

III. CELE PROGRAMU POLITYKI ZDROWOTNEJ I MIERNIKI EFEKTYWNOŚCI JEGO REALIZACJI

1. Cel główny

Celem Programu jest poprawa jakości życia zależnej od zdrowia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne poprzez zapewnienie dostępu do: a) leczenia farmakologicznego wedle najnowocześniejszych standardów oraz b) specjalistycznej kompleksowej opieki lekarskiej w sieci wyspecjalizowanych ośrodków medycznych.

2. Cele szczegółowe:

I. Zapewnienie powszechnej dostępności koncentratów czynników krzepnięcia chorym na hemofilię, hemofilię powikłaną inhibitorem, nabytą hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, w tym:

- a. upowszechnienie stosowania rekombinowanych koncentratów czynników krzepnięcia VIII i IX, nie tylko u nowo narodzonych dzieci (tzw. PUPs - *previously untreated patients*), ale u wszystkich pacjentów z hemofilią A i B nie eksponowanych uprzednio na koncentraty osoczipochodne oraz u chorych z reakcjami uczuleniowymi po koncentraty osoczipochodnych
- b. wprowadzanie koncentratów czynników krzepnięcia o przedłużonym czasie działania
- c. objęcie leczeniem domowym wszystkich chorych na skazy krwotoczne, którzy mają do tego wskazania lekarskie
- d. zapewnienie dostępu do długoterminowej profilaktyki krwawień:
 - kontynuacja pierwotnej profilaktyki krwawień u dzieci chorych na hemofilią A i B włączonych do programu profilaktycznego NFZ „Zapobieganie krwawieniom u dzieci chorych na hemofilię A i B”.
 - upowszechnienie stosowania wtórnej i trzeciorzędowej profilaktyki krwawień w hemofilii A i B, w tym w hemofilii powikłanej inhibitorem, nabytej hemofilii, chorobie von Willebranda oraz rzadziej występujących skaz krwotocznych, zgodnie ze wskazaniami lekarskimi.
- e. zapewnienie dostępu do programu immunotolerancji
 - kontynuacja programu wywołania tolerancji immunologicznej (ITI) wobec czynnika VIII i IX u chorych objętych we wcześniejszych latach oraz objęcie programem ITI

wszystkie noworozpoznane przypadki hemofilii A i B powikłanej inhibitorem czynnika VIII lub IX

f. zapewnienie dostępu do planowych operacji chirurgicznych i operacji chirurgicznych ze wskazań nagłych u pacjentów ze skazami krwotocznymi wymienionymi w Programie

g. zapewnienie dostaw domowych koncentratów czynników krzepnięcia

h. zapewnienie odpowiedniego osprzętu dla pacjentów wymagających centralnego dostępu żylnego.

i. zapewnienie dostępu do innowacyjnych terapii, które będą wprowadzane do leczenia w latach 2019-2023 i zastępowanie nimi koncentratów osoczipochodnych i/lub rekombinowanych czynników krzepnięcia.

II. Powołanie przez MZ Podstawowych (I stopień referencyjności) i Specjalistycznych (II stopień referencyjności) Ośrodków Leczenia Chorych na Hemofilię, zapewniających kompleksową opiekę zdrowotną nad pacjentami ze skazami krwotocznymi wymienionymi w *Programie*, w tym dostęp do badań genetycznych, wykrywania nosicielstwa hemofilii i zorganizowanego poradnictwa genetycznego.

III. Utworzenie elektronicznego systemu (sieci) łączącego *Ośrodki*. Elektroniczny system będzie bazą danych demograficznych i medycznych. Dane zgromadzone w bazie będą służyć stałemu ulepszaniu standardów opieki nad pacjentami ze skazami krwotocznymi.

IV. Powołanie przez MZ Rady Ośrodków. Zadaniem Rady będzie kształtowanie systemu opieki nad chorymi na wrodzone skazy krwotoczne poprzez opiniowanie sposobu realizacji *Programu* oraz planowanie dalszych działań medyczno-organizacyjnych w omawianym zakresie.

V. Optymalizacja postępowania z chorymi na skazy krwotoczne w stanach nagłych dla SOR, ZRM i IP.

3.Mierniki efektywności realizacji programu polityki zdrowotnej odpowiadające celom tego programu

I. Wskaźniki zaopatrzenia w koncentraty czynników krzepnięcia w przeliczeniu na 1 mieszkańca Polski.

- II. Odsetek chorych leczonych koncentratami rekombinowanych czynników krzepnięcia, koncentratami czynników krzepnięcia o przedłużonym czasie działania oraz innymi formami innowacyjnych terapii.
- III. Odsetek pacjentów objętych długoterminową profilaktyką krwawień, okresową profilaktyką krwawień oraz pacjentów leczonych wyłącznie według zasady „na żądanie”.
- IV. Tempo wprowadzania terapii innowacyjnych
- V. Liczba powołanych i włączonych do komputerowej sieci łączącej *Ośrodki* POLChH i SOLChH.
- VI. Dostępność do wiarygodnych danych epidemiologicznych i demograficznych dotyczących chorych na skazy krwotoczne objęte Programem.
- VII. Liczba i przyczyny zgonów chorych objętych *Programem*.