

AKCEPTUJĘ

.....
Imię i nazwisko, stanowisko służbowe

.....
data

Minister Zdrowia

PROGRAM POLITYKI ZDROWOTNEJ

Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne

OKRES REALIZACJI

Lata 2019-2023

Podstawa prawna: art. 48 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r. poz. 1938, z późn. zm.)

Warszawa, 2018 r.



Wykaz pojęć i skrótów

NCK	Narodowe Centrum Krwi
RCKiK	Regionalne Centrum Krwiodawstwa i Krwiolecznictwa
SOR	Szpitalny Oddział Ratunkowy
IP	Izba Przyjęć
ZRM	Zespół ratownictwa medycznego
NFZ	Narodowy Fundusz Zdrowia

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

I.1. Opis problemu zdrowotnego

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

Najczęściej odnotowywana w Polsce skaza krwotoczna to hemofilia. Istnieją dwa rodzaje hemofilii: hemofilia A – powodowana niedoborem czynnika krzepnięcia VIII, i hemofilia B, której przyczyną jest niedobór czynnika krzepnięcia IX. Częstość występowania hemofilii w Polsce oceniono na 1 : 12 300 mieszkańców. Obydwa rodzaje hemofilii dziedziczą się jako cechy recesywne, sprzężone z płcią i mają taki sam obraz kliniczny. Ich różnicowanie jest możliwe tylko za pomocą badań laboratoryjnych. Zależnie od stopnia niedoboru czynnika krzepnięcia hemofilia może mieć przebieg ciężki (aktywność czynnika VIII lub IX <1 j.m./dl), umiarkowany ($1 \leq 5$ j.m./dl) lub łagodny ($>5 - <50$ j.m./dl). Pokrewne hemofilii skazy krwotoczne, powodowane wrodzonym niedoborem innych czynników krzepnięcia, dziedziczą się w sposób autosomalny i występują z równą częstością u kobiet i mężczyzn).

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

Tak jak w przypadku innych rzadko występujących chorób, koszty leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych są wysokie. Wytwarzanie koncentratów czynników krzepnięcia, stanowiących podstawę terapii, jest oparte o nowoczesne i zaawansowane technologie, co tłumaczy ich wysoką cenę. Jedynie część grupy

pacjentów z łagodnymi postaciami hemofilii A, choroby von Willebranda lub innych skaz krwotocznych, kwalifikuje się do leczenia desmopresyną.

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

Samoistne krwawienia do stawów są głównym objawem ciężkiej hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych. Bardzo niebezpieczne są samoistne krwawienia do narządów wewnętrznych i jam ciała, np. wylewy krwi śródczaszkowe, krwotoki z przewodu pokarmowego, krwiaki zaotrzewnowe, które stanowią bezpośrednie zagrożenie życia. Równie niebezpieczne i to niezależnie od stopnia ciężkości hemofilii są wylewy krwi w następstwie urazów. Należy podkreślić, że żadna operacja chirurgiczna i zabieg inwazyjny nie mogą być bezpiecznie przeprowadzone u osób z wrodzonymi skazami krwotocznymi bez uzupełnienia (substytucji) niedoborowego czynnika krzepnięcia krwi.

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

Jednym z największych wyzwań w opiece nad omawianą grupą pacjentów jest właściwa organizacja tej opieki. Od dekad wiadomo, że rzadko występujące choroby stanowią problem dla systemów opieki zdrowotnej. Niewielka liczba ekspertów dedykowanych rzadko występującej chorobie (lub grupie chorób, jak to ma miejsce w przypadku skaz krwotocznych) powoduje, że najlepszym rozwiązaniem jest „koncentrowanie wiedzy” w danej dziedzinie w wyspecjalizowanych ośrodkach medycznych. Liczba takich dedykowanych ośrodków w danym kraju powinna odpowiadać skali problemu. W ośrodkach musi być dostępna odpowiednia baza laboratoryjna, gdyż niektóre testy laboratoryjne są ściśle dedykowane rozpoznawaniu i monitorowaniu wyłącznie skaz krwotocznych. Nadto ośrodki te muszą dysponować doświadczoną kadrą lekarsko-pielęgniarską, muszą współpracować ze specjalistami z

innych dziedzin w celu zapewnienia kompleksowej opieki dla chorych na wrodzone i nabyte skazy krwotoczne. Najbardziej wyspecjalizowane ośrodki medyczne powinny ponadto uczestniczyć w naukowych programach badawczych i szkoleniowo-edukacyjnych w celu podnoszenia wiedzy w danej dziedzinie na terenie działania ośrodka i w skali całego kraju. Najlepszy model organizacji opieki nad omawianą grupą chorych, to sieć współpracujących ze sobą wyspecjalizowanych poradni, klinik, oddziałów szpitalnych o profilu hematologii oraz onkologii i hematologii dziecięcej, **z wyodrębnionymi dwoma ośrodkami krajowymi (dla dorosłych oraz pediatrycznym)**. Sieć ta powinna być powiązana systemami elektronicznymi umożliwiającymi zbieranie danych epidemiologicznych i medycznych na temat pacjentów, co z kolei pozwoli lepiej planować dalsze działania leczniczo-organizacyjne na tym polu. **Taki model organizacji leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne sprawdził się w wielu krajach i jest zalecany przez Parlament Europejski**. Trzeba podkreślić, że wyspecjalizowane ośrodki muszą współpracować z lekarzami podstawowej opieki zdrowotnej i innymi podmiotami leczniczymi, gdzie pacjenci z wrodzonymi i nabytymi skazami krwotocznymi wciąż będą trafiać.

W celu zapewnienia koncentratów czynników krzepnięcia, a także opieki tej grupie chorych, w 2001 r. powstał pierwszy w Polsce „Program zaopatrzenia chorych na hemofilię i inne skazy krwotoczne w czynniki krzepnięcia”, finansowany z budżetu ministra właściwego do spraw zdrowia, w którym m.in. przedstawiono propozycję stopniowego wzrostu nakładów na zakup koncentratów czynników krzepnięcia. Kolejne Programy stanowiły kontynuację.

W 2008 r. wdrożono powszechny program profilaktyki krwawień u dzieci w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego pn. „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”, finansowanego przez Narodowy Fundusz Zdrowia (który w 2011 roku stał się programem lekowym). Od 2008 r. koncentraty czynników krzepnięcia w Polsce dostępne są w ramach dwóch programów, jednego finansowanego przez ministra właściwego do spraw zdrowia i drugiego przez NFZ.

W ramach programu ministra właściwego ds. zdrowia pn.: „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018”, wprowadzono powszechną immunotolerancję, wtórną profilaktykę u dorosłych chorych oraz wtórną profilaktykę dla dzieci, które nie mogą korzystać z wyżej wymienionego programu profilaktycznego (np. z uwagi na inhibitor).

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

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

I.2. Dane epidemiologiczne

Wykaz skaz krwotocznych objętych programem:

1. Hemofilia A

2. Hemofilia A powikłana inhibitorem
3. Nabyta hemofilia A
4. Hemofilia B
5. Hemofilia B powikłana inhibitorem
6. Choroba von Willebranda
7. Nabyty zespół von Willebranda
8. Niedobory fibrynogenu
9. Niedobór protrombiny
10. Niedobór czynnika V,
11. Niedobór czynnika VII (hypoprokonwertynemia)
12. Niedobór czynnika X
13. Niedobór czynnika XI
14. Niedobór czynnika XIII
15. Złożony niedobór czynnika V i czynnika VIII
16. Złożony wrodzony niedobór czynnika II, czynnika VII, czynnika IX i czynnika X
17. Obecność inhibitora **fibrynogenu**, czynnika II, VII, X, XI lub XIII (allo- lub autoprzeciwciał)
18. Trombastenia Glanzmanna
19. Zespół Bernarda-Souliera
20. Inne wrodzone trombocytopatie,
21. **Nosicielki hemofilii A i B z graniczną aktywnością czynnika VIII lub IX oraz dodatnim wywiadem krwotocznym,**
22. **Osoby z graniczną aktywnością czynnika von Willebranda oraz dodatnim wywiadem krwotocznym.**

Dane oszacowano w oparciu o spis chorych na skazy krwotoczne prowadzony w Instytucie Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie

Tabela 1. Liczba chorych na hemofilię i chorobę von Willebranda w poszczególnych województwach (stan na 1.09.2017 r.) - **dane do uzupełnienia w marcu 2018**

Województwo	Liczba chorych na	Liczba chorych na	Liczba chorych na chorobę					

	hemofilię A	hemofilię B	von Willebrand a					
Dolnośląskie	137	26	28					
Kujawsko Pomorskie	131	16	103					
Lubelskie	196	24	110					
Lubuskie	39	5	9					
Łódzkie	166	25	102					
Małopolskie	346	44	364					
Mazowieckie	489	85	695					
Opolskie	38	10	9					
Podkarpackie	162	24	57					
Podlaskie	63	12	53					
Pomorskie	127	31	121					
Śląskie	270	49	83					
Świętokrzyskie	79	6	37					
Warmińsko Mazurskie	82	14	32					
Wielkopolskie	132	39	52					
Zachodniopomorskie	77	27	57					
RAZEM	2534 w tym 149 chorych z inhibitor em	437 w tym 4 chorych z inhibitor em	1841					

I.3. Opis obecnego postępowania

Obecne postępowanie determinują:

1. Rekomendacje opracowane przez Grupę do Spraw Hemostazy przy Polskim Towarzystwie Hematologów i Transfuzjologów. Wykaz obowiązujących w Polsce rekomendacji dotyczących leczenia chorych na skazy krwotoczne:
 - a. Windyga J., K. Chojnowski K, Klukowska, Łętowska M, Mital A, Młynarski W, Musiał J, Peregud-Pogorzelski J, Podolak-Dawidziak M, Trelński J, Undas A, Urański T, Zdziarska J, Zawilska K. Część II: Wytyczne postępowania w hemofilii A i B powikłanej inhibitorem czynnika VIII i IX (2 wydanie). Acta Hematol. Pol. 2017; 48(3) 137-159
 - b. Windyga J, Chojnowski K, Klukowska A, Łętowska M, Mital A, Musiał J, Peregud-Pogorzelski J, Podolak-Dawidziak M, Trelński J, Undas A, Urański T, Zdziarska J, Zawilska K. Wytyczne postępowania w hemofilii

A i B niepowikłanej inhibitorem czynnika VIII i IX (wydanie zaktualizowane). Acta Haematol Pol. 2016;47(2): 86-114

- c. Zawilska K, Chojnowski K, Klukowska A, Łętowska M, Mital A, Musiał J, Podolak-Dawidziak M, Undas A, Windyga J, Zdziarska J. w imieniu Grupy Roboczej ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów. Polskie zalecenia postępowania w rzadkich niedoborach osoczowych czynników krzepnięcia. Hematologia, 2(4), 2011, 303-310
- d. Windyga J, Chojnowski K, Klukowska A, Łętowska M, Mital A, Musiał J, Podolak-Dawidziak M, Undas A, Zdziarska J, Zawilska K. Polskie zalecenia postępowania w nabytej hemofilii A w imieniu Grupy Roboczej ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów. Med. Prakt., 2011, 10: 42-51
- e. Zdziarska J, Chojnowski K, Klukowska A, Łętowska M, Mital A, Podolak-Dawidziak M, Windyga J, Zawilska K. Postępowanie w chorobie von Willebranda. Zalecenia Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów 2008. Medycyna Praktyczna, wyd. specj. 12/2008
- f. Chojnowski K, Klukowska A, Łętowska M, Musiał J, Mital A, Podolak-Dawidziak M, Windyga J, Zdziarska J, Zawilska K. Polskie zalecenia postępowania we wrodzonych skazach krwotocznych na tle niedoboru czynników krzepnięcia. Część III: Zasady postępowania we wrodzonych zaburzeniach czynności płytek krwi. Acta Haematologica Polonica 2009, 40(3): 731-763

2. Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, w następstwie której:

- a. realizowany jest niniejszy program,
- b. wydano:
 - 1) rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 22 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego, zawierające warunki leczenia szpitalnego hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych. Warunki te umieszczono w załączniku nr 3, części I poz. 21 lit. A i B oraz poz. 32 lit. A i B,
 - 2) Zarządzenie Prezesa Narodowego Funduszy Zdrowia 73/2017/DSOZ z dnia 22 sierpnia 2017 r. w ramach którego określono grupy Jednorodnych

Grup Pacjentów S11-S16 umożliwiające rozliczenie świadczeń wykonanych zgodnie z wyżej wymienionym rozporządzeniem.

3. Ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, na podstawie której realizowany jest program lekowy „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”
4. Ustawa z dnia 8 września 2006 r. o Państwowym Ratownictwie Medycznym, na podstawie której wydano rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 20 kwietnia 2016 r. w sprawie *medycznych czynności ratunkowych, które mogą być udzielane przez ratownika medycznego*, umożliwiające ratownikom podawanie koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny, z zasobów własnych chorego.
5. Ustawa z dnia 15 lipca 2011 r. o zawodach pielęgniarki i położnej, na podstawie której wydano rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 28 lutego 2017 r. w sprawie *rodzaju i zakresu świadczeń zapobiegawczych, diagnostycznych, leczniczych i rehabilitacyjnych udzielanych przez pielęgniarkę albo położną samodzielnie bez zlecenia lekarskiego*, umożliwiające pielęgniarkom i położnym podawanie produktów krwiopochodnych, rekombinowanych koncentratów czynników krzepnięcia oraz desmopresyny, w stanach nagłego zagrożenia zdrowotnego,
6. Ustawa z dnia 22 sierpnia 1997 r. o *publicznej służbie krwi*, zobowiązująca RCKiK do realizacji zaopatrzenia w produkty krwiopochodne, rekombinowane koncentraty czynników krzepnięcia oraz desmopresynę, na podstawie której wydano rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 17 listopada 2016 r. w sprawie szczegółowego wzoru zamówienia indywidualnego na produkty krwiopochodne, rekombinowane koncentraty czynników krzepnięcia oraz desmopresynę.

Aby zapewnić pacjentom możliwość leczenia w kompleksowych ośrodkach zapewniających nie tylko leczenie szpitalne, ale również z zakresu leczenia ambulatoryjnego, konieczna jest zmiana rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 6 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu ambulatoryjnej opieki specjalistycznej. Zmiana rozporządzenia umożliwi określenie warunków kompleksowej wielospecjalistycznej opieki omawianej grupy chorych, którzy nie wymagają leczenia szpitalnego.

II . Cele programu polityki zdrowotnej i mierniki efektywności jego realizacji

II.1. Cele główne:

1. Utworzenie ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.
2. Zapewnienie produktów leczniczych niezbędnych dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.
3. Zapewnienie odpowiednich warunków dla postępowania z chorymi na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne przez Państwowe Ratownictwo Medyczne.

II.2. Cele szczegółowe

1. Objęcie pacjentów opieką ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych w zakresie nadzoru nad leczeniem w warunkach domowych oraz regularną oceną stanu zdrowia.
2. Zapewnienie leków dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne poprzez:
 - a. dostęp do koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny w RCKiK,
 - b. dostęp do dostaw domowych koncentratów czynników krzepnięcia dla pacjentów pobierających regularne ilości,
 - c. dostęp do nowo rejestrowanych produktów leczniczych **w miarę możliwości finansowych budżetu Programu.**
3. Tworzenie depozytów **koncentratów czynników krzepnięcia** w ośrodkach leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych oraz w podmiotach leczniczych posiadających szpitalne oddziały ratunkowe.
4. Zapewnienie szkoleń personelu medycznego z zakresu leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.

II.3. Mierniki efektywności realizacji programu polityki zdrowotnej

1. Liczba pacjentów objętych opieką ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych:
 - a. Na koniec 2023 liczba pacjentów, którym założono karty postępowania zgodnie z załącznikiem nr 1 do programu powinna wynieść co najmniej 2 500 pacjentów, czyli przybliżona równowartość średniorocznej liczby pacjentów korzystających z „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018”.

2. Średnie roczne zużycie poszczególnych produktów leczniczych na mieszkańca kraju:
 - a. W 2020 roku koncentratu czynnika VIII¹, koncentratu czynnika IX, koncentratu czynnika VIII zawierającego czynnik von Willebranda, koncentratu aktywowanych czynników zespołu protrombiny aPCC, koncentratu czynników zespołu protrombiny (PCC), koncentratu czynnika VII, koncentratu rekombinowanego czynnika VIIa, koncentratu fibrynogenu, koncentratu czynnika XIII, desmopresyny dożyłnej i desmopresyny donosowej.
3. Liczba pacjentów objętych dostawami domowymi **koncentratów czynników krzepnięcia ze środków Programu**:
 - a. Docelowa liczba pacjentów wskazana jest pkt IV.1.2.d programu.
4. Liczba depozytów **koncentratów czynników krzepnięcia ze środków Programu**:
 - a. Odsetek liczby utworzonych depozytów **koncentratów czynników krzepnięcia ze środków Programu** w stosunku do liczby wynikającej z depozytów wskazanych przez Radę Programu.
5. Liczba osób przeszkolonych w ramach programu.
 - a. Docelowa liczba uczestników wskazana jest pkt IV.1.3 programu.

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

III.1. Populacja docelowa

Programem zostaną objęci chorzy z rozpoznaniem wrodzonych lub nabytych skaz krwotocznych wymienionych w poprzedniej części niniejszego Programu. Do Programu zostaną włączeni także pacjenci w trakcie diagnostyki, u których istnieje silne podejrzenie skazy krwotocznej wymienionej w Programie, gdyż w pewnych sytuacjach niezastosowanie natychmiastowego leczenia może doprowadzić do nieodwracalnego uszkodzenia zdrowia lub nawet zgonu pacjenta.

1

Do wyliczenia wartości miernika zużycia koncentratów czynników krzepnięcia VIII i IX na mieszkańca kraju sumowane będą koncentraty osoczo pochodnych i rekombinowanych czynników krzepnięcia VIII i IX z niniejszego programu.

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

Tabela 2

Moduł	Wskazania do stosowania produktów leczniczych	Kryteria kwalifikacji	Kryteria wyłączenia
Moduł 1 Zapewnienie produktów leczniczych dostępnych niezależnie od wieku pacjenta: 1. koncentratu czynnika VIII ² , 2. koncentratu czynnika IX ³ , 3. koncentratu czynnika VIII zawierającego czynnik von Willebranda o proporcji VWF:FVIII co najmniej 1:1, 4. koncentratu aktywowanych czynników zespołu protrombiny aPCC, 5. koncentratu czynników zespołu protrombiny (PCC), 6. koncentratu czynnika VII, 7. koncentratu rekombinowanego czynnika VIIa, 8. koncentratu fibrynogenu, 9. koncentratu czynnika XIII, 10. desmopresyny dożylniej 11. desmopresyny donosowej.	1. Leczenie krwawień w warunkach domowych 2. Wtórna profilaktyka dorosłego chorego z hemofilią A lub B, niepowikłaną inhibitorem, 3. Program immunotolerancji, 4. Wtórna profilaktyka chorego z hemofilią A lub B powikłaną inhibitorem, 5. Wtórna profilaktyka chorego z inną niż hemofilią A lub B skazą krwotoczną, niezależnie od wieku, 6. Leczenie ambulatoryjne 7. Leczenie szpitalne	Stwierdzenie lub podejrzenie następujących skaz krwotocznych: 1. Hemofilia A 2. Hemofilia A powikłana inhibitorem 3. Nabyta hemofilia A 4. Hemofilia B 5. Hemofilia B powikłana inhibitorem 6. Choroba von Willebranda 7. Nabyty zespół von Willebranda 8. Niedobory fibrynogenu 9. Niedobór protrombiny 10. Niedobór czynnika V 11. Niedobór czynnika VII (hypoprokonwertynemia) 12. Niedobór czynnika X 13. Niedobór czynnika XI 14. Niedobór czynnika XIII 15. Złożony niedobór czynnika V i czynnika VIII 16. Złożony wrodzony niedobór czynnika II, czynnika VII, czynnika IX i czynnika X 17. Obecność inhibitora fibrynogenu, czynnika II, VII, X, XI lub XIII (allo- lub autoprzeciwciał) 18. Trombastenia Glanzmanna 19. Zespół Bernarda-Souliera 20. Inne wrodzone trombocytopatie, 21. Nosicielki hemofilii A i B z graniczną aktywnością czynnika VIII lub IX oraz dodatnim wywiadem krwotocznym, 22. Osoby z graniczną aktywnością czynnika von Willebranda oraz dodatnim wywiadem krwotocznym.	1. zgon 2. ustanie skazy krwotocznej (np. po przeszczepie wątroby lub ustanie nabytej hemofilii A)
Moduł 2 Zapewnienie koncentratów rekombinowanych czynników krzepnięcia VIII i IX dla dzieci, które nie otrzymywały wcześniej osoczopochodnych koncentratów czynników krzepnięcia VIII i IX oraz pozostałych pacjentów, u których stwierdzono działania niepożądane po stosowaniu więcej niż	1. Leczenie krwawień w warunkach domowych 2. Program immunotolerancji (o ile niemożliwe jest wykazanie odpowiedzialności podmiotu odpowiedzialnego za wytworzenie inhibitora) 3. Leczenie ambulatoryjne	Dzieci, które nie otrzymywały wcześniej osoczopochodnych koncentratów czynnika VIII i IX w następujących skazach krwotocznych: 1. Hemofilia A, 2. Hemofilia A powikłana inhibitorem, 3. Hemofilia B, 4. Hemofilia B powikłana inhibitorem. W wyjątkowych przypadkach dla dorosłych oraz dzieci u których stwierdzono działania niepożądane po stosowaniu więcej niż jednego osoczopochodnego koncentratu	1. osiągnięcie 18 roku życia (nie dotyczy pacjentów, wobec których stwierdzono działania niepożądane po stosowaniu koncentratów krzepnięcia VIII lub IX), 2. zgon 3. ustanie skazy krwotocznej (np. po przeszczepie wątroby lub ustanie nabytej hemofilii A)

2

przyjmuje się możliwość stosowania zarówno koncentratu czynnika 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.

3

przyjmuje się możliwość stosowania zarówno koncentratu czynnika 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.

jednego osoczopochodnego koncentratu czynnika krzepnięcia VIII lub IX i zostało to udokumentowane	4. Leczenie szpitalne	czynnika krzepnięcia VIII lub IX, a działania niepożądane zostały zgłoszone do Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych.	
Moduł 3 Zapewnienie koncentratu czynnika VIII zawierającego czynnik von Willebranda o proporcji VWF:FVIII co najmniej 2:1	1. Leczenie krwawień w warunkach domowych 2. Wtórna profilaktyka u chorych na chorobę von Willebranda, 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 zawierającego czynnik von Willebranda o proporcji VWF:FVIII co najmniej 1:1	1. ustanie zagrożenia przeładowaniem czynnika VIII, 2. zgon 3. ustanie skazy krwotocznej (<i>np. po przeszczepie wątroby lub ustanie nabytego Zespołu von Willebranda</i>)
Moduł 4 Zapewnienie nowo rejestrowanych produktów leczniczych do leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych dla pacjentów wskazanych przez Radę Programu	Pacjenci zaproponowani przez Radę Programu i wskazanie zaakceptowane przez ministra właściwego do spraw zdrowia	Spełnianie łącznie dwóch kryteriów 1. zakwalifikowanie pacjenta przez Radę Programu, 2. wykazanie efektywności medycznej lub kosztowej, w ramach możliwości budżetu Programu	1. niepotwierdzenie się efektywności medycznej lub kosztowej wobec dotychczas stosowanych produktów leczniczych, 2. zgon 3. ustanie skazy krwotocznej (<i>np. po przeszczepie wątroby lub ustanie nabytego Zespołu von Willebranda</i>)

III.3. Planowane interwencje

W ramach niniejszego programu przewidywane są następujące interwencje:

1. Utworzenie ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.

- a. Ośrodki leczenia hemofilii zostaną wybrane w procedurze konkursowej.
- b. Zadania ośrodka leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych:
 - a) Sprawowanie nadzoru nad leczeniem w warunkach domowych chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.
 - b) Regularna ocena stanu zdrowia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.
 - c) Potwierdzanie wykonywanych zadań poprzez wystawianie każdemu pacjentowi raz na dwa lata kart postępowania zgodnie z załącznikiem nr 1 do programu.
 - d) Prowadzenie depozytu koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny na podstawie umowy zawartej z RCKiK,
 - e) całodobowy dyżur konsultacyjny dla innych podmiotów leczniczych i Państwowego Ratownictwa Medycznego.
 - f) Udział przedstawiciela w Radzie Programu,

2. Utworzenie krajowego ośrodka leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.

- a. Krajowym ośrodkiem leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, zostanie Instytut Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie, jedyny podmiot posiadający doświadczenie zarówno w koordynacji, jak i szkoleniach realizowanych w ramach „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018”.
- b. Zadania krajowego ośrodka leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych:
 - a) Konsultowanie najtrudniejszych przypadków na rzecz ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych,
 - b) Stworzenie i prowadzenie platformy e-learningowej dotyczącej leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych dla lekarzy, pielęgniarek, ratowników medycznych, dyspozytorów medycznych, fizjoterapeutów i diagnostów laboratoryjnych. Z platformy e-learningowej będą mogli korzystać także pracownicy Ministerstwa Zdrowia i Narodowego Centrum Krwi.

3. Utworzenie Rady Programu.

- a. Rada Programu będzie składać się z przedstawicieli ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, stowarzyszeń chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, Ministerstwa Zdrowia oraz Narodowego Centrum Krwi. Rada programu może zaprosić do udziału w posiedzeniach dodatkowe osoby.
- b. Rada programu będzie obradować co najmniej dwa razy w roku.
- c. Zadania Rady Programu:
 - a) Doradzanie i tworzenie rekomendacji dla ministra właściwego do spraw zdrowia w każdym aspekcie związanym z hemofilią i pokrewnymi skazami krwotocznymi, z własnej inicjatywy lub na polecenie ministra.
 - b) Kwalifikowanie pacjentów do dostaw domowych koncentratów czynników krzepnięcia.
 - c) Kwalifikowanie pacjentów do leczenia wybranych terapii, zgodnie z pkt III. 2, moduł 4.

- d) Wskazywanie podmiotów leczniczych, w których powinny być tworzone depozyty koncentratów czynników krzepnięcia oraz wskazywanie ilości leków do umieszczenia w tych depozytach, istotnych z punktu widzenia ratownictwa medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.
- e) Inicjatywa w zakresie 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.

4. Zaopatrzenie w produkty lecznicze do leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych:

- a. Zapewnienie pacjentom produktów leczniczych zgodnie z kryteriami kwalifikacji i wyłączenia w pkt III. 2. Programu.
- b. Podstawowe zasady zakupów produktów leczniczych:
 - a) Zakup będzie dokonywany, przez Narodowe Centrum Krwi, za pośrednictwem Zakładu Zamówień Publicznych przy Ministrze Zdrowia. Koncentraty czynników krzepnięcia VIII i IX będą kupowane bez różnicowania na produkty osoczopochodne i rekombinowane oraz bez preferencji za czas działania, z zastrzeżeniem pkt b)
 - b) 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 Narodowego Centrum Krwi oraz jednostki koordynującej program lekowy „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”. Celem wspólnych przetargów będzie zakup tych samych produktów leczniczych dla dzieci w obydwu programach.
 - c) W postępowaniach o udzielenie zamówienia publicznego, będzie dążyć się do uzyskania zestawów do podawania koncentratów czynników krzepnięcia poprzez port dla dzieci poddanych terapii immunotolerancji oraz dla dzieci z chorobą von Willebranda poddanych wtórnej profilaktyce.

- c. Zakupione koncentraty czynników krzepnięcia i desmopresyna będą przekazywane przez NCK, na podstawie stosownych umów, RCKiK. Zadania RCKiK:
- a) Przyjęcie na stan, przechowywanie i magazynowanie zakupionych koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny, zgodnie z rozdzielnikami dostaw opracowanymi przez NCK.
 - b) wydawanie koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny do leczenia pacjentom i podmiotom leczniczym, na podstawie imiennego zamówienia, zgodnie z rozporządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 17 listopada 2016 r. w sprawie szczegółowego wzoru zamówienia indywidualnego na produkty krwiopochodne, rekombinowane koncentraty czynników krzepnięcia oraz desmopresynę.
 - c) Zapewnienie przesunięć koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny z innych RCKiK, na podstawie dyspozycji NCK.
 - d) Zapewnienie możliwości utworzenia depozytu koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny poprzez zawarcie umów pisemnych z podmiotami leczniczymi regulujących obowiązki stron, w tym między innymi: zasady rotowania koncentratów czynników krzepnięcia w celu uniknięcia ich przeterminowania. Każda umowa o utworzeniu depozytu szpitalnego będzie jawna wobec Ministra Zdrowia i NCK.
 - e) przekazanie 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 przez wojewodę do dysponentów zespołów ratownictwa medycznego, posiadających dyspozytornie medyczne.
- d. Wprowadzenie dostaw domowych koncentratów czynników krzepnięcia:
- a) ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych zgłoszą do Rady Programu pacjentów regularnie pobierających koncentraty czynników krzepnięcia, którzy zgodzą się na dostawy domowe i będą przyjmować kupiony w zamówieniu publicznym

produkt leczniczy. W pierwszej kolejności ośrodki zgłaszać będą pacjentów o ograniczonej sprawności ruchowej.

- b) Rada Programu wskaże listę pacjentów regularnie pobierających dany rodzaj koncentratu czynnika krzepnięcia wraz z łącznym dawkowaniem i danymi teleadresowymi pacjentów zamówienia publicznego na zakup produktu leczniczego wraz z dostawami do domów pacjentów.
- c) Dostawy domowe będą odbywały się na podstawie umowy zawartej pomiędzy NCK a wykonawcą. Wybrany wykonawca będzie dostarczał koncentrat czynnika krzepnięcia do domu pacjenta zgodnie z ~~ustawą z dnia 22 sierpnia 1997 r. o publicznej służbie krwi~~ oraz ustawą z dnia 6 września 2001 r. prawo farmaceutyczne.

e. Wdrażanie nowo rejestrowanych leków w uzasadnionych przypadkach w ramach budżetu Programu.

- a) Z uwagi na spodziewane przez środowisko ekspertów w zakresie leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, rejestracje nowych produktów leczniczych, dopuszcza się modyfikację programu przez ministra właściwego do spraw zdrowia. Rada Programu będzie monitorowała rejestrację nowych terapii i w razie zasadności, proponowała ministrowi właściwemu do spraw zdrowia, modyfikację programu. Modyfikacja programu będzie odbywała się w ramach środków przeznaczonych na program.
- b) Warunkiem modyfikacji programu jest wykazanie efektywności medycznej lub kosztowej w ramach możliwości budżetu Programu, przy stosowaniu nowo zarejestrowanych terapii wobec dotychczas dostępnych w programie koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny.

5. Rozbudowa ewidencji chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.

- a. Ewidencja będzie rozbudowywana w oparciu o internetowy system zleceń na koncentraty czynników krzepnięcia i desmopresynę oraz bazę danych prowadzoną w programie lekowym „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”.

- b. Podczas prac nad rozbudową ewidencji dążyć się będzie do objęcia ewidencją danych pacjentów dotyczących infekcji wirusem HCV, infekcji wirusem HBV, infekcja wirusem HiV, innymi infekcjami przenoszonymi drogą krwi, chorób współistniejących (w tym nowotworowych, układu sercowo-naczyniowego, udarów niedokrwiennych mózgu, migotania przedsionków), przebytych operacji chirurgicznych, dat i przyczyn zgonów.

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

1. Ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych zapewnią wykonanie zadań wymienionych w pkt. II.3.1.a programu.
 - a. Potwierdzeniem objęcia opieką pacjenta przez ośrodek leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych będzie wystawienie karty postępowania zgodnie z załącznikiem nr 1 do programu. Ośrodki leczenia będą wydawać również legitymacje chorego na wrodzoną skazę krwotoczną, zgodnie z załącznikiem nr 2 do programu.
 - b. Pacjent ma obowiązek 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 legitymacji chorego. W sytuacjach niewymagających (według oceny lekarza) osobistej wizyty w ośrodku pacjent może uzyskać poradę lub np. zamówienie na czynnik krzepnięcia / desmopresynę, kontaktując się z lekarzem telefonicznie lub za pomocą innych środków komunikacji. Ma wówczas obowiązek udostępnić lekarzowi wymagane przez niego dokumenty (np. książeczkę leczenia domowego, wyniki badań, karty informacyjne z hospitalizacji).
 - c. Karta będzie wystawiana w trzech egzemplarzach, po jednym dla ośrodka leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, po jednym dla pacjenta, w celu okazania w sytuacji postępowania nagłego (np. przez Państwowe Ratownictwo Medyczne) a trzeci dla lekarza, który zazwyczaj będzie wypisywał pacjentowi zamówienia indywidualne na produkty krwiopochodne, rekombinowane koncentraty czynników krzepnięcia oraz

desmopresynę. Legitymacja chorego będzie wystawiana w jednym egzemplarzu (dla pacjenta).

- d. Z uwagi na wieloaspektowy charakter opieki, jaką ośrodek leczenia chorych na hemofilię będzie zobowiązany, do zapewnienia pacjentom, przyznawane będzie wynagrodzenie ryczałtowe w wysokości 300 zł rocznie na jednego zarejestrowanego w ośrodku pacjenta. **Ryczałt będzie obejmował m. in. druk i wydanie kart postępowania oraz legitymacji chorego na hemofilię. W celu uniknięcia podwójnej zapłaty za pacjenta, ośrodek będzie zobowiązany zgłosić pacjenta objętego opieką do NCK. W przypadku dwukrotnego, w ciągu roku kalendarzowego, przypisania pacjenta do ośrodka, wynagrodzenie otrzyma jedynie ośrodek, który jako pierwszy objął pacjenta opieką.**

2. Produkty lecznicze w ramach niniejszego programu będą wykorzystywane do świadczeń opieki zdrowotnej udzielanych na podstawie ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych zarówno przez ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, jak również przez inne podmioty lecznicze.

3. W przypadku działań z zakresu ratownictwa medycznego przyjmuje się następującą strategię postępowania:

a. Priorytety w strategii postępowania z chorymi na skazy krwotoczne wymienione w programie w stanach nagłych.

a) Stan nagłego zagrożenia zdrowotnego określony w Art. 3. pkt 8 Ustawy o Państwowym Ratownictwie Medycznym w przypadku chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne występuje mimo braku widocznych objawów pogorszenia stanu zdrowia i wymaga natychmiastowego leczenia koncentratami czynników krzepnięcia. Bez tej ratunkowej pomocy medycznej należy przewidywać w krótkim czasie pogorszenia stanu zdrowia, skutkującego poważnym uszkodzeniem funkcji życiowych organizmu lub utraty życia.

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

- c) 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 dożylnie koncentrat deficytowego czynnika krzepnięcia.
- d) Koncentrat odpowiedniego czynnika krzepnięcia musi być podany na miejscu zdarzenia przez personel medyczny z zasobów własnych chorego, a jeżeli chory nie posiada leku, to ZRM powinien niezwłocznie przewieźć pacjenta do SOR/IP, w którym prowadzony jest depozyt szpitalny koncentratów czynników krzepnięcia do którego zawieszony ma być pacjent, w celu zapewnienia podania koncentratu.
- e) Przy braku możliwości pozyskania koncentratu czynnika krzepnięcia ze szpitalnego depozytu, lekarz pełniący dyżur na SOR/IP niezwłocznie po otrzymaniu informacji od ZRM dokonuje zamówienia koncentratu w RCKiK.
- f) Po podaniu koncentratu niedoborowego czynnika, lekarz z ZRM/SOR/IP konsultuje pacjenta z lekarzem z ośrodka leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.
- g) Przeprowadzenie konsultacji z lekarzem z ośrodka leczenia chorych i pokrewnych skaz krwotocznych na hemofilię 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 przeciwpłytkowym, przeciwxrzepliwym, 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 legitymację chorego wydaną przez ośrodek leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych (pole „zalecane leczenie w przypadku krwawień zagrażających

życiu”), pisemne zalecenia ośrodka leczenia i pokrewnych skaz krwotocznych (jeżeli pacjent takie posiada), na podstawie informacji zawartych w książeczce leczenia domowego, wydanej imiennie pacjentowi przez ośrodek leczenia i pokrewnych skaz krwotocznych 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.

III.5. Sposób zakończenia udziału w programie polityki zdrowotnej

Zakończenie udziału w programie możliwe jest w przypadku:

1. Zgonu pacjenta,
2. Wyleczenia lub ustąpienia skazy krwotocznej (np. przeszczep wątroby, ustąpienie nabytej hemofilii A, itp.).

IV . Organizacja programu polityki zdrowotnej

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

Program będzie realizowany w następujących działaniach:

1. Utworzenie ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.
2. Utworzenie krajowego ośrodka leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.
3. Utworzenie Rady Programu.
4. Zaopatrzenie w produkty lecznicze do leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.
5. Rozbudowa ewidencji chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.

W zakresie wyżej wymienionych działań program będzie realizowany w następujących etapach:

1. W zakresie działania „**Ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych**” wyróżnia się następujące etapy:
 - a. Etap pierwszy – po zatwierdzeniu programu do realizacji:

a) W etapie pierwszym zawarcie umów ze wszystkimi realizatorami.

Treść umów, NCK przygotowuje w imieniu Ministra Zdrowia.

b. Etap drugi – do realizacji **od 2019 roku**:

a) Po podpisaniu umów na realizację ww. działania w danym województwie, stopniowe obejmowanie opieką pacjentów.

2. W zakresie działania „**Utworzenie krajowego ośrodka leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych**”:

a. Etap pierwszy – po zatwierdzeniu programu do realizacji

a) Krajowy ośrodek leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych opracuje szczegółowe założenia merytoryczne i techniczne platformy e-learningowej dotyczącej leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych dla lekarzy, pielęgniarek, ratowników medycznych, dyspozytorów medycznych, fizjoterapeutów i diagnostów laboratoryjnych, przy platforma powinna spełniać podstawowe założenia:

- funkcja projektowania i zarządzania kursami przez wykładowcę/trenera,
- posiadanie możliwości zarządzania pomocami naukowymi, tj. tekstami, prezentacjami, plikami pdf, video, zdjęcia, flash,
- dostęp do platformy przez komputer, tablet, smartfon (wykonanie w technologii RWD),
- zgodność z WCAG 2.0 i KRI,
- zgodność ze standardem SCORM obowiązującym w momencie projektowania platform,
- możliwość pobrania certyfikatu/zaświadczenia ze szkolenia z platformy internetowej,
- możliwość jednoczesnego korzystania z platformy przez co najmniej 100 uczestników,
- dostępność do co najmniej 100 filmów na platformie,
- dostępność do co najmniej 20 prezentacji na platformie,
- dostępność do co najmniej 50 quizów na platformie,

b) NCK w imieniu Ministra Zdrowia podpisze umowę na realizację ww. działania z Instytutem Hematologii i Transfuzjologii

w Warszawie, zgodnie z art. 48b ust. 1a pkt 1 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych.

b. Etap drugi – od 2019 roku:

- a) Udostępnienie platformy e-learningowej,
- b) Działania reklamowe i marketingowe celem pozyskania możliwie największej grupy uczestników platformy,
- c) Modernizacja platformy celem dopracowania i zwiększenia atrakcyjności.

3. W zakresie działania **„Utworzenie Rady Programu”**:

a. Etap pierwszy – do realizacji w 2019 roku:

- a) powołanie przez Ministra Zdrowia i zwołanie przez NCK pierwszego posiedzenia Rady Programu, celem ustalenia regulaminu Rady i wyboru jej władz, po wyborze realizatorów zadania „Ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych”, w co najmniej pięciu województwach,
- b) W przypadku wyboru kolejnych realizatorów, kooptacja przedstawicieli kolejnych ośrodków do Rady Programu.

b. Etap drugi – do realizacji od 2019 roku.

- a) Regularne posiedzenia Rady, nie mniej niż dwa razy w ciągu roku.
- b) W razie potrzeby, dodatkowe posiedzenia na polecenie Ministra Zdrowia.

4. W zakresie działania **„Zaopatrzenie w produkty lecznicze do leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych”**:

a. Etap pierwszy – do realizacji w 2019 roku:

- a) zawarcie umów z RCKiK zgodnie z art. 23 ust 3 ustawy z dnia 22 sierpnia 1997 r. *o publicznej służbie krwi*. Umowy w imieniu Ministra Zdrowia zostaną przygotowane przez NCK.

b. Etap drugi – do realizacji od 2019 roku.

- a) tworzenie depozytów koncentratów czynników krzepnięcia w podmiotach leczniczych, w szczególności w nowo powołanych ośrodkach leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych oraz wskazanych przez Radę Programu podmiotach leczniczych

istotnych dla postępowania z chorymi na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne przez Państwowe Ratownictwo Medyczne.

c. Etap trzeci- do realizacji w 2019 roku:

a) informowanie przez RCKiK właściwego wojewody o utworzonym depozycie koncentratów czynników krzepnięcia.

d. Etap czwarty - do realizacji począwszy od 2019 roku:

a) Wprowadzenie dostaw domowych koncentratów czynników krzepnięcia dla co najmniej:

- 50 pacjentów do 2020 roku,
- 100 pacjentów do 2021 roku (w tym pacjenci z poprzedniego roku),
- 150 pacjentów do 2022 roku (w tym pacjenci z poprzednich lat),
- 200 pacjentów do 2023 roku (w tym pacjenci z poprzednich lat).

5. W zakresie działania „**Rozbudowa ewidencji chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne**”:

a. Etap pierwszy - do realizacji w 2019 roku:

a) Udostępnienie przedstawicielom ośrodków dostępu do kont dostępu do wszelkich informacji, dostępnych w internetowym systemie zleceń na koncentraty czynników krzepnięcia i desmopresynę.

b) Zasięgnięcie opinii Rady Programu w zakresie funkcjonalności i informacji, jakie powinny znaleźć się w systemie,

b. Etap drugi - do realizacji od 2019 roku:

a) Ustalenie z NFZ, administratorem systemu, warunków wdrożenia funkcjonalności i informacji, jakie powinny znaleźć się w systemie,

b) Stopniowe wdrażanie funkcjonalności w czasie realizacji programu.

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

1. Realizatorzy w części: *„Ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych”*:
 - a. Wybór ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych będzie odbywał się zgodnie z art. 48b ust. 1 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych.
 - b. Umowy na realizację ww. działania w zakresie leczenia dorosłych zostaną zawarte w trybie pozakonkursowym, zgodnie z art. 48b ust. 1a pkt 1 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z podmiotami leczniczymi spełniającymi wymagania rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 22 listopada 2013 r. w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego, załącznika nr 3, części I poz. 21 lit. A lub B.
W załączniku nr 3 do Programu lista podmiotów leczniczych, z którymi zostaną zawarte umowy w zakresie leczenia dorosłych.
 - c. Umowy na realizację ww. działania w zakresie leczenia dzieci zostaną zawarte w trybie pozakonkursowym, zgodnie z art. 48b ust. 1a pkt 1 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z podmiotami leczniczymi realizującymi program lekowy *„Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”*, z uwagi na bezcelowość kierowania pacjentów do innych podmiotów leczniczych.
W załączniku nr 4 do Programu lista podmiotów leczniczych, z którymi zostaną zawarte umowy w zakresie leczenia dzieci.
2. W części: **„Utworzenie krajowego ośrodka leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych”** realizatorem będzie Instytut Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie, jedyny podmiot posiadający doświadczenie zarówno w koordynacji, jak i szkoleniach realizowanych w ramach *„Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018”*, zgodnie z art. 48b ust. 1a pkt 1 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych.
3. W części: **„Zaopatrzenie w produkty lecznicze do leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych”** działania będą wykonywane przez RCKiK, a

w przypadku dostaw domowych koncentratów czynników krzepnięcia, przez wykonawcę zamówienia publicznego na zakup produktu leczniczego wraz z dostawą domową.

4. W części „**Rozbudowa ewidencji chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne**” działania będą realizowane przez NFZ, który udostępni internetowy system zleceń na koncentraty czynników krzepnięcia i desmopresynę.

V. Sposób monitorowania i ewaluacji programu polityki zdrowotnej

Monitorowanie i ewaluacja będzie prowadzona przez NCK.

V.1. Monitorowanie:

1. Półroczne monitorowanie liczby pacjentów, objętych opieką ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, którym założono karty postępowania zgodnie z załącznikiem nr 1.
2. Coroczne monitorowanie wskaźników zużycia poszczególnych rodzajów koncentratów czynników krzepnięcia na mieszkańca kraju (*wskaźniki zużycia będą wyliczane na podstawie zużycia w ramach niniejszego Programu oraz programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”; w przypadku czynników VIII i IX, sumowane będzie zużycie czynników osoczopochodnych i rekombinowanych*).
3. Coroczne monitorowanie liczby pacjentów, u których faktycznie wykonywano dostawy domowe koncentratów czynników krzepnięcia.
4. Bieżące monitorowanie liczby utworzonych depozytów koncentratów czynników krzepnięcia w stosunku do liczby depozytów wskazanych przez Radę Programu.
5. Bieżące monitorowanie liczby uczestników szkoleń metodą e-learningu.

V.2. Ewaluacja:

1. liczba pacjentów, objętych opieką ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych na koniec programu polityki zdrowotnej,
2. wskaźniki zużycia poszczególnych rodzajów koncentratów czynników krzepnięcia na mieszkańca kraju,

- liczba pacjentów objętych dostawami domowymi koncentratów czynników krzepnięcia.

VI . Budżet programu polityki zdrowotnej

VI.1. Koszty jednostkowe

VI.2. Koszty całkowite

W ramach programu finansowane będą nw. interwencje:

- opieka nad pacjentami przez ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych,
- szkolenia metodą e-learningu przez krajowy ośrodek leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych,
- funkcjonowanie Rady Programu
- zaopatrzenie w produkty lecznicze do leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.

W tabeli 3 przedstawiono koszty ww. interwencji na poszczególne lata, natomiast w tabeli 4 przedstawiono ilości koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny przewidywanych do zakupu w kolejnych latach realizacji Programu.

Tabela 3

INTERWENCJA	FINANSOWANE DZIAŁANIE	2019	2020	2021	2022	2023
Utworzenie ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.	Opieka, wystawianie kart postępowania oraz legitymacji chorego na hemofilię do 6000 pacjentów rocznie	1 800 000 zł (6000 pacjentów x 300 zł)	1 800 000 zł (6000 pacjentów x 300 zł)	1 800 000 zł (6000 pacjentów x 300 zł)	1 800 000 zł (6000 pacjentów x 300 zł)	1 800 000 zł (6000 pacjentów x 300 zł)
Utworzenie krajowego ośrodka leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych	Działania zgodnie z pkt IV 2	400 000 zł	100 000 zł	100 000 zł	100 000 zł	100 000 zł
Utworzenie Rady Programu	Finansowanie kosztów dojazdu na posiedzenia oraz wynajmu sali	30 000 zł	30 000 zł	30 000 zł	30 000 zł	30 000 zł
Zaopatrzenie w produkty lecznicze do leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych	Finansowanie produktów leczniczych zgodnie z tabelą 4	282 700 000 zł	314 000 000 zł	351 700 000 zł	369 600 000 zł	381 900 000 zł
łącznie		284 930 000 zł	315 930 000 zł	353 630 000 zł	371 530 000 zł	383 830 000 zł

Tabela 4

Nazwa produktu leczniczego	2019	2020	2021	2022	2023
Koncentrat czynnika VIII (j.m.)	200 000 000	225 000 000	250 000 000	280 000 000	290 000 000
Koncentrat rekombinowanego czynnika VIII (j.m.)	1 500 000	2 500 000	4 000 000	8 000 000	14 000 000
Koncentrat czynnika IX (j.m.)	28 000 000	32 000 000	36 000 000	38 000 000	40 000 000
Koncentrat rekombinowanego czynnika IX (j.m.)	450 000	700 000	1 000 000	1 500 000	2 000 000
koncentrat czynnika VIII zawierającego czynnik von Willebranda o proporcji VWF:FVIII co najmniej 1:1	10 000 000	12 000 000	12 500 000	13 500 000	15 000 000
koncentrat czynnika VIII zawierającego czynnik von Willebranda o proporcji VWF:FVIII co najmniej 2:1	10 000 000	11 000 000	12 000 000	13 000 000	14 000 000
koncentrat czynników zespołu protrombiny (PCC) (j.m.)	1 000 000	1 100 000	1 200 000	1 350 000	1 500 000
Koncentrat aktywowanych czynników zespołu protrombiny (aPCC) (j.m.)*	22 500 000	25 000 000	30 000 000	30 000 000	30 000 000

Koncentrat czynnika VII (j.m.)	650 000	650 000	700 000	700 000	750 000
Koncentrat rekombinowanego czynnika VIIa (mg)	31 000	33 500	35 000	35 000	35 000
Koncentrat fibrynogenu (g)	250	275	300	330	350
Koncentrat czynnika XIII (j.m.)	180 000	200 000.	225 000.	250 000.	275 000.
Desmopresyna dożylna po 4 µg (amp.)	2 250	2 500	2 750	3 000	3 250
Desmopresyna donosowa (opak.)	550	600	650	700	750
Razem (PLN)	282 700 000 zł	314000 000 zł	351700 000 zł	369600000 zł	381900 000 zł

VI.3. Źródła finansowania

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

VII. Bibliografia

1. Windyga J., K. Chojnowski K, Klukowska, Łętowska M, Mital A, Młynarski W, Musiał J, Peregud-Pogorzelski J, Podolak-Dawidziak M, Trelński J, Undas A, Urański T, Zdziarska J, Zawilska K. Część II: Wytyczne postępowania w hemofilii A i B powikłanej inhibitorem czynnika VIII i IX (2 wydanie). Acta Hematol. Pol. 2017; 48(3) 137-159
2. Windyga J, Chojnowski K, Klukowska A, Łętowska M, Mital A, Musiał J, Peregud-Pogorzelski J, Podolak-Dawidziak M, Trelński J, Undas A, Urański T, Zdziarska J, Zawilska K. Wytyczne postępowania w hemofilii A i B niepowikłanej inhibitorem

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

Załącznik nr 1

KARTA POSTĘPOWANIA

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

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

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

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

Inne choroby, stosowane leki:

Aktualna masa ciała:

Objawy / dolegliwości pacjenta:

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

Pozostałe zalecenia:

Inne informacje:

Lekarz prowadzący w ośrodku leczenia hemofilii:

Daty aktualizacji karty:

Informacje ogólne:

Niniejsza karta jest jednocześnie zleceniem dożylnego podania koncentratu czynnika krzepnięcia / desmopresyny. Koncentrat czynnika krzepnięcia / desmopresynę można podawać w każdej placówce służby zdrowia, w tym w POZ oraz SOR, 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 rozpierania stawu) lub urazów niosących duże ryzyko krwawienia (urazy głowy, brzucha) należy jak najszybciej podać koncentrat czynnika krzepnięcia / desmopresynę w odpowiedniej dawce, a dopiero potem rozpocząć niezbędne badania diagnostyczne.

Pacjent objęty leczeniem domowym posiada przy sobie lub w domu odpowiedni preparat. Należy go użyć w sytuacji krwawienia lub konieczności podania dawki profilaktycznej. Jeżeli pacjent nie posiada preparatu, należy pilnie zamówić go w Regionalnym Centrum Krwiodawstwa i 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, jest ona dokumentem dodatkowym/pomocniczym w kontaktach pacjenta ze służą zdrowia.*
- *Karta powinna być aktualizowana przez ośrodek co najmniej raz na dwa lata oraz zawsze, gdy ulegają zmianie informacje w niej zawarte.*