

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
OLH	Ośrodek leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych
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-≤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. 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. 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.

Konieczność wyspecjalizowania ośrodków zapewniających optymalną opiekę dla pacjentów ze skazami krwotocznymi w Polsce jest postulowana od lat w kolejnych edycjach programu. Obecnie leczeniem tej grupy pacjentów zajmują się lekarze pracujący w różnych podmiotach leczniczych. Większość tych podmiotów zaspokaja jedynie podstawowe potrzeby pacjentów ze skazami krwotocznymi (dostęp do podstawowych testów laboratoryjnych, wstrzyknięcie koncentratu lub wydanie zamówienia na odbiór koncentratu do leczenia domowego), a w przypadku wystąpienia poważniejszych problemów zdrowotnych, jak np. konieczność przeprowadzenia operacji chirurgicznej, hospitalizacji z powodu ciężkiego krwawienia, poprowadzenia programu wywołania tolerancji immunologicznej lub koordynacji leczenia różnych chorób współistniejących, pacjenci są kierowani do zaledwie kilku 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. 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, niedobór czynnika V powikłany inhibitorem (alloprzeciwciała) wobec czynnika V oraz nabyty inhibitor (autoprzeciwciała) 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 czynnika II, VII, X, XI lub XIII (allo- lub autoprzeciwciał)
18. Trombastenia Glanzmanna
19. Zespół Bernarda-Souliera
20. Inne łagodne wrodzone trombocytopatie

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 hemofilię A	Liczba chorych na hemofilię B	Liczba chorych na chorobę von Willebranda					
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	82	14	32					

Mazurskie								
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, Urasiński 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, Urasiński 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 celu optymalizacji kosztów podawanych leków.
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 VIII<sup>1</sup>, 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

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 oraz programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”.

fibrynogenu, koncentratu czynnika XIII, desmopresyny dożyłnej i desmopresyny donosowej.

3. Liczba pacjentów objętych dostawami domowymi koncentratów czynników krzepnięcia:
  - a. Docelowa liczba pacjentów wskazana jest pkt IV.1.2.d programu.
4. Liczba depozytów koncentratów czynników krzepnięcia:
  - a. Odsetek liczby utworzonych depozytów koncentratów czynników krzepnięcia stosunku do liczby wynikającej z depozytów wskazanych przez Radę Programu.
5. Liczba osób przeszkolonych w ramach programu.
  - a. Docelowa liczba pacjentów 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 dalszej 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.

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

Moduł	Wskazania do stosowania produktów leczniczych	Kryteria kwalifikacji	Kryteria wyłączenia
Zapewnienie produktów leczniczych dostępnych niezależnie od wieku pacjenta: 1. koncentratu czynnika VIII <sup>2</sup> , 2. koncentratu czynnika IX <sup>3</sup> , 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 dożyłnej 11. desmopresyny donosowej.	1. Leczenie krwawień w warunkach domowych 2. Wtórna profilaktyka dorosłego chorego ze skazą krwotoczną niepowikłaną inhibitorem 3. Program immunotolerancji 4. Wtórna profilaktyka chorego ze skazą krwotoczną powikłaną inhibitorem, niezależnie od wieku, 5. Leczenie ambulatoryjne 6. 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 V powikłany inhibitorem (alloprzeciwciała) wobec czynnika V oraz nabyty inhibitor (autoprzeciwciała) czynnika V, 12. Niedobór czynnika VII (hypoprokonwertynemia), 13. Niedobór czynnika X, 14. Niedobór czynnika XI, 15. Niedobór czynnika XIII, 16. Złożony niedobór czynnika V i czynnika VIII, 17. Złożony wrodzony niedobór czynnika II, czynnika VII, czynnika IX i czynnika X, 18. Obecność inhibitora czynnika II, VII, X, XI lub XIII (allo- lub autoprzeciwciała), 19. Trombastenia Glanzmanna, 20. Zespół Bernarda-Souliera, 21. Inne łagodne wrodzone trombocytopatie.	1. zgon 2. ustanie skazy krwotocznej (np. po przeszczepie wątroby lub ustanie nabytej hemofilii A)
Zapewnienie koncentratów rekombinowanych czynników krzepnięcia VIII i IX dla dzieci, które nie otrzymywały wcześniej osoczo pochodnych koncentratów czynników krzepnięcia VIII i IX oraz pozostałych pacjentów, u których stwierdzono działania niepożądane po stosowaniu więcej niż jednego osoczo pochodnego koncentratu czynnika krzepnięcia VIII lub IX i zostało to udokumentowane	1. Leczenie krwawień w warunkach domowych 2. Program immunotolerancji (o ile niemożliwe jest wykazanie odpowiedzialności podmiotu odpowiedzialnego za wytworzenie inhibitora) 3. Leczenie ambulatoryjne 4. Leczenie szpitalne	Dzieci, które nie otrzymywały wcześniej osoczo pochodnych 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 osoczo pochodnego koncentratu czynnika krzepnięcia VIII lub IX, a działania niepożądane zostały zgłoszone do Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych.	1. osiągnięcie 18 roku życia (nie dotyczy pacjentów, wobec których stwierdzono działania niepożądane po stosowaniu koncentratów osoczo pochodnych czynników krzepnięcia VIII lub IX), 2. zgon 3. ustanie skazy krwotocznej (np. po przeszczepie wątroby lub ustanie nabytej hemofilii A)
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 dorosłego chorego ze skazą	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	1. ustanie zagrożenia przeładowaniem czynnika VIII, 2. zgon 3. ustanie skazy krwotocznej (np. po przeszczepie wątroby lub

2

przyjmuje się możliwość stosowania zarówno koncentratu czynnika krzepnięcia VIII osoczo pochodnych 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 osoczo pochodnych 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.

	krwotoczną niepowikłaną inhibitorem 3. Program immunotolerancji 4. Wtórna profilaktyka chorego ze skazą krwotoczną powikłaną inhibitorem, niezależnie od wieku, 5. Leczenie ambulatoryjne 6. Leczenie szpitalne	von Willebranda o proporcji VWF:FVIII co najmniej 1:1	<i>ustanie nabytego Zespołu von Willebranda)</i>
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. wykazanie oszczędności wobec dotychczas stosowanych produktów leczniczych 2. zakwalifikowanie pacjenta przez Radę Programu	1. niepotwierdzenie się oszczędności wobec dotychczas stosowanych produktów leczniczych, 2. zgon 3. ustanie skazy krwotocznej (np. po przeszczepie wątroby lub ustanie nabytego Zespołu von Willebranda)

### III.3. Planowane interwencje

W ramach niniejszego programu przewidywane są następujące interwencje:

#### 1. Utworzenie ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, a następnie Rady Programu.

- a. 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) konsultacja postępowania z innymi podmiotami leczniczymi i Państwowym Ratownictwem Medycznym.
  - e) Udział przedstawiciela w Radzie Programu,
- b. Rada Programu będzie składać się z przedstawicieli ośrodków, stowarzyszeń chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, Ministerstwa Zdrowia oraz Narodowego Centrum Krwi
- c. Rada programu będzie obradować co najmniej dwa razy w roku.
- d. Zadania Rady Programu:

- a) Doradzanie i tworzenie rekomendacji dla ministra właściwego do spraw zdrowia w każdym aspekcie związanym z hemofilią, 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.

## **2. 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 zastrzeżeń pkt ii.
  - 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.
- 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.
- 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.
  - 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) 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.

### **3. Optymalizacja kosztów podawanych produktów leczniczych poprzez wdrażanie noworejestrowanych leków.**

- 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 oszczędności przy stosowaniu nowo zarejestrowanych terapii wobec dotychczas dostępnych w programie koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny.

### **4. Szkolenia.**

- a. Za organizację, rekrutację i prowadzenie szkoleń odpowiedzialny będzie Realizator.
- b. Zasady szkoleń:
  - a) uczestnik szkolenia musi być zapoznany z zasadą „najpierw czynnik” i że koncentraty czynników krzepnięcia i desmopresyny są

wydawane całodobowo w RCKiK. Uczestnik szkolenia powinien być zapoznany z danymi teleadresowymi ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych oraz RCKiK.

b) Jedna osoba może być szkolona tylko raz w trakcie programu. Ma to na celu przeszkolenie jak największej liczby osób.

c) Szkolenia będą jednodniowe i organizowane corocznie w innym województwie.

d) Uczestnikami szkoleń będą:

- lekarze,
- pielęgniarki,
- ratownicy medyczni,
- dyspozytorzy medyczni,
- fizjoterapeuci,
- diagności laboratoryjni.

5. Rozbudowa ewidencji chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne w oparciu 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”

6. Centralny system.

#### 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.

b. Pacjent ma obowiązek raz na rok poddać się ocenie jego stanu zdrowia w ośrodku leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, a także celem weryfikacji karty postępowania.

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.

2. Z uwagi na wieloaspektowy charakter opieki, jaką ośrodek leczenia chorych na hemofilię będzie zobowiązany, do zapewnienia pacjentom, przyznawane będzie roczne wynagrodzenie ryczałtowe w równowartości połowy etatu lekarza zgodnie z ustawą z dnia 8 czerwca 2017 r. o sposobie ustalania najniższego wynagrodzenia zasadniczego pracowników wykonujących zawody medyczne zatrudnionych w podmiotach leczniczych.

3. 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.

4. 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 zespół ratownictwa medycznego 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 pacjentowi niezwłocznie po przewiezieniu go do SOR/IP.
- 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 inne wrodzone skazy krwotoczne.
- 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 leczenie 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. Dystrybucja i magazynowanie produktów leczniczych finansowanych ze środków programu.
3. Szkolenia.

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 dokonany zostanie wybór realizatorów ww. działania zgodnie z art. 48b ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, a następnie podpisane umowy na realizację zadania.

b) Po dokonaniu wyboru realizatorów **z co najmniej pięciu województw** i podpisaniu z nimi umów, w 2019 roku NCK zwoła pierwsze posiedzenie Rady Programu złożonej z przedstawicieli wybranych już ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych i stowarzyszeń chorych na hemofilię i pokrewne

skazy krwotoczne w celu wyboru Przewodniczącego oraz Zastępcy Przewodniczącego Rady Programu. Kolejne posiedzenia zwoływać będzie Przewodniczący Rady Programu lub jego Zastępca.

c) W przypadku nie dokonania wyboru realizatora w którymś województwie, powtarzane i weryfikowane będą procedury wyboru.

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

- a) Po dokonaniu wyboru realizatora ww. działania w danym województwie, stopniowe obejmowanie opieką pacjentów i zakładanie kart postępowania zgodnie z załącznikiem nr 1.
- b) Pacjent, objęty opieką ośrodka leczenia hemofilii, nie później niż po upływie roku, powinien udać się do ośrodka, celem wykonania badań diagnostycznych i oceny stanu zdrowia pacjenta, a także mieć ponownie wydaną kartę postępowania.

2. W zakresie działania „**Dystrybucja i magazynowanie produktów leczniczych finansowanych ze środków programu**”:

a. Etap pierwszy – do realizacji w 2019 roku:

- i. zawarcie umów z RCKiK zgodnie z art. 23 ust 3 ustawy z dnia 22 sierpnia 1997 r. *o publicznej służbie krwi*,

b. Etap drugi – do realizacji od 2019 roku.

- i. 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:

- i. Informowanie przez RCKiK właściwego wojewody o utworzonym depozycie koncentratów czynników krzepnięcia.

d. Etap czwarty – do realizacji począwszy od 2020 roku:

- i. Wprowadzenie dostaw domowych koncentratów czynników krzepnięcia dla co najmniej:

1. 50 pacjentów w roku 2020,

2. 100 pacjentów w roku 2021 (w tym pacjenci z poprzedniego roku),

3. 150 pacjentów w roku 2022 (w tym pacjenci z poprzednich lat),

4. 200 pacjentów w roku 2023 (w tym pacjenci z poprzednich lat).

3. W zakresie działania „Szkolenia”:

a. Etap pierwszy – do realizacji w 2019 roku:

i. W etapie pierwszym wybór realizatorów przewidzianym w 2019 roku dokonany zostanie wybór realizatorów zgodnie z art. 48b ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych:

b. Etap drugi – do realizacji od 2020 roku.

i. coroczne szkolenie po 200 osób (łącznie 800 osób we wszystkich latach), co roku w innym województwie (zgodnie z kalkulacją w załączniku nr 2 do 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. Warunki udziału w konkursie ofert:

a) Posiadanie w strukturze oddziału hematologii lub onkologii i hematologii dziecięcej,

b) Umiejscowienie w mieście będącym siedzibą wojewody lub sejmiku wojewódzkiego,

c) Wykazanie kopii umowy z RCKiK na depozyt koncentratów czynników krzepnięcia lub oświadczenie o gotowości do zawarcia takiej umowy,

2. Umowa z RCKiK na depozyt koncentratów czynników krzepnięcia lub oświadczenie o gotowości do zawarcia takiej umowy

3. Część: „Dystrybucja i magazynowanie produktów leczniczych finansowanych ze środków programu” będzie realizowana przez RCKiK.
4. Realizator w części „Szkolenia”:
  - a. Wybór realizatora będzie odbywał się zgodnie z art. 48b. ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. *o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych*.
  - b. Warunki udziału w konkursie ofert:
    - a) Posiadanie w strukturze oddziału hematologii lub udział w realizacji programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”.
    - b) Wykazanie doświadczenia w przeprowadzaniu zabiegów u chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.

## **V. Sposób monitorowania i ewaluacji programu polityki zdrowotnej**

### **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,
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 w ramach programu, którzy uzyskali certyfikat ukończenia szkolenia.

### **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,
3. liczba pacjentów objętych dostawami domowymi koncentratów czynników krzepnięcia.



## **VI . Budżet programu polityki zdrowotnej**

VI.1. Koszty jednostkowe

VI.2. Koszty całkowite

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**

## 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 służką zdrowia.
- Karta powinna być aktualizowana przez ośrodek co najmniej raz na dwa lata oraz zawsze, gdy ulegają zmianie informacje w niej zawarte.