

### **III. CELE PROGRAMU POLITYKI ZDROWOTNEJ I MIERNIKI EFEKTYWNOŚCI JEGO REALIZACJI**

#### **1. Cel główny**

Celem Programu jest:

1. utworzenie sieci wyspecjalizowanych ośrodków medycznych oraz dwóch ośrodków koordynujących, w których chorzy na hemofilię i inne skazy krwotoczne zostaną objęci kompleksową opieką medyczną;
2. zapewnienie chorym na hemofilię i inne wymienione w Programie skazy krwotoczne dostępu do leczenia farmakologicznego wedle najnowocześniejszych standardów.

#### **3. Cele szczegółowe:**

I. Utworzenie Ośrodków Leczenia Chorych na Hemofilię (OLChH) (w każdym województwie po jednym ośrodku dla dzieci i po jednym dla dorosłych) oraz dwóch ośrodków koordynujących (dla dorosłych - Instytut Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie ul. I Gandhi 14 02-775 Warszawa, dla dzieci Samodzielny Publiczny Dziecięcy Szpital Kliniczny w Warszawie ul. Żwirki i Wigury 63A 02-091 Warszawa) 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.

II. 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 osoczopochodne oraz u chorych z reakcjami uczuleniowymi po koncentratach osoczopochodnych
- 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 hemofilię 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.

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 Ośrodków Leczenia Chorych na Hemofilię (OLChH).
- VI. Dostępność do wiarygodnych danych epidemiologicznych i demograficznych dotyczących chorych na skazy krwotoczne objęte Programem.
- VII. Liczba i przyczyny zgonów chorych objętych *Programem*.