano na dzień 31.12.2021 r. Za chorych w tym dniu uznano wszystkich pacjentów, zaklasyfikowanych jako nowe przypadki zachorowania w publicznym systemie opieki zdrowotnej od 2009 r. (na podstawie zawartych wyżej reguł klasyfikacyjnych) i którzy nie zmarli do 31.12.2021 r.

Liczbę chorych w analizowanej podgrupie w Rzeczypospolitej Polskiej oszacowano na 15,1 tys. (w przeliczeniu na 100 tys. mieszkańców było to 39,7). Najwyższe wskaźniki chorobowości rejestrowanej na 100 tysięcy osób (rycina 4) odnotowano w województwach: pomorskim (72), małopolskim (52,4), śląskim (48), mazowieckim (44,7) oraz łódzkim (41,9).



Rycina 4. Wskaźnik chorobowości rejestrowanej na wrodzone zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne na dzień 31.12.2021 r.

Źródło: Opracowano z wykorzystaniem MS Office na podstawie danych Departamentu Analiz i Strategii Ministerstwa Zdrowia (opracowano w 2022 r.).

W tabelach 2 i 3 przedstawiono dane w zakresie liczby i struktury hospitalizacji z powodu chorób z podgrupy: Zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne (wrodzone) w 2021 r. w Rzeczypospolitej Polskiej odpowiednio wśród dorosłych i dzieci.

Tabela 2. Dane w zakresie liczby i struktury hospitalizacji z powodu chorób z podgrupy – Zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne (wrodzone) wśród osób dorosłych w 2021 r. w Rzeczypospolitej Polskiej, zgodnie z mapami potrzeb zdrowotnych.

Województwo	Łączna liczba hospitalizacji (w tym tryb jednodniowy)	Liczba hospitalizacji trwających 1 dzień (bez trybu jednodniowego)	Odsetek hospitalizacji spoza województwa	Liczba hospitalizacji pacjentów z tego woj. w innych woj.	Liczba hospitalizacji na 100 tys. ludności
dolnośląskie	29	26	24,1%	4	1,01
kujawsko-pomorskie	14	5	14,3%	4	0,68
lubelskie	21	12	19,0%	3	1,01
lubuskie	24	20	-	1	2,40
łódzkie	14	8	7,1%	5	0,58
małopolskie	14	11	7,1%	1	0,41
mazowieckie	108	35	25,9%	3	1,99
opolskie	1	-	-	4	0,10
podkarpackie	13	9	-	2	0,62
podlaskie	7	6	28,6%	3	0,60
pomorskie	149	141	6,7%	3	6,35
śląskie	77	72	2,6%	4	1,73
świętokrzyskie	10	-	-	4	0,82
warmińsko-mazurskie	4	-	-	11	0,28
wielkopolskie	44	33	-	4	1,26
zachodniopomorskie	5	-	-	1	0,30
Rzeczpospolita Polska	534	378	10,7%	57	1,40

Źródło: Departament Analiz i Strategii Ministerstwa Zdrowia (opracowano w 2022 r.).

Tabela 3. Dane w zakresie liczby i struktury hospitalizacji z powodu chorób z podgrupy – Zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne (wrodzone) wśród dzieci w 2021 r. w Rzeczypospolitej Polskiej, zgodnie z mapami potrzeb zdrowotnych.

Województwo	Łączna liczba hospitalizacji (w tym tryb jednodniowy)	Liczba hospitalizacji trwających 1 dzień (bez trybu jednodniowego)	Odsetek hospitalizacji spoza województwa	Liczba hospitalizacji pacjentów z tego woj. w innych woj.	Liczba hospitalizacji na 100 tys. ludności
dolnośląskie	316	301	18,4%		10,97
kujawsko-pomorskie	23	4	13,0%	1	1,12
lubelskie	4	2	-	2	0,19
lubuskie	5	-	-	10	0,50
łódzkie	83	71	4,8%	5	3,43
małopolskie	51	34	2,0%	3	1,50
mazowieckie	197	179	7,6%	4	3,63
opolskie	8	8	-	46	0,83
podkarpackie	45	41	-	2	2,13
podlaskie	15	8	-		1,29
pomorskie	106	89	0,9%	3	4,52
śląskie	159	31	1,9%		3,57

Program Polityki Zdrowotnej Ministra Zdrowia
Narodowy Program Leczenia Chorych Na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028

świętokrzyskie	10	8	-	1	0,82
warmińsko-mazurskie	11	-	-	2	0,78
wielkopolskie	217	140	0,9%	8	6,22
zachodniopomorskie	15	3	13,3%	2	0,89
Rzeczpospolita Polska	1265	919	7,0%	89	3,32

Źródło: Departament Analiz i Strategii Ministerstwa Zdrowia (opracowano w 2022 r.).

W tabelach 4 – 5 przedstawiono dane w zakresie liczby i struktury hospitalizacji z powodu chorób z podgrupy Zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne (nabyte) w 2021 r. w Polsce odpowiednio wśród dorosłych i dzieci

Tabela 4. Dane w zakresie liczby i struktury hospitalizacji z powodu chorób z podgrupy – Zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne (nabyte) wśród osób dorosłych w 2021 r. w Rzeczypospolitej Polskiej, zgodnie z mapami potrzeb zdrowotnych.

Województwo	Łączna liczba hospitalizacji (w tym tryb jednodniowy)	Liczba hospitalizacji trwających 1 dzień (bez trybu jednodniowego)	Odsetek hospitalizacji spoza województwa	Liczba hospitalizacji pacjentów z tego woj. w innych woj.	Liczba hospitalizacji na 100 tys. ludności
dolnośląskie	541	323	11,1%	16	18,78
kujawsko-pomorskie	392	163	2,0%	14	19,14
lubelskie	281	63	11,7%	32	13,53
lubuskie	115	50	11,3%	20	11,51
łódzkie	364	172	8,0%	32	15,06
małopolskie	293	65	9,9%	21	8,60
mazowieckie	1002	199	12,7%	90	18,49
opolskie	71	4	19,7%	20	7,32
podkarpackie	603	330	1,2%	15	28,57
podlaskie	184	72	10,3%	26	15,79
pomorskie	623	420	11,9%	10	26,54
śląskie	424	53	4,5%	27	9,52
świętokrzyskie	211	99	16,6%	40	17,40
warmińsko-mazurskie	158	26	7,0%	57	11,24
wielkopolskie	460	163	5,2%	31	13,18
zachodniopomorskie	191	37	4,7%	60	11,39
Rzeczpospolita Polska	5913	2239	8,6%	511	15,53

Źródło: Departament Analiz i Strategii Ministerstwa Zdrowia (opracowano w 2022 r.).

Tabela 5. Dane w zakresie liczby i struktury hospitalizacji z powodu chorób z podgrupy – Zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne (nabyte) wśród dzieci w 2021 r. w Rzeczypospolitej Polskiej, zgodnie z mapami potrzeb zdrowotnych.

Województwo	Łączna liczba hospitalizacji (w tym tryb jednodniowy)	Liczba hospitalizacji trwających 1 dzień (bez trybu jednodniowego)	Odsetek hospitalizacji spoza województwa	Liczba hospitalizacji pacjentów z tego woj. w innych woj.	Liczba hospitalizacji na 100 tys. ludności
dolnośląskie	572	388	15,2%	2	19,86
kujawsko-pomorskie	126	7	13,5%	9	6,15

Program Polityki Zdrowotnej Ministra Zdrowia
Narodowy Program Leczenia Chorych Na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028

lubelskie	185	105	5,9%	12	8,91
lubuskie	46	4	17,4%	29	4,60
łódzkie	309	207	5,5%	11	12,78
małopolskie	311	49	3,5%	32	9,13
mazowieckie	636	360	5,0%	56	11,73
opolskie	48	4	10,4%	36	4,95
podkarpackie	355	231	6,5%	5	16,82
podlaskie	258	135	15,1%	3	22,14
pomorskie	287	145	8,0%	14	12,23
śląskie	266	14	6,4%	19	5,97
świętokrzyskie	90	3	12,2%	11	7,42
warmińsko-mazurskie	98	9	5,1%	26	6,97
wielkopolskie	338	62	3,0%	45	9,69
zachodniopomorskie	74	13	4,1%	9	4,41
Rzeczpospolita Polska	3999	1736	8,0%	319	10,50

Źródło: Departament Analiz i Strategii Ministerstwa Zdrowia (opracowano w 2022 r.).

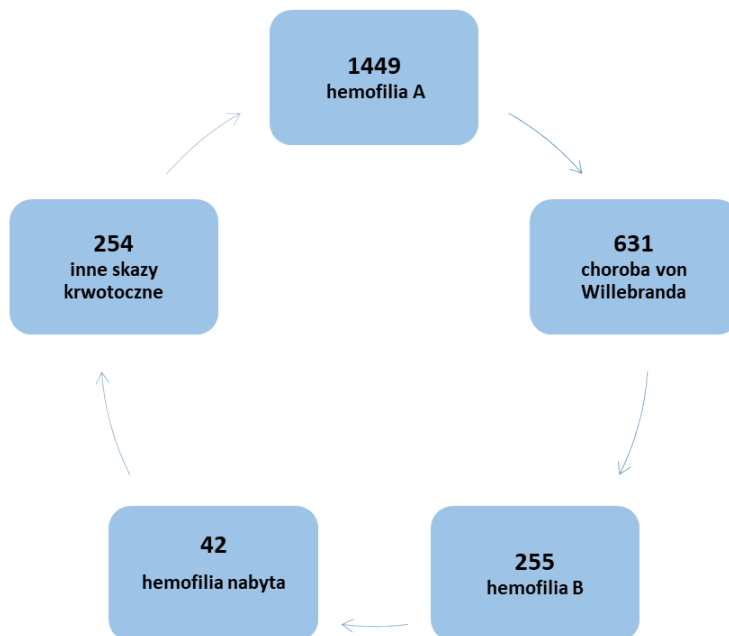
I.2.2.2. Liczba pacjentów ze zdiagnozowaną hemofilią lub inną pokrewną skazą krwotoczną

Szacunkowa liczba pacjentów ze zdiagnozowaną hemofilią lub inną skazą krwotoczną w Rzeczypospolitej Polskiej na podstawie danych przygotowanych przez Instytut Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie dla World Federation of Hemophilia w 2021 r. zgodnie z corocznym raportowaniem wynosi⁵: 7 168, z czego 2 750 to hemofilia A, 477 hemofilia B, 2 803 choroba von Willebranda, 1 138 pozostałe skazy krwotoczne.

Niemniej jednak, w Programie szacuje się, że objętych wsparciem będzie ok. 6 000 pacjentów - liczba szacowana w 2018 r. przez Instytut Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie (zaokrąglona do pełnych tysięcy) - wpisana do poprzedniej edycji Programu na lata 2019-2023. Dodatkowo, w okresie 2019-2021 wystawiono 5 989 kart postępowania, a zgodnie z danymi występującymi w systemie SMPT produkty lecznicze (bez bispecyficznego przeciwciała naśladującego aktywny czynnik VIII) wydano 4 604 pacjentom.

Liczba pacjentów korzystających z programów „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019-2023” oraz „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”, kształtuje się nieco odmiennie. Dane te zawierają informacje o pacjentach, którzy dotychczas przynajmniej raz przyjęli koncentrat czynnika krzepnięcia oraz innych leków hemostatycznych niebędących czynnikami krzepnięcia (bispecyficzne przeciwciała naśladujące aktywny czynnik VIII - emicizumab) 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. W 2021 roku łączną liczbę chorych, którzy zostali zaopatrzeni w produkty lecznicze w ramach programu „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019-2023” przedstawiono na rycinie 5.

⁵ Warto wskazać na ograniczenia szacowania niniejszej liczby.



Rycina 5. Liczba pacjentów zaopatrywanych w produkty lecznicze w 2021 r.

Źródło: Opracowano na podstawie danych z SMPT.

W tabeli 6. przedstawiono liczbę pacjentów w wieku do 18 roku życia w 2021 r. zaopatrywanych zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 20 kwietnia 2022 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych w koncentracjach czynników krzepnięcia VIII i IX w ramach programu lekowego B.15. pt. „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”.

Tabela 6. Liczba chorych, którzy otrzymują koncentrat czynnika krzepnięcia w ramach programu „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”.

Grupa pacjentów	Liczba pacjentów
Pacjenci z hemofilią A leczeni czynnikiem VIII osoczopochodnym	0
Pacjenci z hemofilią A leczeni czynnikiem VIII rekombinowanym	353
Pacjenci z hemofilią A leczeni czynnikiem VIII rekombinowany o przedłużonym działaniu	0
Pacjenci z hemofilią B leczeni czynnikiem IX osoczopochodnym	22
Pacjenci z hemofilią B leczeni czynnikiem IX rekombinowanym	42
Pacjenci z hemofilią B leczeni czynnikiem IX rekombinowany o przedłużonym działaniu	0

Źródło: Opracowano na podstawie danych Instytutu Matki i Dziecka - jednostka koordynująca program lekowy (opracowano w 2022 r.).

I.3. Opis obecnego postępowania z chorymi na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne

W wyniku realizacji wcześniejszych edycji programu ministra właściwego do spraw zdrowia, w szczególności pn.: „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019-2023”:

1. W 2022 r. powołano 26 specjalistycznych ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych zarówno dla dzieci, jak i dorosłych. Ośrodki te zapewniają standard opieki

medycznej o odpowiedniej bazie laboratoryjnej (gdyż niektóre testy laboratoryjne są ściśle dedykowane rozpoznawaniu i monitorowaniu wyłącznie skaz krwotocznych) z doświadczoną kadrą medyczną (lekarsko-pielęgniarską). Celem powołanych ośrodków jest objęcie pacjentów kompleksową opieką, w tym regularną oceną stanu ich zdrowia potwierdzoną wystawianymi kartami postępowania. Ponadto, co istotne większość ośrodków posiada depozyty szpitalne czynników krzepnięcia na ratunek lub potwierdziła, że znajduje się w sąsiedztwie Regionalnego Centrum Krwiodawstwa i Krwiolecznictwa, które dysponuje całodobowo czynnikami krzepnięcia.

2. Wprowadzono karty postępowania pacjentów chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, które są potwierdzeniem objęcia ich opieką przez ośrodek leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.
3. Nastąpił wzrost dostępu do produktów leczniczych (koncentratów czynników krzepnięcia, desmopresyny). Wprowadzono nowe - wcześniej w Rzeczypospolitej Polskiej niestosowane produkty lecznicze - w 2020 r. wdrożono bispecyficzne przeciwciało naśladujące aktywny czynnik VIII - emicizumab dla pacjentów z hemofilią A powikłaną inhibitorem, a w 2021 r. koncentrat rekombinowanego wieprzowego czynnika VIII dla pacjentów z nabytą hemofilią A.
4. Wprowadzono system dostaw domowych koncentratu czynnika krzepnięcia VIII, koncentratu czynnika krzepnięcia IX, koncentratu aktywowanych czynników zespołu protrombiny oraz bispecyficznego przeciwciała naśladującego aktywny czynnik VIII - emicizumabu.
5. Wdrożono procedury - strategię postępowania w przypadku działań z zakresu ratownictwa medycznego, która zapewnia natychmiastowy dostęp do leczenia chorych na skazy krwotoczne w stanach nagłych na SOR/KOR/IP w szpitalach, w których powołano ośrodki leczenia hemofilii. Objęto cyklem szkoleń dyspozytorów i ratowników medycznych, które na bieżąco są aktualizowane. W celu jej realizacji są utrzymywane wspomniane depozyty szpitalne koncentratów czynników krzepnięcia. Ponadto, są przeprowadzane szkolenia kadry medycznej zaangażowanej w realizację celów programu. Dla Systemu Państwowego Ratownictwa Medycznego opracowano i opublikowano: „Dobre praktyki postępowania dyspozytorów medycznych, zespołów ratownictwa medycznego oraz SOR/IP wobec pacjenta z hemofilią lub pokrewną skazą krwotoczną”.
6. Zatwierdzono aktualizację programu doskonalenia zawodowego dyspozytorów medycznych, gdzie w ramach bloku tematycznego dotyczącego zagadnień z ratownictwa medycznego niezbędnych do realizacji zadań dyspozytora medycznego, dyspozytor medyczny nabywa wiedzę z zakresu przyczyny, objawów i postępowania w przypadkach krwawienia, w tym u osób chorych na hemofilię.
7. Przygotowano założenia i rozpoczęto budowę systemu teleinformatycznego obsługi pacjenta chorego na hemofilię, w tym ewidencji chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, udostępniającego 6 usług (Elektroniczny dzienniczek pacjenta chorego na hemofilię lub skazy krwotoczne, Elektroniczne zapotrzebowania na produkty krwiopochodne, rekombinowane czynniki krzepnięcia, desmopresynę i bispecyficzne przeciwciało naśladujące aktywny czynnik VIII, Elektroniczną ewidencję chorych na hemofilię i skazy krwotoczne, Koordynacja opieki nad pacjentem z hemofilią i skazami krwotocznymi, Rozliczanie świadczeń, Logistyka - realizacja dostaw) pokrywających zasadnicze potrzeby różnych interesariuszy tj. pacjentów, Narodowego Centrum Krwi, Ośrodków Leczenia Hemofilii oraz



Ministerstwa

Zdrowia.

Przedstawiając powyższe, obecne postępowanie z **chorymi na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne** determinują:

1. Rekomendacje opracowane przez Grupę do Spraw Hemostazy przy Polskim Towarzystwie Hematologów i Transfuzjologów. Wykaz obowiązujących w Rzeczypospolitej Polskiej rekomendacji dotyczących leczenia chorych na skazy krwotoczne stanowi załącznik nr 4 do Programu.
2. Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, w następstwie której:
 - a) realizowany jest dotychczasowy Program,
 - b) wydano rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 22 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego (Dz. U. z 2021 r. poz. 209, z późn. zm.), zawierające warunki leczenia szpitalnego hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych. Warunki te określono w załączniku nr 3, części I poz. 21 lit. A i B oraz poz. 32 lit. A i B,
 - c) wydano rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej (Dz. U. z 2016 r., poz. 357, z późn. zm.), zawierające warunki leczenia ambulatoryjnego skaz krwotocznych. Warunki te określono w załączniku nr 5 poz. 28 – 31.
3. Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2555, z późn. zm.), na podstawie, której umożliwiające jest leczenie pacjentów w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”.
4. Ustawa z dnia 8 września 2006 r. o Państwowym Ratownictwie Medycznym (Dz. U. z 2022 r. poz. 1720, z późn. zm.), na podstawie, której wydano rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 16 grudnia 2019 r. w sprawie medycznych czynności ratunkowych i świadczeń zdrowotnych inne niż medyczne czynności ratunkowe, które mogą być udzielane przez ratownika medycznego (Dz. U. z 2022 r. poz. 863), 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 (Dz. U. z 2022 r. poz. 2702), 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 (Dz. U. poz. 497), 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 (Dz. U. z 2021 r. poz. 1749, z późn. zm.), zobowiązująca RCKiK do realizacji zaopatrzenia w produkty krwiopochodne, rekombinowane koncentraty czynników krzepnięcia oraz desmopresynę, na podstawie, której wydano rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 27 sierpnia 2021 r. w sprawie szczegółowego wzoru zamówienia indywidualnego na produkty krwiopochodne, rekombinowane koncentraty czynników krzepnięcia oraz desmopresynę (Dz. U. poz. 1592).

7. Ustawa z dnia 6 września 2001 r. prawo farmaceutyczne (Dz. U. 2022r. poz. 2301), w której określono zasady dystrybucji produktów leczniczych (koncentratów czynników krzepnięcia oraz desmopresynę) przez RCKiK.
8. Dobre praktyki postępowania dyspozytorów medycznych, zespołów ratownictwa medycznego oraz SOR/IP wobec pacjenta z hemofilią lub pokrewną skazą krwotoczną - E. Lech-Marańda – Konsultant Krajowy w dziedzinie hematologii, J. Ładny – Konsultant Krajowy w dziedzinie medycyny ratunkowej, W. Kraska – Sekretarz Stanu w Ministerstwie Zdrowia.

II. Cele programu polityki zdrowotnej i mierniki efektywności jego realizacji⁶

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,*
2. *Zaopatrzenie w leki niezbędne dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne,*
3. *Wzmocnienie nadzoru nad stosowaniem produktów leczniczych u ww. grupy chorych, oraz podniesienie wiedzy personelu medycznego zaangażowanego w sprawowanie specjalistycznej opieki nad tą grupą chorych.*

II.3. Mierniki efektywności realizacji programu polityki zdrowotnej

Mierniki efektywności w ujęciu globalnym przedstawiono w tabeli 7.

Tabela 7. Mierniki efektywności realizacji działań programu.

Cel główny	Miernik	Metoda pomiaru
Zapewnienie opieki i poprawa standardu leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.	Liczba pacjentów objętych opieką ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.	Dokumentacja – raporty liczby objętych opieką ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.
Cele szczegółowe	Mierniki	Metoda pomiaru
Poprawa jakości życia osób chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, zmniejszenie chorobowości przez opiekę w specjalistycznych ośrodkach dedykowanych tej grupie chorych.	Liczba pacjentów, którym wydano karty postępowania Liczba ośrodków, które przystąpiły do akredytacji.	Dokumentacja – raporty liczby wystawionych kart postępowania przez ośrodki leczenia hemofilii. Dokumentacja – liczba ośrodków, które przystąpiły do akredytacji.
Zaopatrzenie w leki niezbędne dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, uciążliwości związanych z odbiorem produktów leczniczych,	Średnie roczne zużycie produktów leczniczych na mieszkańca kraju, w szczególności koncentrat czynnika VIII oraz koncentrat czynnika IX	Dokumentacja rocznego zużycia.

⁶ Powyższe cele zostały sformułowane zgodnie z koncepcją SMART, wobec czego każdy można określić jako: 1) Specific – sprecyzowany, konkretny, szczegółowy i dobrze zdefiniowany. Specyficzność celu oznacza precyzję w opisanu tego, co ma zostać osiągnięte w przyszłości. Cel ma jasno zdefiniowany rezultat. 2) Measurable – mierzalny. To cel, którego realizację można monitorować i mierzyć. 3) Achievable – osiągalny. Osiągalność celu oznacza, że osoby, które mają go osiągnąć powinny mieć możliwość zdobycia zasobów potrzebnych do jego realizacji. Powyższe cele nie będą zbyt łatwe lub zbyt trudne do osiągnięcia. 4) Relevant – istotny, ważny. Cele są powiązane z wartościami i priorytetami. 5) Time-bound- zaplanowany w czasie. Dzięki temu istnieje możliwość skutecznego monitorowania realizacji celu.

celem prowadzenia profilaktyki i leczenia domowego.	Liczba pacjentów objętych dostawami domowymi.	Dokumentacja kwalifikacji do dostaw domowych.
Wzmocnienie nadzoru nad stosowaniem produktów leczniczych u ww. grupy chorych, oraz podniesienie wiedzy personelu medycznego zaangażowanego w sprawowanie specjalistycznej opieki nad tą grupą chorych.	Liczba pacjentów chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne. Liczba udostępnionych nowych funkcjonalności. Odsetek osób, u których wzrósł poziom wiedzy w zakresie hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.	Dane statystyczne liczby pacjentów, którym wydano leki na hemofilię lub pokrewne skazy krwotoczne. Dokumentacja użytkownika oraz protokoły z odbytych szkoleń. Dokumentacja szkoleniowa – liczba osób, które przeszkolono.

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

III.1. Populacja docelowa

Populację docelową programu zdrowotnego określono w tabeli 8. w rozbiciu na poszczególne cele szczegółowe.

Tabela 8. Grupy docelowe programu.

Cel szczegółowy	Grupy docelowe
Poprawa jakości życia osób chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, zmniejszenie chorobowości przez opiekę w specjalistycznych ośrodkach dedykowanych tej grupie chorych.	Populacja chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.
Zaopatrzenie w leki niezbędne dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.	
Wzmocnienie nadzoru nad stosowaniem produktów leczniczych u ww. grupy chorych, oraz podniesienie wiedzy personelu medycznego zaangażowanego w sprawowanie specjalistycznej opieki nad tą grupą chorych.	Populacja chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, lekarze ośrodków leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, jednostki nadzorujące, w tym MZ oraz NCK.

Programem zostaną objęci chorzy z rozpoznaniem wrodzonych lub nabytych skaz krwotocznych oraz inne grupy pacjentów wymienione poniżej.

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:

- hemofilia A,
- hemofilia A powikłana inhibitorem,
- nabyta hemofilia A,

- hemofilia B,
- hemofilia B powikłana inhibitorem,
- choroba von Willebranda,
- nabyty zespół von Willebranda,
- niedobory fibrynogenu,
- niedobór protrombiny,
- niedobór czynnika V,
- niedobór czynnika VII (hypoprokonwertynemia),
- niedobór czynnika X,
- niedobór czynnika XI,
- niedobór czynnika XIII,
- złożony niedobór czynnika V i czynnika VIII,
- złożony wrodzony niedobór czynnika II, czynnika VII, czynnika IX i czynnika X,
- obecność inhibitora fibrynogenu, czynnika II, V, VII, X, XI lub XIII (*allo- lub autoprzeciwciał*),
- trombostenia Glanzmanna,
- zespół Bernarda-Souliera,
- inne wrodzone trombocytopatie,
- nosicielki hemofilii A i B z graniczną aktywnością czynnika VIII lub IX oraz dodatnim wywiadem krwotocznym,
- 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 i linie leczenia.

Kryteria kwalifikacji do udziału w programie polityki zdrowotnej oraz kryteria wyłączenia z programu polityki zdrowotnej w rozpisaniu na moduły przedstawiono w tabeli 9.

Program Polityki Zdrowotnej Ministra Zdrowia
Narodowy Program Leczenia Chorych Na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028

Tabela 9. Kryteria kwalifikacji do udziału w programie polityki zdrowotnej oraz kryteria wyłączenia z programu polityki zdrowotnej.

Moduł	Przeznaczenie leków	Kryteria kwalifikacji	Kryteria wyłączenia
<p>Moduł 1 Zapewnienie koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny dostępnych niezależnie od wieku pacjenta:</p> <p>1) koncentratu czynnika VIII⁷;</p> <p>2) koncentratu czynnika IX⁸;</p> <p>3) koncentratu czynnika VIII zawierającego czynnik von Willebranda o proporcji VWF:FVIII co najmniej 1:1;</p> <p>1. 4) koncentratu aktywowanych czynników zespołu protrombiny aPCC;</p> <p>5) koncentratu czynników zespołu protrombiny (PCC);</p> <p>2. 6) koncentratu rekombinowanego wieprzowego czynnika VIII;</p> <p>7) koncentratu czynnika VII;</p> <p>8) koncentratu rekombinowanego czynnika VIIa;</p> <p>9) koncentratu fibrynogenu;</p> <p>10) koncentratu czynnika XIII;</p>	<p>1. Leczenie krwawień w warunkach domowych.</p> <p>2. Profilaktyka dorosłego chorego na hemofilię A lub B o ciężkim przebiegu klinicznym, niepowikłaną inhibitorem.</p> <p>3. Program immunotolerancji.</p> <p>4. Profilaktyka chorego z hemofilią A lub B powikłaną inhibitorem, niezależnie od wieku.</p> <p>5. Profilaktyka chorego z inną niż hemofilią A lub B skazą krwotoczną o ciężkim przebiegu klinicznym, niezależnie od wieku oraz obecności inhibitora.</p> <p>6. Leczenie ambulatoryjne.</p> <p>7. Leczenie szpitalne.</p>	<p>Stwierdzenie lub podejrzenie następujących skaz krwotocznych:</p> <p>1) hemofilia A;</p> <p>2) hemofilia A powikłana inhibitorem;</p> <p>3) nabyta hemofilia A;</p> <p>4) hemofilia B;</p> <p>5) hemofilia B powikłana inhibitorem;</p> <p>6) choroba von Willebranda;</p> <p>7) nabyty zespół von Willebranda;</p> <p>8) niedobory fibrynogenu;</p> <p>9) niedobór protrombiny;</p> <p>10) niedobór czynnika V;</p> <p>11) niedobór czynnika VII (hypoprokonwertynemia);</p> <p>12) niedobór czynnika X;</p> <p>13) niedobór czynnika XI;</p> <p>14) niedobór czynnika XIII;</p> <p>15) złożony niedobór czynnika V i czynnika VIII;</p> <p>16) złożony wrodzony niedobór czynnika II, czynnika VII, czynnika IX i czynnika X;</p> <p>17) obecność inhibitora fibrynogenu, czynnika II, V, VII, X, XI lub XIII (allo-lub autoprzeciwciał);</p> <p>18) trombastenia Glanzmanna;</p> <p>19) zespół Bernarda-Souliera;</p> <p>20) inne wrodzone trombocytopatie;</p> <p>21) nosicielki hemofilii A i B z graniczną aktywnością czynnika VIII lub IX oraz dodatnim wywiadem krwotocznym;</p> <p>22) osoby z graniczną aktywnością czynnika von</p>	<p>1. Zgon.</p> <p>2. Nie potwierdzenie się podejrzenia skazy krwotocznej.</p> <p>3. Ustanie lub wyleczenie skazy krwotocznej (<i>np. po przeszczepie wątroby lub ustanie nabytej hemofilii A</i>).</p> <p>4. Wyłączenie na życzenie pacjenta, na dowolnym etapie.</p>

⁷ Przyjmuje się możliwość stosowania zarówno koncentratów czynników krzepnięcia VIII osoczopochodnych, jak i rekombinowanych, a także o standardowym i przedłużonym działaniu (*jednocześnie i naprzemiennie w ramach jednego roku kalendarzowego oraz w trakcie danego roku kalendarzowego*), w zależności od wyników postępowań o udzielenie zamówienia publicznego.

⁸ Przyjmuje się możliwość stosowania zarówno koncentratów czynników krzepnięcia IX osoczopochodnych, jak i rekombinowanych, a także o standardowym i przedłużonym działaniu (*jednocześnie i naprzemiennie w ramach jednego roku kalendarzowego oraz w trakcie danego roku kalendarzowego*), w zależności od wyników postępowań o udzielenie zamówienia publicznego.

Narodowy Program Leczenia Chorych Na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028

11) desmopresyny dożylniej; 12) desmopresyny donosowej.		Willebranda oraz dodatnim wywiadem krwotocznym.	
<p>Moduł 2</p> <p>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”.</p> <p>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 URPLW MiPB.</p> <p>3. W przypadku dorosłych pacjentów, którzy nie otrzymywali wcześniej osoczopochodnych koncentratów czynników krzepnięcia VIII i IX (<u>nie dotyczy pkt 1 i 2</u>) 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.</p> <p>4. Zapewnienie koncentratów rekombinowanych czynników krzepnięcia osobom po ukończeniu 18 roku życia, które w chwili przejścia z</p>	<p>1. Leczenie krwawień w warunkach domowych.</p> <p>2. Profilaktyka dorosłego chorego na hemofilię A lub B o ciężkim przebiegu klinicznym, niepowikłaną inhibitorem.</p> <p>3. Profilaktyka dziecka chorego na hemofilię A lub B niepowikłaną 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.</p> <p>4. Program immunotolerancji (<i>o ile niemożliwe jest wykazanie odpowiedzialności podmiotu odpowiedzialnego za wytworzenie inhibitora</i>).</p> <p>5. Leczenie ambulatoryjne.</p> <p>6. Leczenie szpitalne.</p>	<p>Dzieci i dorośli, którzy nie otrzymywali wcześniej osoczopochodnych koncentratów czynnika VIII i IX w następujących skazach krwotocznych:</p> <ol style="list-style-type: none"> 1) hemofilia A; 2) hemofilia A powikłana inhibitorem; 3) hemofilia B; 4) hemofilia B powikłana inhibitorem. <p>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 URPLW MiPB.</p> <p>Pacjenci po ukończeniu 18 roku życia, którzy w chwili przejścia z ośrodka pediatrycznego do ośrodka dla dorosłych otrzymywali ww. koncentrat w ramach programu „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”.</p>	<ol style="list-style-type: none"> 1. Zgon. 2. Ustanie lub wyleczenie skazy krwotocznej (<i>np. po przeszczepie wątroby lub ustanie nabytej hemofilii A</i>). 3. Wyłączenie na życzenie pacjenta, na dowolnym etapie.

Narodowy Program Leczenia Chorych Na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028

ośrodka pediatrycznego do ośrodka dla dorosłych otrzymywały ww. koncentrat w ramach programu „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”.			
Moduł 3 Zapewnienie bispecyficznego przeciwciała naśladującego aktywny czynnik VIII.	Profilaktyka krwawień u chorych z obecnością inhibitora czynnika VIII, u których próba wywołania immunotolerancji zakończyła się niepowodzeniem lub wystąpiły przeciwwskazania do tego typu leczenia.	Pacjenci z hemofilią A powikłaną inhibitorem spełnianie łącznie dwóch kryteriów: ⁹ 1) obecność inhibitora czynnika VIII w hemofilii A; 2) próba wywołania immunotolerancji zakończona niepowodzeniem lub wystąpienie przeciwwskazań do tego typu leczenia. Konieczne zgłoszenie chorego do NCK	1. Nadwrażliwość na substancję czynną. 2. Zgon. 3. Ustanie lub wyleczenie skazy krwotocznej (np. po przeszczepie wątroby lub ustanie hemofilii A). 4. Wyłączenie na życzenie pacjenta, na dowolnym etapie.
Moduł 4 Zapewnienie koncentratu czynnika von Willebranda, przy czym proporcja VWF:FVIII powinna wynosić 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 przeładowaniem 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 przeładowaniem 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 5 Zapewnienie czynników krzepnięcia o przedłużonym działaniu, koncentratu rekombinowanego czynnika vW, innych nowo rejestrowanych produktów leczniczych oraz terapii genowej do leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych dla pacjentów wskazanych przez Radę Programu.	Pacjenci zgłoszeni do NCK i wskazanie do podania produktu leczniczego zaakceptowane przez ministra właściwego do spraw zdrowia, po uprzedniej opinii AOTMiT.	Spełnianie łącznie kryteriów: 1) wykazanie efektywności medycznej lub kosztowej, w ramach możliwości budżetu Programu, zgodnie z procedurą w załączniku nr 10 do programu i 2) opinia AOTMiT odnośnie wskazania do stosowania leku. Dodatkowe kryteria kwalifikacji wskazane we wniosku o włączenie populacji pacjentów do wybranej terapii i zaakceptowane przez ministra właściwego do spraw zdrowia.	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. 5. Dodatkowe kryteria wyłączenia wskazane we wniosku o włączenie populacji pacjentów do wybranej terapii i zaakceptowane przez ministra właściwego do spraw zdrowia.

⁹ Czas wdrożenia do terapii musi uwzględniać możliwość planowania zakupów. Pacjent po zakwalifikowaniu może oczekiwać do kolejnego cyklu dostaw.

Linie leczenia

Lekarz kwalifikując pacjentów do leczenia spośród modułów określonych w tabeli X ustala sposób leczenia biorąc pod uwagę bezpieczeństwo pacjenta i wdraża linie leczenia począwszy od leków o najniższym koszcie do leków o najwyższym koszcie. W przypadku dzieci, które nie otrzymywały wcześniej osoczopochodnych koncentratów czynników krzepnięcia VIII i IX, możliwe jest rozpoczęcie leczenia od modułu 2.

W tabeli 10. wskazano linie leczenia trombastenii Glanzmanna i nabytej hemofilii A.

W przypadku trombastenii Glanzmanna i nabytej hemofilii A, w niniejszym Programie, zgodnie z opinią Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji z dnia 27 maja 2021 r. w sprawie reasumpcji opinii w sprawie oceny dotychczasowego modelu finansowania koncentratów czynników krzepnięcia do krwawień i zabiegów dla subpopulacji pediatrycznej, nabytej hemofilii A i trombastenii Glanzmanna uzupełnionej pismem Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji z dnia 9 listopada 2021 r., wskazuje się opis linii leczenia w tych jednostkach chorobowych. Jednak postępowanie lekarza zależy od konkretnej sytuacji klinicznej i powinno się odbywać zgodnie z obowiązującymi wytycznymi.

Tabela 10. Linie leczenia w trombastenii Glanzmanna i nabytej hemofilii A wg AOTMiT.

Skaza krwotoczna	Linie leczenia
Trombastetnia Glanzmanna	<p>I linia leczenia</p> <p>1. Brak przeciwciał przeciw płytkowych:</p> <p>a) łagodne krwawienia: – koncentrat rekombinowanego czynnika VIIa (po niepowodzeniu leczenia, rozumianym jako brak zahamowania krwawienia, przy pomocy postępowania miejscowego oraz leków antyfibrynolitycznych),</p> <p>b) krwawienia umiarkowane/ciężkie: – koncentrat rekombinowanego czynnika VIIa (niezależnie od zastosowanego wcześniej leczenia przy pomocy postępowania miejscowego oraz leków antyfibrynolitycznych),</p> <p>2. Obecność przeciwciał przeciw płytkowych:</p> <p>a) łagodne krwawienia: – koncentrat rekombinowanego czynnika VIIa (po niepowodzeniu leczenia, rozumianym jako brak zahamowania krwawienia, przy pomocy postępowania miejscowego oraz leków antyfibrynolitycznych),</p> <p>b) krwawienia umiarkowane/ciężkie: – koncentrat rekombinowanego czynnika VIIa (niezależnie od zastosowanego wcześniej leczenia przy pomocy postępowania miejscowego oraz leków antyfibrynolitycznych).</p>
	<p>II linia leczenia</p> <p>Brak przeciwciał przeciw płytkowych: Krwawienia umiarkowane/ciężkie: – koncentrat płytek krwi (po niepowodzeniu wcześniejszego leczenia przy pomocy postępowania miejscowego, leków antyfibrynolitycznych oraz koncentratem rekombinowanego czynnika VIIa).</p>
Nabyta hemofilia A	<p>I linia leczenia</p> <p>– koncentrat rekombinowanego czynnika VIIa lub koncentrat aktywowanych czynników zespołu protrombiny aPCC lub rekombinowany wieprzowy czynnik VIII (terapia rpFVIII możliwa do zastosowania, jeżeli w trakcie leczenia nie stwierdzono występowania wysokiego miana inhibitora rpFVIII /wysokiego poziomu przeciwciał przeciwko rpFVIII).</p>
	<p>II linia leczenia (po niepowodzeniu leczenia I linii, rozumianym jako brak zahamowania</p>

<p>krwawienia, do oceny i decyzji lekarza prowadzącego leczenie)</p> <p>– w zależności od rodzaju leczenia zastosowanego w I linii: koncentrat aktywowanych czynników zespołu protrombiny aPCC lub koncentrat rekombinowanego czynnika VIIa lub koncentrat rekombinowanego wieprzowego czynnika VIII (terapia rpFVIII możliwa do zastosowania, jeżeli w trakcie leczenia nie stwierdzono występowania wysokiego miana inhibitora rpFVIII/wysokiego poziomu przeciwciał przeciwko rpFVIII).</p>
<p>III linia leczenia (po niepowodzeniu leczenia II linii, rozumianym jako brak zahamowania krwawienia przez środki omijające inhibitory, również, gdy leki te są niedostępne, do oceny i decyzji lekarza prowadzącego leczenie)</p> <p>– w zależności od rodzaju leczenia zastosowanego w II linii: koncentrat aktywowanych czynników zespołu protrombiny aPCC lub koncentrat rekombinowanego czynnika VIIa lub koncentrat rekombinowanego wieprzowego czynnika VIII (terapia rpFVIII możliwa do zastosowania, jeżeli w trakcie leczenia nie stwierdzono występowania wysokiego miana inhibitora rpFVIII/wysokiego poziomu przeciwciał przeciwko rpFVIII).</p> <p>Szczególne przypadki do rozważenia w III linii leczenia, do oceny i decyzji lekarza prowadzącego leczenie:</p> <p>– hFVIII (szczególne przypadki, np. gdy aPCC, rFVIIa, rpFVIII okazały się nieskuteczne; brak tolerancji innego leczenia; małe miano inhibitora wobec FVIII i krwawienie o niewielkim nasileniu),</p> <p>– rFVIIa i aPCC (terapia sekwencyjna, jeśli czynniki te były stosowane wcześniej w monoterapii).</p>

Źródło: Opinia Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji z dnia 27 maja 2021 r. w sprawie reasumpcji opinii w sprawie oceny dotychczasowego modelu finansowania koncentratów czynników krzepnięcia do krwawień i zabiegów dla subpopulacji pediatrycznej, nabytej hemofilii A i trombastenii Glanzmanna uzupełnionej pismem Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji z dnia 9 listopada 2021 r. przekazane Ministrowi Zdrowia znak: BP.4220.2.2021.AZ.

III.3. Planowane interwencje

W ramach Programu przewidywane są niżej wymienione interwencje.

1. W ramach celu szczegółowego **„Poprawa jakości życia osób chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, zmniejszenie chorobowości przez objęcie opieką w specjalistycznych ośrodkach dedykowanych tej grupie chorych”**, planuje się:
 - 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.
 - 1.1.2. Wypracowanie przez zespół ekspercki standardów i sposobu akredytacji ośrodków leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.

1.1.1. Zawarcie umów z funkcjonującymi ośrodkami powołanymi w ramach poprzedniej edycji Programu. Nowe ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych zostaną powołane przez 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 dotychczas powołane (w

ramach poprzedniej edycji) zostały wskazane w załącznikach nr 13-14 do Programu oraz na stronie internetowej www.nck.gov.pl/lista-osrodkow¹⁰, 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, tj. monitorowanie dzienniczków zużycia leków udostępnianych w szczególności w ramach nowych terapii oraz dostaw domowych czynników krzepnięcia;
- 3) prowadzenie instruktażu dla pacjentów i ich rodzin w zakresie bezpiecznego stosowania produktów leczniczych, zasad podawania i sposobu przechowywania ww. produktów leczniczych;
- 4) regularna, zgodnie ze wskazaniami lekarskimi, ocena stanu zdrowia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne;
- 5) potwierdzanie wykonywanych zadań przez wystawianie i aktualizację każdemu pacjentowi, w terminach wynikających z zaleceń lekarza, kart postępowania zgodnie z załącznikiem nr 1 do Programu; aktualizacja kart postępowania powinna się odbywać zgodnie z decyzją lekarza;
- 6) przekazywanie przez ośrodek pediatryczny pacjenta po ukończeniu 18 r. ż. do ośrodka dla dorosłych wystawiając skierowanie zgodnie z załącznikiem nr 3;
- 7) uzgadnianie przez koordynatora ośrodka pediatrycznego z koordynatorem ośrodka dla dorosłych terminu wizyty;
- 8) kontynuowanie przez ośrodek dla dorosłych prowadzenia profilaktyki pacjenta po 18 r.ż.;
- 9) prowadzenie depozytu koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny na podstawie umowy zawartej z RCKiK; zawsze obowiązuje zasada „najpierw czynnik”;
- 10) pełnienie całodobowego dyżuru konsultacyjnego dla innych podmiotów leczniczych, w tym lekarzy podstawowej opieki zdrowotnej i Państwowego Ratownictwa Medycznego wraz z opublikowaniem na stronie internetowej ośrodka numeru telefonu do konsultacji sytuacji nagłych;
- 11) wprowadzanie danych pacjentów do systemu teleinformatycznego dotyczącego obsługi pacjenta chorego na hemofilię, w tym ewidencji chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, po zakończeniu jego budowy;
- 12) weryfikacja dorosłych pacjentów, którzy nie byli dotychczas leczeni osoczopochodnymi koncentratami czynników krzepnięcia VIII i IX oraz zgłaszanie pacjentów do NCK i RCKiK do dostaw domowych;
- 13) zgłaszanie pacjentów do NCK w ramach leczenia w module 2, 3 oraz 5. Wzór zamówienia na bispecyficzne przeciwciała naśladującego aktywny czynnik VIII, który służy zgłoszeniu do modułu 3, określa załącznik nr 9 do Programu;
- 14) kierowanie kadry medycznej na szkolenia prowadzone przez ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, którym powierzono funkcję konsultacyjną i szkoleniową (w

¹⁰ Lista bieżąco aktualizowana

- przypadku braku możliwości pozyskania ratowników medycznych na szkolenia, ośrodki szkolące mogą zwrócić się o wskazanie uczestników do innych niż ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych szpitali, które prowadzą depozyty koncentratów czynników krzepnięcia i posiadają w strukturze szpitalny oddział ratunkowy (SOR), kliniczny oddział ratunkowy (KOR) lub izbę przyjęć (IP);
- 15) konsultacje dla pacjentów w ośrodku leczenia lub telefoniczne;
 - 16) 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;
 - 17) przyjmowanie 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;
 - 18) wydawanie pacjentom bispecyficznego przeciwciała naśladującego aktywny czynnik VIII. Wzór zamówienia na bispecyficzne przeciwciała naśladującego aktywny czynnik VIII określa załącznik nr 9 do Programu;
 - 19) opracowanie, wdrożenie i aktualizowanie procedury postępowania z chorymi na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne w przypadkach nagłych przez izbę przyjęć i SOR/KOR (o ile ośrodek posiada SOR/KOR); ZRM/IP.
 - 20) wskazanie przedstawiciela ośrodka leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych do udziału w spotkaniach dotyczących Programu;
 - 21) zapewnienie lokalnego koordynatora/koordynatorów ds. integrowania, koordynowania i synchronizowania zadań ośrodka leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych wynikających z umowy na realizację Programu. Do zadań koordynatora w szczególności należy:
 - a) bieżące raportowanie realizacji zadań ośrodka leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych wynikających z umowy,
 - b) monitorowanie zgłaszalności i wsparcie pacjentów w ramach wizyt konsultacyjnych,
 - c) monitorowanie czynników krzepnięcia u pacjentów objętych dostawami domowymi,
 - d) bieżące weryfikowanie danych kontaktowych ośrodka, w przypadku zmiany niezwłoczne przekazanie informacji do NCK,
 - e) udział w cyklicznych spotkaniach lokalnych koordynatorów oraz przedstawicieli ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz organizowanych zdalnie;
 - 22) powołanie kierownika ośrodka leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne¹¹ kierującego i nadzorującego właściwą realizacją zadań ośrodka wymienionych powyżej.

1.1.2. Sposób realizacji zadań przez ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.

1.1.2.1. 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 powinny wydawać również kartę (legitymację) chorego na hemofilię. Karta (legitymacja) chorego na hemofilię powinna zawierać informacje zgodnie z załącznikiem nr 2.

¹¹ Dotyczy ośrodków, które rocznie rejestrują powyżej 100 pacjentów chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne – wynikających z wystawionych kart postępowania.

1.1.2.2. 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 produkt leczniczy, kontaktując się z lekarzem w formie e-konsultacji. Pacjent ma obowiązek udostępnić lekarzowi wymagane przez niego dokumenty (np. wyniki badań, karty informacyjne z hospitalizacji).

1.1.2.3. Karta postępowania jest wystawiana w trzech egzemplarzach, po jednym dla ośrodka leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych i pacjenta, w celu okazania w sytuacji postępowania nagłego (np. przez Państwowe Ratownictwo Medyczne) oraz dla lekarza, który będzie wypisywał pacjentowi zamówienia indywidualne na produkty krwiopochodne, rekombinowane koncentraty czynników krzepnięcia, desmopresynę oraz bispecyficzne przeciwciała naśladujące aktywny czynnik VIII. Karta (legitymacja) chorego na hemofilię jest wystawiana w jednym egzemplarzu (dla pacjenta), a kopia pozostaje w ośrodku.

1.2. Z uwagi na wieloaspektowy charakter opieki, jaką ośrodek leczenia chorych na hemofilię będzie zobowiązany zapewnić pacjentom, będzie przyznawane wynagrodzenie ryczałtowe wyliczane następująco: 350 zł rocznie na jednego zarejestrowanego w ośrodku pacjenta oraz równowartość kosztów rocznego wynagrodzenia sekretarki medycznej¹² wraz z pochodnymi w wysokości 0,5 etatu dla ośrodków wykazujących poniżej 50 pacjentów rocznie, 3/4 etatu dla ośrodków wykazujących od 51 do 100 zarejestrowanych pacjentów rocznie, 1 etat dla ośrodków wykazujących od 101 do 200 zarejestrowanych pacjentów rocznie, 1,5 etatu dla ośrodków wykazujących od 201 do 350 zarejestrowanych pacjentów rocznie i 2 etaty dla ośrodków wykazujących 351 lub więcej zarejestrowanych pacjentów rocznie¹³. Ryczałt będzie obejmował, m. in. obsługę administracyjną, w tym wynagrodzenie lokalnego koordynatora, o, 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 jest obowiązany 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. Powyższe nie dotyczy przypadków wystawienia przez ten sam ośrodek leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych nowej karty postępowania. W przypadku braku możliwości osobistego stawienia się w ośrodku karta postępowania powinna być wysłana tradycyjną pocztą lub za pomocą poczty elektronicznej w formie skanu dokumentu.

1.3. Realizacja strategii postępowania w przypadku działań z zakresu ratownictwa medycznego.

¹² Sposób ustalania wynagrodzenia: iloczyn ostatniego ogłoszonego przez Prezesa Głównego Urzędu Statystycznego przeciętnego wynagrodzenia w gospodarce narodowej za pełny rok kalendarzowy (wraz z trzynastym wynagrodzeniem) i współczynnika pracy dla pracownika działalności podstawowej, innego niż pracownik wykonujący zawód medyczny, wymagający średniego wykształcenia, określonego w ustawie o sposobie ustalania najniższego wynagrodzenia zasadniczego niektórych pracowników zatrudnionych w podmiotach leczniczych powiększone o 20,5% pochodnych wynagrodzenia, jednak nie mniej niż wynagrodzenie minimalne. Kwota jest podstawą określenia ryczałtu.

¹³ Ośrodek, który nie wykaże, że utworzył depozyt koncentratów czynników krzepnięcia, gdy nie ma możliwości niezwłocznego zaopatrzenia RCKiK, nie otrzyma ryczałtu z tytułu równowartości kosztów rocznego wynagrodzenia sekretarki medycznej.

1.3.1. Priorytety w strategii postępowania z chorymi na skazy krwotoczne wymienione w Programie w stanach nagłych.

1.3.1.1. Stan nagłego zagrożenia zdrowotnego określony w art. 3 pkt 8 ustawy z dnia 8 września 2006 r. 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.

1.3.1.2. W sytuacjach krytycznych pacjentom z hemofilią i pokrewnymi skazami krwotocznymi należy, dla ich bezpieczeństwa, zapewnić natychmiastowy dostęp do leczenia oraz specjalistycznej opieki medycznej, za pośrednictwem ZRM/SOR/KOR/IP oraz wielu lekarzy specjalistów.

1.3.1.3. 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.

1.3.1.4. 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/KOR/IP, w którym prowadzony jest depozyt szpitalny koncentratów czynników krzepnięcia.

1.3.1.5. Przy braku możliwości pozyskania koncentratu czynnika krzepnięcia ze szpitalnego depozytu, lekarz pełniący dyżur na SOR/KOR/IP niezwłocznie po otrzymaniu informacji od ZRM dokonuje zamówienia koncentratu w RCKiK.

1.3.1.6. Po podaniu koncentratu niedoborowego czynnika, lekarz, ratownik medyczny lub pielęgniarka z ZRM/SOR/KOR/IP konsultuje pacjenta z lekarzem z ośrodka leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.

1.3.1.7. 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 przeciwkrzeplowym, przeciwkrzeplowym, 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,*”, planowane są następujące interwencje:

- 2.1. Zakupy produktów leczniczych dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne. Zakupy produktów leczniczych zabezpieczają ciągłość leczenia chorych na minimum pierwszy kwartał kolejnego roku. Brak dostępu do odpowiednich produktów leczniczych, może spowodować przerwę w kontynuacji leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne
- 2.1.1. Zakup będzie dokonywany przez NCK za pośrednictwem Zakładu Zamówień Publicznych przy Ministrze Zdrowia. Koncentraty czynników krzepnięcia VIII i IX będą kupowane bez różnicowania na produkty osoczo pochodne 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. Zakup i magazynowanie produktów leczniczych w magazynie depozytowym Narodowego Centrum Krwi, który utworzy i będzie prowadził Wykonawca w lokalizacji magazynu hurtowni farmaceutycznej. Wykonawca dostarczy na własny koszt przedmiot zamówienia stosownie opakowanego i oznaczonego, zgodnie z obowiązującymi w Polsce przepisami zarówno do magazynu depozytowego, jak również do wskazanych przez Narodowe Centrum Krwi bezpośrednich odbiorców, tj. Regionalnych Centrów Krwiodawstwa i Krwiolecznictwa i/lub innych podmiotów uprawnionych, zgodnie z rozdzielnikiem przedstawionym przez Narodowe Centrum Krwi. Wykonawca pokrywa koszty transportu i ubezpieczenia przedmiotu zamówienia w trakcie dystrybucji.
- 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 NCK 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 przez 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 wydawane przez RCKiK, a bispecyficzne przeciwciała naśladujące aktywny czynnik VIII przez Ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych. W cenę bispecyficznego przeciwciała naśladującego aktywny czynnik VIII wliczone będzie zapewnienie przez wykonawcę zamówienia publicznego na rzecz ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych odczynników wołowych do oznaczeń aktywności czynnika krzepnięcia oraz miana inhibitora metodą chromogenną.

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 27 sierpnia 2021 r. w sprawie szczegółowego wzoru zamówienia indywidualnego na produkty krwiopochodne, rekombinowane koncentraty czynników krzepnięcia oraz desmopresynę (Dz. U. poz. 1592);
 - 3) realizacja przesunięć koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny z innych RCKiK, na podstawie dyspozycji NCK;
 - 4) umożliwienie podmiotom leczniczym zawarcia umów 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;
 - 6) przekazywanie do NCK 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 bieżącego aktualizowania danych podmiotów istotnych dla ratownictwa medycznego.
- 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 będą zgłaszać pacjentów, którzy ze względu na ograniczoną w znacznym stopniu sprawność ruchową, brak w gospodarstwie domowym samochodu, oddalenie miejsca zamieszkania od RCKiK, mają ograniczone możliwości

odbioru produktów leczniczych. Wstępnej/tymczasowej kwalifikacji dokonuje koordynator ośrodka leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne. Wniosek zostaje ostatecznie potwierdzony przez lekarza z ośrodka leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne. Wniosek o zapewnienie osprzętu do podawania koncentratów czynników krzepnięcia przez port wypełnia lekarza z ośrodka leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.

Wzór zgłoszenia do dostaw domowych określa załącznik nr 5 do Programu, a wniosek o zapewnienie osprzętu do podawania koncentratów czynników krzepnięcia przez port załącznik nr 6;

- 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. Włączanie do dostaw domowych odbywa się zgodnie z kolejnością składanych wniosków;
- 3) w ramach dostaw domowych koncentratów czynników krzepnięcia dostępne będą leki stosowane w profilaktyce i leczeniu krwawień;
- 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”; w przypadku gdy 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;
- 5) w przypadku braku możliwości odbioru dostawy 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;
- 6) dostawy domowe pacjentom z ciężkim przebiegiem choroby, 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 zasadami Dobrej Praktyki Dystrybucyjnej Leków, określonymi na podstawie ustawy z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne (Dz. U. z 2022 r. poz. 2301).

2.2.3. Wdrożenie nowo rejestrowanych leków oraz czynników krzepnięcia o przedłużonym działaniu w uzasadnionych przypadkach w ramach budżetu Programu:

- 1) z uwagi na spodziewane przez środowisko ekspertów w zakresie leczenia hemofilii 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 przez zmniejszenie wolumenu produktów leczniczych dotychczas

stosowanych. Rozwiązanie to pozwoli na wprowadzenie konkurencyjności pomiędzy produktami leczniczymi dotychczas stosowanymi, a nowymi.

Procedura wdrażania nowych terapii została określona w załączniku nr 10 do Programu.

- 2) warunkiem modyfikacji Programu będzie wykazanie efektywności medycznej i kosztowej w ramach możliwości budżetu Programu, przy stosowaniu nowo zarejestrowanych terapii wobec dotychczas dostępnych w Programie produktów leczniczych. Aktualizacja Programu w tym zakresie będzie przedmiotem opinii AOTMiT.
3. W ramach celu szczegółowego **„Wzmocnienie nadzoru nad stosowaniem produktów leczniczych u ww. grupy chorych oraz podniesienie wiedzy personelu medycznego zaangażowanego w sprawowanie specjalistycznej opieki nad tą grupą chorych”**, 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 Dziecięcy Szpital Kliniczny im. Józefa Polikarpa Brudzińskiego Warszawskiego Uniwersytetu Medycznego. 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 7 i 8 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 właściwego do spraw zdrowia zgodnie z zarządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 25 kwietnia 2018 r. w sprawie prowadzenia prac nad opracowaniem i realizacją programów polityki zdrowotnej oraz wyłaniania realizatorów innych programów realizowanych przez ministra właściwego do spraw zdrowia (Dz. Urz. Min. Zdrow. poz. 30 z późn. zm.). W skład Rady będą wchodzić m.in.: Konsultant Krajowy ds. Hematologii, Konsultant Krajowy ds. Onkologii i Hematologii Dziecięcej, Konsultant Krajowy ds. Transfuzjologii Klinicznej, Przewodniczący Grupy ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów, eksperci z zakresu leczenia skaz krwotocznych oraz przedstawiciele: organizacji pacjentów, MZ i NCK. Rada Programu może zaprosić do udziału w posiedzeniach dodatkowe osoby;
- 2) obsługę techniczną Rady zapewni NCK;
- 3) Radzie przewodniczy Przewodniczący bądź wyznaczona przez Przewodniczącego osoba.

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 właściwego do spraw zdrowia;
- 2) ewaluacja realizacji Programu;
- 3) merytoryczna ocena i analiza stopnia osiągnięcia celów Programu;

- 4) opiniowanie wniosków (załącznik nr 12 do Programu) o włączenie populacji pacjentów do nowych terapii, zgodnie z rozdziałem III. 2, moduł 5;
 - 5) opiniowanie szczególnych przypadków pacjentów, w tym pomoc w interpretacji kryteriów kwalifikacji i wyłączenia;
 - 6) ocena zasadności i rekomendowanie listy 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 właściwemu do spraw 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) opiniowanie inicjatyw i rekomendacji z zakresu ratownictwa medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne;
 - 9) opracowywanie po zakończeniu realizacji Programu, raportu dla ministra właściwego do spraw zdrowia zawierającego ocenę Programu, w terminie wskazanym przez ministra właściwego do spraw zdrowia;
 - 10) udział przedstawiciela Rady w spotkaniach przedstawicieli ośrodków leczenia chorych i pokrewnych skaz krwotocznych.
- 3.3. Zakończenie budowy systemu teleinformatycznego dotyczącego obsługi pacjenta chorego na hemofilię, w tym ewidencji chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, oraz jego uruchomienie, utrzymanie i rozwój. W ramach rozwoju systemu przewiduje się:
- 1) rozszerzenie funkcjonalności dla użytkowników systemu w obszarach: raportowania podań leków w trakcie hospitalizacji, przetwarzania wybranych badań obrazowych oraz wybranych wyników badań z uwzględnieniem badań obrazowych;
 - 2) rozbudowę o mechanizmy wnioskujące i „alertujące” personel medyczny na podstawie danych gromadzonych przez system;
 - 3) rozbudowę o mechanizmy analityczne wspierające analizę jakości życia i pełnych kosztów opieki nad chorymi z uwzględnieniem generowanych kosztów pośrednich.

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

W ramach 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 albo ustąpienia skazy krwotocznej (*np. przeszczep wątroby, ustąpienie nabytej hemofilii A itp.*);
- 3) rezygnacji pacjenta, na każdym etapie;
- 4) niepotwierdzenia 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 przez objęcie opieką w specjalistycznych ośrodkach dedykowanych tej grupie chorych”**, wyróżnia się następujące etapy:
 - 1.1 Etap pierwszy – po zatwierdzeniu Programu do realizacji – zawarcie umów z nowymi realizatorami. Aneksowanie umów z ośrodkami już powołanymi. Treść umów przygotowuje NCK w imieniu ministra właściwego do spraw zdrowia.
 - 1.2 Etap drugi (dotyczy nowych ośrodków) – do realizacji od 2024 r. po podpisaniu umów na realizację ww. działania w danym województwie, stopniowe obejmowanie opieką pacjentów.
 - 1.3 Etap trzeci – do realizacji od 2024 r., powołanie Zespołu eksperckiego do wypracowania standardów i sposobu akredytacji ośrodków leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, wraz z harmonogramem działań pilotażowych w wybranych ośrodkach leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, oraz zgłoszenie ośrodków do akredytacji European Association for Haemophilia and Allied Disorders.
2. W ramach realizacji celu szczegółowego **„Zaopatrzenie w leki niezbędne dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne,”**, 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 właściwego do spraw zdrowia zostaną przygotowane przez NCK.
 - 2.2 Etap drugi – do realizacji od 2024 r. – 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 2024 r. – informowanie przez RCKiK właściwego wojewody o utworzonym depozycie koncentratów czynników krzepnięcia.
 - 2.4 Etap czwarty – do realizacji począwszy od 2024 r. – wprowadzenie dostaw domowych koncentratów czynników krzepnięcia na poziomie do¹⁴:
 - 1) 300 pacjentów do 31 grudnia 2024 r. (dodatkowo pacjenci objęci dostawami domowymi w ramach poprzedniego programu);
 - 2) 300 pacjentów do 31 grudnia 2025 r. (dodatkowo pacjenci z poprzedniego roku);
 - 3) 300 pacjentów do 31 grudnia 2026 r. (dodatkowo pacjenci z poprzednich lat);
 - 4) 300 pacjentów do 31 grudnia 2027 r. (dodatkowo pacjenci z poprzednich lat);
 - 5) 300 pacjentów do 31 grudnia 2028 r. (dodatkowo pacjenci z poprzednich lat).

¹⁴ Realizacja wskazanego poziomu uzależniona od funkcjonowania systemu e-Hemofilia w przedmiotowym zakresie.

3. W ramach realizacji celu szczegółowego „*Wzmocnienie nadzoru nad stosowaniem produktów leczniczych u ww. grupy chorych, oraz podniesienie wiedzy personelu medycznego zaangażowanego w sprawowanie specjalistycznej opieki nad tą grupą chorych*”, wyróżnia się następujące interwencje:

3.1. „*Powołanie i funkcjonowanie Rady Programu*”:

3.1.1. Etap pierwszy – do realizacji od 2024 r. – powołanie przez ministra właściwego do spraw zdrowia Rady Programu i zwołanie przez NCK pierwszego posiedzenia Rady Programu, celem ustalenia regulaminu Rady i wyboru jej władz.

3.1.2. Etap drugi – do realizacji od 2024 r. – regularne posiedzenia Rady, nie mniej niż dwa razy w ciągu roku, w razie potrzeby, dodatkowe posiedzenia na polecenie ministra właściwego do spraw zdrowia.

3.2. „*Powierzenie funkcji konsultacyjnej i szkoleniowej*”:

3.2.1. Etap pierwszy – po zatwierdzeniu Programu do realizacji – NCK w imieniu ministra właściwego do spraw 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 (Dz. U. z 2022 r. poz. 2561, z późn. zm.), którym powierzono funkcję konsultacyjną i szkoleniową.

3.2.2. Etap drugi – do realizacji od 2024 r. – coroczne prowadzenie szkoleń zgodnie z załącznikami nr 7 i 8 do Programu.

3.3. „*Zakończenie budowy systemu teleinformatycznego dotyczącego obsługi pacjenta chorego na hemofilię, w tym ewidencji chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, oraz jego uruchomienie, utrzymanie i rozwój*”:

3.3.1. Etap pierwszy – zakończenie budowy systemu i jego uruchomienie¹⁵

3.3.2. Etap drugi — Rozbudowa systemu . W ramach etapu planowane jest rozszerzenie funkcjonalności w czterech obszarach:

- 1) podania koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny w trakcie hospitalizacji;
- 2) wybranych badań obrazowych;
- 3) wyników badań genetycznych;
- 4) innych wyników badań specjalistycznych – specyficznych dla diagnostyki hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.

Działania podejmowane w ramach etapu będą polegały na modyfikacji istniejącego systemu w poszczególnych czterech obszarach. Kolejność zmian oraz ich zakres funkcjonalny zostanie wypracowany na podstawie prac analitycznych z udziałem Ośrodków Leczenia oraz NCK.

3.3.3. Etap trzeci - lata 2025 – 2028 – Mechanizmy analityczne

Mechanizmy analityczne będą rozbudowywane na bazie dostępnych w systemie danych. Model udostępniania użytkownikom nowych funkcjonalności analitycznych niezależny od wydań systemu umożliwi szybką weryfikację implementowanych funkcjonalności analitycznych.

Prace będą prowadzone w dwóch obszarach:

¹⁵ wymaga wprowadzenia odpowiedniej legislacji

- a) rozbudowa systemu o mechanizmy wnioskujące i „alertujące” personel medyczny na podstawie wzorców w danych,
- b) rozbudowa systemu o mechanizmy analityczne wspierające analizę jakości życia i pełnych kosztów opieki nad chorymi z uwzględnieniem generowanych kosztów pośrednich.

Prace analityczne w obszarze, o którym mowa w lit. b będą wymagały oprócz współpracy NCK i ośrodków leczenia również współpracy z NFZ, ZUS i KRUS w celu wymiany informacji o pełnych kosztach świadczonej dla pacjenta opieki zdrowotnej oraz innych kosztach ponoszonych w związku z opieką nad pacjentem.

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 przez objęcie opieką w specjalistycznych ośrodkach dedykowanych tej grupie chorych”*:
 - 1.1. Nowe 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 właściwy do spraw 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. Kontynuacja dotychczasowych umów z ośrodkami już powołanymi.
Lista podmiotów leczniczych, z którymi zostaną zawarte umowy w zakresie leczenia dorosłych znajduje się w załączniku nr 13 oraz na stronie: www.nck.gov.pl/lista-osrodkow.
 - 1.2. Zostaną zawarte umowy na realizację ww. celu szczegółowego w zakresie leczenia dzieci z podmiotami leczniczymi realizującymi program lekowy *„Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”*, którym minister właściwy do spraw 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.
Lista podmiotów leczniczych, z którymi zostaną zawarte umowy w zakresie leczenia dzieci w tej części znajduje się w załączniku nr 14 oraz na stronie: www.nck.gov.pl/lista-osrodkow.
2. W części dotyczącej celu szczegółowego *„Zaopatrzenie w leki niezbędne dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne,”* działania będą wykonywane przez RCKiK, a w przypadku dostaw domowych produktów leczniczych przez wykonawcę zamówienia publicznego na zakup produktu leczniczego wraz z dostawą domową (koszt dostawy domowej będzie wówczas wliczony w cenę produktu leczniczego).
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. W przypadku dostaw domowych koncentratów czynników krzepnięcia działania będą wykonywane przez wykonawcę zamówienia publicznego na zakup produktu leczniczego wraz z dostawą domową (koszt dostawy domowej będzie wówczas wliczony w cenę produktu leczniczego) oraz w przypadku pacjentów z portem naczyniowym

wraz z niezbędnym osprzętem (koszt osprzętu 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*” 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 Dziecięcy Szpital Kliniczny im. Józefa Polikarpa Brudzińskiego w Warszawie.
4. W zakresie interwencji „*Zakończenie budowy systemu teleinformatycznego dotyczącego obsługi pacjenta chorego na hemofilię, w tym ewidencji chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, oraz jego uruchomienie, utrzymanie i rozwój*” działania będą realizowane przez Centrum e-Zdrowia. Centrum e-Zdrowia będzie również dysponentem środków budżetowych w zakresie przedmiotowej interwencji.

V. Sposób monitorowania i ewaluacji programu polityki zdrowotnej

Monitorowanie i ewaluacja będzie prowadzona przez NCK i Radę Programu.

V.1. Monitorowanie:

1. Kwartalne 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 Programu, w przypadku czynników VIII i IX sumowane będzie zużycie czynników osoczo pochodnych 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 uruchomiony, po zakończeniu budowy, system teleinformatyczny dotyczący obsługi pacjenta chorego na hemofilię, w tym ewidencji chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne,

V.2. Ewaluacja:

Podczas ewaluacji Programu będą wykorzystywane niżej wskazane wskaźniki realizacji Programu:

- 1) liczba pacjentów, objętych opieką ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych na koniec programu polityki zdrowotnej;
- 2) ilość zużycia rodzajów koncentratów czynników krzepnięcia na jednego mieszkańca kraju;
- 3) liczba pacjentów objętych dostawami domowymi koncentratów czynników krzepnięcia;
- 4) liczba uczestników szkoleń w ramach Programu;
- 5) liczba ośrodków leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, które przystąpiły do działań akredytacyjnych.

Dane do oceny stopnia realizacji Programu gromadzić będzie NCK.

VI. Budżet programu polityki zdrowotnej

VI.1. Koszty jednostkowe

Koszty jednostkowe w przeliczeniu na jednego chorego na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne przedstawiono w tabeli 11.

Tabela 11. Koszty jednostkowe - na jednego pacjenta* na poszczególne lata realizacji Programu.

INTERWENCJA	2024	2025	2026	2027	2028
Powołanie i funkcjonowanie ośrodków leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne oraz objęcie pacjentów kompleksową opieką w tych ośrodkach.	350,00	350,00	350,00	350,00	350,00
Zapewnienie lokalnego koordynatora.	300,00	300,00	300,00	300,00	300,00
Powierzenie funkcji konsultacyjnej i szkoleniowej.	18,67	18,67	18,67	18,67	18,67
Powołanie i funkcjonowanie Rady Programu.	2,50	2,50	2,50	2,50	2,50
Zakupy produktów leczniczych dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne oraz zapewnienie pacjentom zakupionych produktów leczniczych zgodnie z kryteriami kwalifikacji i wyłączenia rozdz. III. 2. Programu.	63 622,50	65 721,67	68 094,67	70 293,00	72 493,50
Zakończenie budowy systemu teleinformatycznego dotyczącego obsługi pacjenta chorego na hemofilię, w tym ewidencji chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, oraz jego uruchomienie, utrzymanie i rozwój.	1 345,83	1 196,67	710,50	1394,00	409,00
Łącznie:	65 639,50	67 589,51	69 476,34	72 358,17	73 573,67

* Koszty jednostkowe oszacowano przy założeniu udziału w Programie 6 000 pacjentów – dotyczy kosztów planowanych.

VI.2. Koszty całkowite

Koszty całkowite realizacji Programu w poszczególnych latach przedstawiono w tabeli 12. Główną składową kosztów jest zakup i zapewnienie dostępności do produktów leczniczych. Szacunkowe, planowane ilości zakupu poszczególnych produktów leczniczych przedstawiono w tabeli 13.

Program Polityki Zdrowotnej Ministra Zdrowia
Narodowy Program Leczenia Chorych Na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028

Tabela 12. Koszty całkowite realizacji Programu w poszczególnych latach.

CEL SZCZEGÓŁOWY	DYSPOONENT	FINANSOWANE DZIAŁANIE	RODZAJ WYDATKÓW	2024 R.	2025 R.	2026 R.	2027 R.	2028 R.
				Planowane wartości	Planowane wartości	Planowane wartości	Planowane wartości	Planowane wartości
Powołanie i funkcjonowanie ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych i objęcie pacjentów kompleksową opieką w tych ośrodkach.	NCK	Działania wskazane w rozdziale III.3 Programu, pkt 1.1.	Bieżące	3 900 000,00	3 900 000,00	3 900 000,00	3 900 000,00	3 900 000,00
		Zapewnienie lokalnego koordynatora - ryczałt	Bieżące					
Powierzenie funkcji konsultacyjnej i szkoleniowej.		Szkolenia kadry medycznej.	Bieżące	112 000,00	112 000,00	112 000,00	112 000,00	112 000,00
Powołanie i funkcjonowanie Rady Programu.		Finansowanie kosztów dojazdu na posiedzenia oraz obsługi organizacyjnej posiedzeń.	Bieżące	15 000,00	15 000,00	15 000,00	15 000,00	15 000,00
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 13.	Bieżące	381 735 000,00	394 330 000,00	408 568 000,00	421 758 000,00	434 961 000,00
Zakończenie budowy systemu teleinformatycznego dotyczącego obsługi pacjenta chorego na hemofilię, w tym ewidencji chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, oraz jego uruchomienie, utrzymanie i rozwój	Centrum e-Zdrowia	Zakończenie budowy systemu. Uruchomienie systemu. Utrzymanie systemu. Rozwój systemu. Rozbudowa o mechanizmy wnioskujące i alertujące oraz mechanizmy analityczne.	Bieżące	10 074 493,00	7 180 000,00	4 263 000,00	8 364 000,00	2 454 000,00
			- w tym: płacowe	480 760,00	927 000,00	927 000,00	927 000,00	927 000,00
			Majątkowe	0,00	0,00	0,00	0,00	919 200,00
RAZEM				395 836 493,00	405 537 000,00	416 858 000,00	434 149 000,00	441 442 000,00

Tabela 13. Ilości produktów leczniczych przewidzianych do zakupu w poszczególnych latach realizacji Programu.

Produkt leczniczy ¹⁶	2024 r.	2025 r.	2026 r.	2027 r.	2028 r.
	Ilości planowane	Ilości planowane	Ilości planowane	Ilości planowane	Ilości planowane
koncentrat czynnika VIII	330 000 000	346 500 000	364 000 000	382 200 000	400 000 000
koncentrat rekombinowanego czynnika VIII (jednostka międzynarodowa)	6 750 000	7 080 000	7 400 000	7 770 000	8 100 000
koncentrat czynnika IX (j.m.)	50 000 000	52 500 000	55 125 000	57 800 000	61 261 515
koncentrat rekombinowanego czynnika IX (j.m.)	820 000	860 000	900 000	945 000	990 000
koncentrat czynnika VIII zawierającego czynnik von Willebranda o proporcji VWF:FVIII co najmniej 1:1 (jednostka międzynarodowa czynnika von Willebranda)	19 000 000	19 950 000	20 950 000	22 000 000	23 100 000
koncentrat czynnika VIII zawierającego czynnik von Willebranda o proporcji VWF:FVIII co najmniej 2:1 (jednostka międzynarodowa czynnika von Willebranda)	12 300 000	12 915 000	13 560 000	14 238 000	14 950 000
koncentrat czynników zespołu protrombiny (PCC) (jednostka międzynarodowa)	900 000	945 000	990 000	1 040 000	1 092 000
koncentrat aktywowanych czynników zespołu protrombiny (aPCC) (jednostka międzynarodowa.)	18 150 000	18 150 000	18 150 000	18 150 000	18 150 000
Bispecyficzne przeciwciało naśladujące czynnik VIII (mg)	405 000	425 000	450 000	470 000	490 000
koncentrat czynnika VII (j.m.)	600 000	630 000	660 000	693 000	720 000
koncentrat rekombinowanego czynnika VIIa (mg)	25 000	25 000	25 000	25 000	25 000
Koncentrat rekombinowanego wieprzowego czynnika VIII (jednostka międzynarodowa)	2 000 000	2 200 000	2 400 000	2 600 000	2 800 000
koncentrat fibrynogenu (g)	300	315	330	345	360
koncentrat czynnika XIII (jednostka międzynarodowa)	210 000	220 000	230 000	240 000	250 000
desmopresyna dożylna w amp. 4 µg (amp.)	5 500	5 500	5 500	5 500	5 500
desmopresyna donosowa (opak.)	750	750	750	750	750
Wartość* (razem):	381 735 000 zł	394 330 000 zł	408 568 000 zł	421 758 000 zł	434 961 000 zł

*Wartość zaokrąglona do tysięcy

¹⁶ Zgodnie z dyspozycją art. 99 ust. 4 ustawy z dnia 11 września 2019 r. – Prawo zamówień publicznych (Dz. U. z 2022 r. poz. 1710, z późn. zm.) przedmiotu zamówienia nie można opisywać w sposób, który mógłby utrudniać uczciwą konkurencję, w szczególności przez wskazanie znaków towarowych, patentów lub pochodzenia, źródła lub szczególnego procesu, który charakteryzuje produkty lub usługi dostarczane przez konkretnego wykonawcę, jeżeli mogłoby to doprowadzić do uprzywilejowania lub wyeliminowania niektórych wykonawców lub produktów.

Mając powyższe na względzie nie wskazuje się nazw handlowych produktów leczniczych, dopuszczając wybór dowolnego produktu w danym rodzaju, w zależności od wyniku postępowania o udzielenie zamówienia publicznego. Powyższa reguła wpisuje się w treść zasad udzielania zamówień publicznych, zgodnie z regulacją art. 16 ustawy z dnia 11 września 2019 r. – Prawo zamówień publicznych.

VI.3. Źródła finansowania

Program finansowany przez Narodowy Fundusz Zdrowia w zakresie zakupu: poszczególnych produktów leczniczych i wyrobów medycznych oraz z budżetu będącego w dyspozycji ministra właściwego do spraw zdrowia z części 46 – Zdrowie, działu – 851 – Ochrona zdrowia, rozdziału 85149 – Programy polityki zdrowotnej w zakresie pozostałych zadań.

VII. Piśmiennictwo:

1. Windyga J., Lopaciuk S., Stefańska E., Klukowska A., *Hemophilia and other inherited blood coagulation disorders in Poland*, Pol Arch Med. Wewn, 2004 Oct; 112(4): 1197-202. PIMD: 15773432.
2. World Federation of Hemophilia, *Report on the Annual Global Survey 2020*, październik 2021.
3. <https://elearning.wfh.org/elearning-centres/hemophilia> [dostęp: 30.08.2022]

Załączniki

Załącznik nr 1

KARTA POSTĘPOWANIA

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

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

Dane opiekuna prawnego (*imię /imiona*) 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 podania koncentratu czynnika krzepnięcia/desmopresyny/emicizumabu. Koncentrat czynnika krzepnięcia/desmopresyny/emicizumab można podawać w każdym podmiocie leczniczym, w tym w POZ oraz SOR/IP, jak również w warunkach domowych (*bez obecności lekarza*).

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/desmopresyny 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 Krwiolecznictwa (..... 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 z podmiotami leczniczymi..
- Karta powinna być aktualizowana przez lekarza prowadzącego w ośrodku leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.



Załącznik nr 2

WYKAZ INFORMACJI, JAKIE POWINNY ZNALEŻĆ SIĘ W KARCIE CHOROGE 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:
 - 1) w przypadku krwawień zagrażających życiu;
 - 2) w przypadku krwawień łagodnych lub umiarkowanych.
3. Informacja o zasadzie „*najpierw czynnik*”, mówiąca o tym, że:
 - 1) **„Najpierw podaj czynnik potem diagnozuj!”;**
 - 2) **„Niewłoczne podanie leku powstrzyma krwawienie, zminimalizuje poważne komplikacje i może uratować życie.”;**
 - 3) **„Jeśli krwawienie przedłuża się, jest poważne lub zagraża życiu, postępuj zgodnie z podanymi zaleceniami.”;**
 - 4) **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 stanowią załącznik nr 13, 14 do programu);
 - 5) opóźnienie w podaniu czynnika i podjęciu leczenia może spowodować zagrożenie dla życia lub pojawienie się poważnych powikłań.
4. **Ponadto informacje o tym, że:**
 - 1) jeśli pacjent nie otrzymał koncentratu czynnika krzepnięcia, nie może być poddany zabiegowi inwazyjnemu;
 - 2) nie wolno wykonywać zastrzyków domięśniowych;
 - 3) nie wolno podawać aspiryny i innych niesteroidowych leków przeciwzapalnych;
 - 4) pacjent lub jego opiekun może być źródłem ważnych informacji o sposobie leczenia;
 - 5) w ostrych stanach po podaniu czynnika należy zastosować rutynowe leczenie.
5. Klasyfikacja krwawień w związku z umiejscowieniem krwawień:
 - 1) zagrażających zdrowiu lub życiu: w obrębie głowy oraz szyi, klatki piersiowej, jamy brzusznej, miednicy, kręgosłupa, do mięśnia biodrowo-lędźwiowego, 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;
 - 2) krwawienia umiarkowane i niewielkie: z nosa, w jamie ustnej, w stawach, krwotoczna miesiączka, krwimocz.
6. Informacje o sposobie postępowania z chorymi na hemofilię:
 - 1) 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).
 - 2) 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),

3) 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 krwimocz).

(Podane dawki stanowią ogólne wytyczne. Szczegółowe informacje można znaleźć na ulotce dostarczanej z lekiem.)

7. Dla ratowania życia jest konieczne natychmiastowe podniesienie poziomu czynnika w osoczu chorego do 80-100% normy.
8. Informacje aby w przypadku zagrożenia życia lub zdrowia, jak najszybciej skontaktować się z najbliższym ośrodkiem leczenia chorych na hemofilię.

Załącznik nr 3

SKIEROWANIE DO OŚRODKA LECZENIA HEMOFILII I POKREWNYCH SKAZ KRWOTOCZNYCH DLA DOROSŁYCH

.....
Nazwa Ośrodka **Data**

Skierowanie do Ośrodka Leczenia Hemofilii i Pokrewnych Skaz Krwotocznych
w.....

Karta informacyjna Poradni Skaz Krwotocznych/Hematologii Dziecięcej

Imię (imiona) i nazwisko.....

Pesel.....

Adres zamieszkania.....

Telefon kontaktowy.....

Adres e-mail

Rozpoznanie skazy krwotocznej (rodzaj, postać)

.....

.....

Imię (imiona) i nazwisko lekarza prowadzącego hematologa pediatry (kontakt)

.....

Wywiad rodzinny

Skaza krwotoczna u członków rodziny.....

.....

Szczegółowe rozpoznanie.....

Rodzaj

mutacji.....

Nie oznaczono.....

Wywiad chorobowy

Przebyte krwawienia

Przebyte zabiegi operacyjne.....

Rodzaj zabiegu

Przygotowanie do zabiegu

Choroby współistniejące i ich leczenie.....

.....

.....

W wypadku choroby von Willebranda czy rzadkiej skazy krwotocznej dziedzicznej autosomalnie: wywiad ginekologiczno-położniczy (miesiączki, ciążę, porody), antykoncepcja

Aktualny stan pacjenta

Badanie fizyczne:

Najbardziej zajęte stawy.....

Ocena sprawności fizycznej

HJHS (tylko dla pacjentów z postacią ciężką)

Badania dodatkowe:

- **Morfologia krwi**
- **GOT**
- **GPT**
- **Hbs Ag**
- **anty HBs**
- **HCV**

Inhibitor niedoborowego ludzkiego czynnika krzepnięcia

NIE TAK

Kiedy: od:.....do:.....

Miano historyczne

Indukcja tolerancji immunologicznej (ITI) data:.....

Jaki koncentrat stosowano:.....

Szczepienia:

- **wzw typu B**

Aktualny sposób leczenia:.....

Rodzaj profilaktyki: pierwotna/wtórna

Rodzaj koncentratu

czynnika:.....

Częstość profilaktyki

Farmakokinetyka (w załączeniu) TakNie.....

Dojście centralne (data założenia).....

Samodzielne podawanie czynnika.....

Rehabilitacja:

Nie

Tak jak często.....

Inne

Nadruk, naklejka lub pieczęć lekarza ośrodka leczenia hemofilii.....

Data



Załącznik nr 4

**WYKAZ OBOWIĄZUJĄCYCH W POLSCE REKOMENDACJI DOTYCZĄCYCH
LECZENIA CHORYCH NA SKAZY KRWOTOCZNE**

Hemofilia

1. Zawilska K, Windyga J, Łętowska M: Zasady udzielania doraźnej pomocy przeciwkrwotocznej chorym na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne przez lekarzy pogotowia ratunkowego, szpitalnych oddziałów ratunkowych i lekarzy rodzinnych. *J Trans Med.* 2015; 8: 78-79.
2. Windyga J, Chojnowski K, Klukowska A, Łaguna P, Łętowska M, Mital A, Młynarski W, Musiał J, Trelński J, Undas A, Urański T, Windyga J, Podolak-Dawidziak M, Zawilska K: Część I: Wytyczne postępowania w hemofilii A i B niepowikłanej inhibitorem czynnika VIII i IX (wydanie zaktualizowane). *Acta Haematol Pol* 2016; 47: 86-114.
3. Windyga J, Chojnowski K, Klukowska A, Łaguna P, Łętowska M, Mital A, Młynarski W, Musiał J, Trelński J, Undas A, Urański T, Windyga J, Podolak-Dawidziak M, Zawilska K: Część II: Wytyczne postępowania w hemofilii A i B powikłanej inhibitorem czynnika VIII i IX (wydanie zaktualizowane). *Acta Haematol Pol* 2017; 48: 137-159.
4. Windyga J, Chojnowski K, Klukowska A, Łaguna P, Łętowska M, Mital A, Młynarski W, Musiał J, Trelński J, Undas A, Urański T, Zdziarska J, Podolak-Dawidziak M: Emicizumab (Hemlibra®) u chorych na hemofilię A powikłaną inhibitorem czynnika VIII – wytyczne Grupy ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów. *J Transf Med.* 2020; 13: 153-164.
5. Windyga J, Chojnowski K, Klukowska A, Łaguna P, Łętowska M, Mital A, Młynarski W, Musiał J, Trelński J, Undas A, Urański T, Zdziarska J, Podolak-Dawidziak M: Emicizumab (Hemlibra®) u chorych na hemofilię A powikłaną inhibitorem czynnika VIII – wytyczne Grupy ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów. *J Transf Med.* 2020; 13: 153-164.
6. Srivastava A, Santagostino E, Dougall A, Kitchen S, Sutherland M, Pipe SW, Carcao M, Mahlangu J, Ragni MV, Windyga J, Lilinas A, Goddard NJ, Mohan R, Poonnoose PM, Feldman BM, Lewis SZ, van den Berg HJ, Pierce GF on behalf of the WFH Guidelines for the Management of Hemophilia panelists and co-authors: WFH guidelines for the management of hemophilia. 3rd edition. *Haemophilia* 2020; 26 (supl 6): 1-158.



Choroba von Willebranda

7. Zdziarska J, Windyga J, Chojnowski K, Klukowska A, Łaguna P, Łętowska M, Mital A, Młynarski W, Musiał J, Treliński J, Undas A, Urański T, Zdziarska J, Podolak-Dawidziak M: Postępowanie w chorobie von Willebranda. Zalecenia Grupy ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów 2022. J Transf Med. 2022; 15: 100-126.

Rzadkie osoczowe skazy krwotoczne

8. Zawilska K, Chojnowski K, Klukowska A, Łętowska M, Mital A, Musiał J, Podolak-Dawidziak M, Undas A, Windyga J, Zdziarska J: Polskie zalecenia postępowania w rzadkich niedoborach osoczowych czynników krzepnięcia. Hematologia 2011; 2: 303-310 (aktualizacja w 2023 r.).

Wrodzone małopłytkowości

9. Chojnowski K, Klukowska A, Łętowska M, Młynarski W, Mital A, Musiał J, Podolak-Dawidziak M, Treliński J, Undas A, Urański T, Windyga J, Zdziarska J, Zawilska K: Postępowanie we wrodzonych małopłytkowościach. Zalecenia Grupy ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów 2019 J Trans Med. 2020; 13: 16-28.

Nabyta hemofilia

10. Windyga J, Baran B, Odnoczko E, Buczma A, Drews K, Laudański P, Pietrzak B, Sieroszewski P: Wytyczne postępowania w nabytej hemofilii. Ginek Perinat Prakt 2018; 3: 231-244.

Załącznik nr 5

WZÓR ZGŁOSZENIA PACJENTA DO DOSTAW DOMOWYCH

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

Data

.....

Imię (imiona) 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:

.....



Data ważnego zalecenia zgodnie z kartą postępowania w ośrodku leczenia hemofilii

.....
.....

Nadruk, naklejka lub pieczęć lekarza ośrodka leczenia hemofilii.....

Załącznik nr 6

**WNIOSEK O ZAPEWNIENIE OSPRZĘTU DO PODAWANIA CZYNNIKA
KRZEPNIĘCIA PRZEZ PORT W RAMACH „NARODOWEGO PROGRAMU
LECZENIA CHORYCH NA HEMOFILIĘ I POKREWNE SKAZY KRWOTOCZNE
NA LATA 2024-2028”**

Imię (imiona) i nazwisko pacjenta	
Nr PESEL pacjenta	
Typ skazy krwotocznej	
Zgłaszający członek Rady Programu	
Regionalne Centrum Krwiodawstwa i Krwiolecznictwa, do którego należy dostarczać dodatkowo zestaw (nazwa miasta)	
Nazwa produktu leczniczego, do którego należy dostarczać dodatkowo zestaw (nazwa handlowa)	
Częstotliwość iniekcji przez port na tydzień	
Okres podawania leku przez port w miesiącach (maksymalnie 12 miesięcy)	
Dokładna miesięczna liczba elementów osprzętu	

Lp.	Element osprzętu	Ilość na miesiąc
1	igła atraumatyczna typu Hubera	
	<i>Igła o rozmiarze 19G długości 15 mm*</i>	<i>Liczba sztuk</i>
	<i>Igła o rozmiarze 19G długości 20 mm*</i>	<i>Liczba sztuk</i>
	<i>Igła o rozmiarze 19G długości 25 mm*</i>	<i>Liczba sztuk</i>
	<i>Igła o rozmiarze 19G długości 30 mm*</i>	<i>Liczba sztuk</i>
	<i>Igła o rozmiarze 20G długości 15 mm*</i>	<i>Liczba sztuk</i>
	<i>Igła o rozmiarze 20G długości 20 mm*</i>	<i>Liczba sztuk</i>
	<i>Igła o rozmiarze 20G długości 25 mm*</i>	<i>Liczba sztuk</i>
	<i>Igła o rozmiarze 20G długości 30 mm*</i>	<i>Liczba sztuk</i>
	<i>Igła o rozmiarze 22G długości 15 mm*</i>	<i>Liczba sztuk</i>
	<i>Igła o rozmiarze 22G długości 20 mm*</i>	<i>Liczba sztuk</i>
	<i>Igła o rozmiarze 22G długości 25 mm*</i>	<i>Liczba sztuk</i>
<i>Igła o rozmiarze 22G długości 30 mm*</i>	<i>Liczba sztuk</i>	
2	Jalowe rękawiczki rozmiar 6 **	<i>Liczba par</i>
3	Jalowe rękawiczki rozmiar 7 **	<i>Liczba par</i>
4	Jalowe rękawiczki rozmiar 8 **	<i>Liczba par</i>
5	Zestaw jałowych gazików opatrunkowych 5 sztuk 5 cm x 5 cm	<i>Liczba zestawów</i>
6	Zestaw 3 strzykawk + 3 igieł nr 12	<i>Liczba zestawów</i>
7	Opatrunek biookluzyjny do zabezpieczenia portu o wymiarach 5 cm x 7 cm	<i>Liczba sztuk / max 1 sztuka na pojedynczą iniekcję</i>

*Należy wybrać jeden z rodzajów igieł

** Należy wybrać jeden z rozmiarów rękawiczek

Nadruk, naklejka lub pieczęć lekarza ośrodka leczenia hemofilii.....

Data

Załącznik nr 7

**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	Liczba osób			Suma grup	Suma uczestników
Grupa I	30			2	60
Grupa II	30				
Pielęgniarki					
Liczba grup	Liczba osób			Suma grup	Suma uczestników
Grupa I	20			2	40
Grupa II	20				
Fizjoterapeuci					
Liczba grup	Liczba osób			Suma grup	Suma uczestników
Grupa I	20			1	20
Diagności laboratoryjni					

Liczba grup	Liczba osób			Suma grup	Suma uczestników
Grupa I	30			1	30
Ratownicy medyczni i dyspozytorzy medyczni**					
Liczba grup	Liczba osób			Suma grup	Suma uczestników
Grupa I	30			1	30
Liczba organizowanych szkoleń w ciągu roku - 7					
Suma wszystkich uczestników szkolenia – minimum 180 osób w roku					
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) – lata 2024-2028	72 000 zł				
SUMA w roku – lata 2024-2028	112 000 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.

Załącznik nr 8

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.
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 i Dyspozytorzy 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.

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

Załącznik nr 9

ZAMÓWIENIE NA BISPECYFICZNE PRZECIWCIAŁA NAŚLADUJĄCE AKTYWNY CZYNNIK VIII

Imię (imiona) 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 wysokie maksymalne miano brak inhibitora
 (poniżej 5 jednostek Bethesda) (powyżej 5 jednostek Bethesda)

Data oznaczenia inhibitora czynnik - -

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)

Hemofilia A powikłana inhibitorem wskazanie do podania:

próba wywołania immunotolerancji zakończona niepowodzeniem

W przypadku zakreślenia powyższego, data zakończenia

immunotolerancji:.....

wystąpienie przeciwwskazań do immunotolerancji.

W przypadku zakreślenia powyższego, opis przeciwwskazań do immunotolerancji

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

Hemofilia A bez inhibitora wskazanie do podania:

brak dostępu do żył obwodowych i braku możliwości założenia portu naczyniowego

nieprawidłowa farmakokinetyka FVIII

współistnienie chorób uniemożliwiających samodzielne dożylnie podawanie koncentratu czynnika krzepnięcia VIII

Nadruk, naklejka lub pieczęć lekarza ośrodka leczenia hemofilii.....

Załącznik nr 10

PROCEDURA WDRAŻANIA NOWEJ TERAPII DO MODUŁU 5 PROGRAMU

Wdrożenie nowej terapii odbywać się będzie na podstawie zgłoszenia populacji pacjentów do Rady Programu, o którym mowa w rozdziale 3.2.2. Moduł 5 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 zaopiniowaniu wniosku o włączenie populacji do nowej terapii (załącznik nr 12 do Programu) oraz otrzymaniu 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 przewidywanych do leczenia lekami sierocymi, 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 11 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 11

DEKLARACJA O BRAKU LUB UJAWNIENIU KONFLIKTU INTERESÓW

A. Dane osoby składającej deklarację

1. Imię (imiona) i nazwisko osoby składającej deklarację:

.....
...

2. Data i miejsce składania 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 przez 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/żona/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 przez 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/żony/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 12

**WNIOSEK O WŁĄCZENIE POPULACJI PACJENTÓW DO NOWEJ TERAPII
W RAMACH
„NARODOWEGO PROGRAMU LECZENIA CHORYCH NA HEMOFILIĘ I POKREWNE
SKAZY KRWOTOCZNE NA LATA 2024-2028”**

DOTYCZY LEKU (nazwa chemiczna lub nazwa klasy leków):

--

Wnioskodawca:	
Dyrektor lub prezes ośrodka leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych	
Lekarz ośrodka leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych	
Konsultant wojewódzki	
Opis populacji, wobec której wnioskowana jest nowa terapia	
Liczebność populacji w skali kraju z podziałem na dzieci i dorosłych	
Proponowane kryteria kwalifikacji do terapii	
Proponowane kryteria wyłączenia z terapii	
Leki, którymi wnioskowana populacja była leczona dotychczas	
Roczne koszty brutto leków dotychczas stosowanych przez wnioskowaną populację po stronie „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024 - 2028”	
Roczne koszty brutto leków dotychczas stosowanych przez wnioskowaną populację po stronie innych źródeł finansowania niż „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024 - 2028”	
Roczny koszt brutto wnioskowanej terapii	
Dodatkowe uwagi	
Lista załączników do wniosku (sugerowane załączniki: cenniki, oferty z przetargów krajowych i	

<p><i>zagranicznych potwierdzające sposób liczenia kosztów, zanonimizowane wyciągi z baz danych bądź piśmiennictwa potwierdzające liczebność populacji)</i></p>	
---	--

Podpisy wnioskodawców*:

.....

.....

.....

* Wymagane są podpisy lekarza ośrodka leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, dyrektora lub prezesa ośrodka leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych oraz konsultanta wojewódzkiego w dziedzinach hematologii bądź onkologii i hematologii dziecięcej.

Załącznik nr 13

LISTA REALIZATORÓW PROGRAMU W ZAKRESIE INTERWENCJI „POWOŁANIE I FUNKCJONOWANIE OŚRODKÓW LECZENIA HEMOFILII I POKREWNYCH SKAZ KRWOTOCZNYCH 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 Mieleckiego 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 ½ 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. Indiry Gandhi 14 02-776 Warszawa	Tel. (22) 34 96 158; (22) 34 96 481; (22) 349 61 54; (22) 349 61 53
dolnośląskie	Uniwersytecki Szpital Kliniczny im. Jana Mikulicza Radeckiego we Wrocławiu – Klinika Hematologii, Nowotworów Krwi i Transplantacji Szpiku	ul. Borowska 213 50-556 Wrocław Siedziba Kliniki: Wybrzeże Pasteura 4 50-357 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”, określone 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 14

LISTA REALIZATORÓW PROGRAMU W ZAKRESIE INTERWENCJI „POWOŁANIE I FUNKCJONOWANIE OŚRODKÓW LECZENIA HEMOFILII I POKREWNYCH SKAZ KRWOTOCZNYCH 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. Wrzoska 1 60-663 Poznań	Tel. (61) 850 62 79 lub 78, 85 Tel. +48 61 616 25 00
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 17 lub 21, 790 338 596
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.

