AKCEPTUJĘ
Z upoważnienia
MINISTRA ZDROWIA
PODSEKRETARZ STANU
.....
(Minister Zdrowia)
2013 -05- 29

Minister Zdrowia

Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018

Podstawa prawna: art. 48 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz. 1027, z późn. zm.).

Warszawa, 2013 r.

I. Streszczenie

1) Skrótowy opis celów i podstawowych elementów Programu

Chorzy na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne stanowią małą liczbowo grupę (~5000 osób – dorosłych i dzieci, oprócz tego znaczny odsetek osób ze skazami krwotocznymi dotąd niezdiagnozowanymi). Ze względu na dużą częstość krwawień ta grupa chorych cechuje się koniecznością częstych porad lekarskich i hospitalizacji, wysokimi kosztami leczenia i rehabilitacji. Dlatego też opieka nad tą stosunkowo niewielką częścią populacji urasta do problemu społecznego. Właściwe leczenie (przetaczanie odpowiedniego koncentratu czynnika krzepnięcia) znacznie zmniejsza odsetek pacjentów, którzy z powodu inwalidztwa narządu ruchu nie mogą pracować i bardzo wcześnie przechodzą na rentę. Zmniejsza się także liczba hospitalizacji oraz kosztownych w tej grupie chorych zabiegów operacyjnych i fizjoterapii. Zmniejsza się również odsetek zgonów wywołanych ciężkimi, samoistnymi i pourazowymi wylewami krwi, np. krwawieniami śródczaszkowymi. Poprawia się zależna od zdrowia jakość życia.

„Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018", zwany dalej Programem, jest kontynuacją *„Narodowego Programu Leczenia Hemofilii na lata 2005 -2011".* Celem Programu jest podniesienie standardów leczenia tej grupy chorych poprzez usprawnienie kompleksowej, wielospecjalistycznej opieki nad nimi oraz optymalizację ich leczenia. Nowy system organizacyjny przewiduje funkcjonowanie ośrodków kompleksowej opieki nad tą grupą pacjentów na dwóch poziomach: referencyjnym oraz wojewódzkim. Wymagania dla ośrodków określone zostały w dalszej części Programu (pkt VII). Wyspecjalizowanie ośrodków referencyjnych oraz wojewódzkich leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych na bazie istniejących ośrodków hematologicznych poprawi możliwości diagnostyki i leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, a w szczególności zapewni bardziej racjonalne stosowanie koncentratów czynników krzepnięcia. Wykaz wojewódzkich koordynatorów ds. leczenia hemofilii (osobno dla dzieci i dorosłych) oraz wojewódzkich koordynatorów ds. dystrybucji koncentratów czynników krzepnięcia oraz desmopresyny (z regionalnych centrów

krwiodawstwa i krwiolecznictwa) stanową odpowiednio Załącznik nr 1, Załącznik nr 2 oraz Załącznik nr 3 do Programu.

Życie i zdrowie chorych na hemofilię zależy w głównej mierze od dostępu do koncentratów czynników krzepnięcia. Miernikiem zabezpieczenia chorych na hemofilię jest wskaźnik zużycia koncentratu czynnika VIII w przeliczeniu na 1 mieszkańca rocznie. Zgodnie z zaleceniami WHO minimum niezbędne dla ratowania życia to 2 j.m./mieszkańca/rok (źródło danych Word Federation of Hemophilia). W Polsce wskaźnik ten wyniósł w 2010 roku 4,7 j.m. przy zaopatrzeniu pacjentów w koncentraty czynników krzepnięcia w ramach dwóch programów, tj. *„Narodowego Programu Leczenia Hemofilii na lata 2005-2011"* finansowanego z budżetu ministra właściwego do spraw zdrowia oraz o terapeutycznego programu zdrowotnego *„Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B"* finansowanego z budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia, zwanego dalej NFZ. Program przewiduje stopniowe zwiększanie ilości koncentratów czynników krzepnięcia, co obrazuje Tabela 1. Docelowa wartość wskaźnika zużycia koncentratu czynnika krzepnięcia VIII w przeliczeniu na 1 mieszkańca Polski to około 6,0 j.m. planowana do osiągnięcia w roku 2018 w ramach realizacji ww. dwóch programów. Ponadto Program odnosi się do treści § 1 pkt 11 rozporządzenia Ministra Zdrowia z dnia 21 stycznia 2009 **r.** *w sprawie priorytetów zdrowotnych* (Dz. U. Nr 137, poz. 1126), tj. rozwoju opieki długoterminowej, ze szczególnym uwzględnieniem kompensowania utraconej sprawności.

2) Określenie wysokości środków niezbędnych na realizację Programu, w tym środków z budżetu ministra właściwego do spraw zdrowia, w kolejnych latach jego realizacji

Środki niezbędne na realizację Programu w latach 2012-2018 określono na łączną kwotę **1 975 700 495 PLN**

Plan finansowy na rok	Kwota w pln	
	Wydatki bieżące (PLN)	Wydatki majątkowe (PLN)
2012	**288 623 495**	0

2013	210 556 000	0
2014	247 474 000	0
2015	271 489 000	0
2016	295 506 000	0
2017	318 516 000	0
2018	343 536 000	0

Wysokość środków niezbędnych do realizacji celów Programu została oszacowana na podstawie projektowanej do zakupu ilości koncentratów poszczególnych czynników krzepnięcia na kolejne lata, w oparciu o ceny jednostkowe uzyskane w postępowaniach o udzielenie zamówienia publicznego w roku 2011, oraz kosztów pozostałych zadań.

Zakres zadań oraz wysokość ich finansowania w kolejnych latach realizacji Programu może ulec zmianie, gdyż budżet na programy zdrowotne finansowane z rozdziału 85149 - Programy Polityki Zdrowotnej planowany jest na okres jednego roku. Wobec powyższego zakres zadań i wysokość środków finansowych przewidzianych do wydatkowania w ramach Programu uzależniona jest od decyzji corocznej **Ministra Zdrowia.**

Tab. 1. *Ilości koncentratów czynników krzepnięcia oraz desmopresyny w kolejnych latach trwania programu oraz środki niezbędne na ich sfinansowanie. Kalkulacja kosztów opracowana została na podstawie średnich cen zakupu koncentratów czynników krzepnięcia osiągniętych w postępowaniach przetargowych w 2011 r.* [1]

Rodzaj produktu leczniczego	ilość produktów leczniczych						
	Rok 2012[2]	Rok 2013	Rok 2014	Rok 2015	Rok 2016	Rok 2017	Rok 2018
koncentrat czynnika VIII (j.m.)*	164 500 000	128 000 000	140 000 000	150 000 000	160 000 000	170 000 000	180 000 000
koncentrat rekombinowanego czynnika VIII (j.m.)** minimum II generacji	1 000 000	400 000	450 000	450 000	500 000	600 000	700 000
koncentrat czynnika IX (j.m.)*	16 898 000	15 000 000	16 000 000	17 000 000	18 000 000	19 000 000	20 000 000
koncentrat rekombinowanego czynnika IX minimum II generacji (j.m.)**	200 000	200 000	250 000	250 000	300 000	350 000	400 000
koncentrat czynnika VIII zawierający czynnik von Willebranda (j.m.)	7 500 300	7 500 0000	8 000 000	10 000 000	12 000 000	13 000 000	15 000 000
koncentrat aktywowanych czynników zespołu protrombiny (aPCC) (j.m.)	13 000 000	10 000 000	12 000 000	14 000 000	16 000 000	18 000 000	20 000 000
koncentrat czynników zespołu protrombiny (PCC) (j.)	474 600	475 000	600 000	700 000	800 000	900 000	1 000 000
koncentrat czynnika VII (j.m.)	727 200	700 000	900 000	850 000	800 000	750 000	700 000
koncentrat rekombinowanego czynnika VII a (mg)	16 000	16 000	22 000	24 000	26 000	28 000	30 000
koncentrat fibrynogenu (g)	380	100	150	175	200	225	250
koncentrat czynnika XIII (j.m.)	137 000	110 000	120 000	125 000	130 000	140 000	150 000
desmopresyna amp. po 4 µg	5 000	5300	2000	2000	2300	2300	2300
desmopresyna aerozol donosowy po 150 µg dawka	0	0	500	650	700	800	1000
Razem wartość w PLN	288 541 390[3]	210 200 000	247 200 000	271 200 000	295 200 000	318 200 000	343 200 000

* dla realizacji celów szczegółowych, określonych w dziale V, ust. 2, z wyłączeniem celu szczegółowego pkt 1 lit. d), przyjmuje się możliwość stosowania zarówno koncentratów czynników krzepnięcia osoczopochodnych jak i rekombinowanych (jednoczasowo i naprzemiennie w ramach jednego roku kalendarzowego oraz w trakcie danego roku kalendarzowego), w zależności od ceny uzyskanej w drodze postępowań o udzielenie zamówienia publicznego.

---

[1] **Wartość koncentratów czynników krzepnięcia na rok 2012 została zaktualizowana.**
[2] **Ilości poszczególnych rodzajów produktów leczniczych na rok 2012 zostały zaktualizowane na podstawie faktycznie zakupionej liczby koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny.**
[3] **Wartość koncentratów czynników krzepnięcia na rok 2012 została zaktualizowana, na podstawie faktycznie uzyskanych cen w postępowaniach przetargowych.**

** koncentraty czynników krzepnięcia do realizacji celu szczegółowego określonego w dziale V, ust. 2 pkt 1d), o brzmieniu: do leczenia krwawień koncentratami rekombinowanych czynników krzepnięcia u dzieci, które nie otrzymywały wcześniej preparatów krwiopochodnych, zakwalifikowanych do programu *„Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B"* oraz włączanie nowych dzieci, do leczenia, na tych samych zasadach, niezależnie od ciężkości hemofilii. **W uzasadnionych przypadkach Minister Zdrowia może wyrazić zgodę na wydanie czynnika do leczenia krwawień wśród ogółu chorych na hemofilię B.**

3) Spodziewane efekty i korzyści wynikające z potencjalnego wdrożenia Programu, w tym określenie głównych mierzalnych/niemierzalnych korzyści i kosztów

Realizacja Programu przyczyni się do zmniejszenia liczby pacjentów, którzy z powodu wylewów krwotocznych nie mogą się uczyć lub pracować i wcześnie przechodzą na rentę. Zmniejszy się także liczba zgonów, poprawi się zależna od stanu zdrowia jakość życia chorych.

Zapobieganie artropatii hemofilowej (zapobieganie i właściwe leczenie wylewów dostawowych oraz należyta rehabilitacja) zmniejszy zapotrzebowanie na bardzo kosztowne u chorych na hemofilię zabiegi ortopedyczne. Przeprowadzenie koniecznych planowych zabiegów ortopedycznych poprawi sprawność pacjentów z hemofilią.

Program przyczyni się także do bardziej racjonalnej gospodarki koncentratami czynników krzepnięcia a tym samym do racjonalizacji wydatków budżetu państwa.

Sposób prowadzenia leczenia koncentratami czynników krzepnięcia oparty jest na opublikowanych w Acta Haematologica Polonica *Polskich zaleceniach postępowania we wrodzonych skazach krwotocznych na tle niedoboru czynników krzepnięcia* opracowanych przez zespół lekarzy zrzeszonych w Grupie Roboczej ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów.

II. Zdefiniowanie problemu, określenie potrzeby

1) Opis problemu

Hemofilia i inne pokrewne skazy krwotoczne

Istnieją dwa rodzaje hemofilii: hemofilia A — powodowana brakiem lub niedoborem czynnika krzepnięcia VIII, i hemofilia B, której przyczyną jest brak lub niedobór czynnika krzepnięcia IX. 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 (czynnik VIII lub IX <1 j.m./dl), umiarkowany (1-5 j.m./dl) lub łagodny (>5 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.

Częstość występowania hemofilii w Polsce oceniono na 1 : 12 300 mieszkańców. W Instytucie Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie prowadzony jest od 1991 r. komputerowy rejestr chorych na hemofilię i inne skazy krwotoczne. Do 1 lipca 2011 r. w rejestrze znalazło się 4 277 osób, w tym 2 605 chorych na hemofilię (Tabela 1). Hemofilia A występuje w naszym kraju sześć razy częściej niż hemofilia B. Postać ciężka choroby stanowi 53,7% przypadków hemofilii A i 48,07% przypadków hemofilii B. Głównym objawem ciężkiej hemofilii są powtarzające się samoistne krwawienia śródstawowe. Chorzy doznają około 40 takich krwawień rocznie. Ich następstwem jest zwyrodnienie stawów (artropatia hemofilowa), nierzadko zmuszające chorych do znacznego ograniczenia aktywności życiowej, rezygnacji z wykonywania zawodu. Bardzo niebezpieczne są samoistne krwawienia do narządów wewnętrznych i jam ciała, np. wylewy krwi śródczaszkowe, krwotoki z przewodu pokarmowego, czy 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 żaden zabieg chirurgiczny i inwazyjny zabieg diagnostyczny, nie może być bezpiecznie przeprowadzony u osoby z wrodzoną skazą krwotoczną, bez substytucji niedoborowego czynnika krzepnięcia krwi.

Pod względem częstości występowania drugie miejsce po hemofilii A zajmuje w rejestrze choroba von Willebranda (około 80% przypadków stanowi jej łagodna postać — typ 1). Choroba ta uznawana jest obecnie za najczęstszą wrodzoną skazę krwotoczną, występującą w postaci klinicznej jawnej u 125 osób na 1 milion populacji, czyli dwa razy częściej niż hemofilia. Bezobjawowe wrodzone defekty czynnika von Willebranda wykrywano u około 1% ludności. Jest mało prawdopodobne, że w Polsce choroba von Willebranda występuje rzadziej niż w innych krajach europejskich. Należy sądzić, że choroba ta jest w naszym kraju, ze względu na złożoną diagnostykę, rzadko wykrywana.

Wykaz skaz krwotocznych, do leczenia których niezbędne są koncentraty czynników krzepnięcia

1. hemofilia A, w tym powikłana inhibitorem,
2. hemofilia B, w tym powikłana inhibitorem,
3. nabyta hemofilia A i inne immunokoagulopatie,
4. choroba von Willebranda,
5. nabyty zespół von Willebranda,
6. niedobór czynnika VII,
7. niedobór czynnika X,
8. niedobór czynnika V,
9. niedobór czynnika XI,
10. niedobór czynnika XIII,
11. hypofibrynogenemia,
12. inne rzadko występujące niedobory (np. niedobór protrombiny, dysfibrynogenemie, skojarzony niedobór czynników krzepnięcia),
13. wrodzone płytkowe skazy krwotoczne.

Leczenie

Leczenie ciężkiej postaci hemofilii A, ciężkiej postaci choroby von Willebranda oraz wszystkich chorych na hemofilię B lub inną skazę krwotoczną na tle zaburzeń krzepnięcia krwi polega na substytucji niedoborowego czynnika. Dostarcza się go choremu we wstrzykiwanych dożylnie koncentratach czynników krzepnięcia uzyskiwanych z ludzkiego osocza lub metodą inżynierii genetycznej. Stosowanie

koncentratów izolowanych z osocza na skalę przemysłową (zwykle z puli osocza od wielu tysięcy dawców) stwarzało do 1985 r. duże ryzyko zakażenia wirusami przenoszonymi z krwi w tym HIV. Od kilkunastu lat wszystkie handlowe koncentraty czynników krzepnięcia poddawane są odpowiednim procedurom immunologicznej, fizycznej lub chemicznej inaktywacji/eliminacji, które praktycznie wykluczają możliwość zakażenia biorcy wirusem HIV, wirusami zapalenia wątroby typu B i zapalenia wątroby typu C. Metody te nie są jednak skuteczne w stosunku do parwowirusa B19, niewyjaśniona jest sprawa przeniesienia choroby Creutzfelda-Jakoba. Obecnie wprowadzane są na świecie metody inaktywacji czynników chorobotwórczych w świeżo mrożonym osoczu i krioprecypitacie. W roku 2012 w Polsce, całe świeżo mrożone osocze i krioprecypitat, przeznaczone do użytku klinicznego, może być poddane procesowi inaktywacji, albowiem centra krwiodawstwa i krwiolecznictwa zostały wyposażone w odpowiedni sprzęt, a metoda została zwalidowana. W dalszym ciągu obowiązkowe jest w Polsce badanie markerów wirusów przenoszonych drogą krwi (HBV, HCV, HIV) metodami serologicznymi i molekularnymi oraz badanie markerów zakażenia kiłą i odsunięcie od oddawania krwi zakażonych dawców. Nadal także prowadzona jest karencja świeżo mrożonego osocza.

Od początku lat 90. XX wieku w leczeniu hemofilii wykorzystywane są koncentraty rekombinowanych czynników krzepnięcia krwi, ze stosowaniem których, praktycznie nie wiąże się ryzyko przeniesienia cząstek zakaźnych.

Desmopresyna jest syntetycznym analogiem argininowazopresyny i jest stosowana w leczeniu krwawień i przeprowadzania małych zabiegów operacyjnych u pacjentów z łagodną hemofilią A (VIII: C > 5% normy), a także do zapobiegania i leczenia krwawień w chorobie von Willebranda (typ 1, typ 2N, niektóre postaci typu 2A), szczególnie w zapobieganiu nadmiernym krwawieniom miesiączkowym u kobiet.

Stosowanie desmopresyny zmniejszy zapotrzebowanie na toczenie koncentratów czynników krzepnięcia. U kobiet z chorobą von Willebranda zapobiegnie rozwojowi niedokrwistości z niedoboru żelaza.

Desmopresyna w formie aerozolu donosowego jest lekiem z wyboru u ww. chorych, gdyż eliminuje konieczność udania się do szpitala w celu wykonania infuzji drogą pozajelitową, zmniejsza odsetek pacjentów pobierających świadczenia wynikające z niezdolności do pracy, a także poprawia jakość życia. 1 fiolka aerozolu donosowego (2,5 ml) zawiera 25 dawek desmopresyny po 150 µg. Dawka dzienna

dla pacjentów o m.c. <50 kg to 150 µg, a dla pacjentów o m.c. >50 kg to 300 µg co 24 - 48 godz. albo 2 godz. przed operacją. Ampułki są natomiast po 4 µg, a dawka dzienna to 0,3 µg /kg (średnio 5 ampułek u dorosłych). Dlatego 1 fiolka aerozolu donosowego zastępuje kilkadziesiąt ampułek. Ampułki w zmniejszonej dawce będą przeznaczone dla małych dzieci, dla osób z przeciwwskazaniami do stosowania desmopresyny drogą donosową lub dla osób, u których wystąpią miejscowe powikłania stosowania tego leku.

Mechanizm działania DDAVP polega na uwalnianiu obu czynników z rezerw tkankowych, tj. vWF ze śródbłonka naczyniowego, a czynnika VIII prawdopodobnie z komórek śródbłonka sinusoidów wątroby. Stosując DDAVP co 12-24 h można utrzymać zwiększoną aktywność vWF i cz. VIII przez kilka dni. Ponieważ desmopresyna uwalnia ze śródbłonka naczyń także tkankowy aktywator plazminogenu, najczęściej niezbędne jest równoczesne stosowanie leków hamujących fibrynolizę, np. kwasu traneksamowego.

Stosowanie DDAVP jest skuteczne w 80% przypadków vWD typu 1 oraz typu 2N, a może być korzystne w części przypadków typu 2A. DDAVP jest nieskuteczne w ciężkiej i większości przypadków umiarkowanej choroby von Willebranda i hemofilii A, gdyż rezerwy tkankowe cz. VIII i vWF u pacjentów obarczonych tymi postaciami obu skaz krwotocznych są ubogie. DDAVP jest przeciwwskazana w typie 2B vWD, gdyż może nasilić małopłytkowość występującą w tej postaci skazy. Zaleca się dużą ostrożność w stosowaniu desmopresyny u osób powyżej 60 rż. W piśmiennictwie doniesiono o kilku przypadkach wystąpienia powikłań zakrzepowych i zaostrzenia choroby niedokrwiennej serca podczas leczenia DDAVP. Nie zaleca się stosowania DDAVP u dzieci poniżej 2 rż. Nie ma przeciwwskazań do stosowania DDAVP w okresie ciąży.

2) Przyczyny istnienia problemu

Największym problemem w leczeniu chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne są wysokie koszty koncentratów czynników krzepnięcia. Stanowią one około 90% ogólnych kosztów leczenia tej grupy pacjentów. Chory na ciężką postać hemofilii w ciągu roku doznaje około 40 epizodów krwawień (zwykle wylewów krwi do

stawów) wymagających leczenia. Do osłony hemostatycznej dużego zabiegu chirurgicznego (np. usunięcie wyrostka robaczkowego) u dorosłego chorego na hemofilię potrzeba około 50 000 — 70 000 jednostek międzynarodowych koncentratu czynnika krzepnięcia.

Koszt ten jest kilkakrotnie większy w przypadku hemofilii A lub hemofilii B powikłanej obecnością inhibitora (alloprzeciwciał przeciw czynnikowi VIII lub IX). Inhibitor czynnika krzepnięcia VIII powstaje u 15 - 30% chorych na ciężką postać hemofilii A i u 1 - 4 % chorych na ciężką postać hemofilii B. Pojawienie się inhibitora czynnika VIII lub czynnika IX w następstwie leczenia chorego na hemofilię A lub B preparatami koncentratów czynnika VIII / IX jest poważnym powikłaniem choroby.

W obecności inhibitora krwawienia na ogół nie poddają się leczeniu substytucyjnemu. Tym samym w leczeniu hemofilii powikłanej inhibitorem celem nadrzędnym jest trwała eliminacja inhibitora, a celem doraźnym hamowanie krwawień. Eliminację inhibitora uzyskujemy przez regularne podawanie preparatów brakującego czynnika krzepnięcia, co ma doprowadzić do zniszczenia inhibitora z krwi chorego. Metoda ta zwana jest immunotoleracją (ITI - ang. immune tolerance induction). Realizacja drugiego celu, którym jest hamowanie krwawień zależy zarówno od miana inhibitora jak i od rodzaju odpowiedzi i stopnia krwawienia. W leczeniu tym stosowane są koncentraty indukujące generację trombiny w osoczu chorych na hemofilię powikłaną inhibitorem, co zapewnia hemostazę pomimo obecności inhibitora czynnika krzepnięcia VIII lub IX. Z uwagi na mechanizm działania, preparaty te nazywane są koncentratami omijającymi inhibitor. W razie niepowodzenia ITI coraz częściej wprowadzamy regularną profilaktykę koncentratami omijającymi aktywność inhibitora wobec czynnika VIII, co wg piśmiennictwa światowego zmniejsza częstość występowania krwawień nawet o 85 % i poprawia jakość życia pacjentów z ciężką postacią hemofilii powikłaną inhibitorem[4].

Kolejny problem w leczeniu pacjentów z niedoborami czynników krzepnięcia krwi, to konieczność zapewnienia szybkiego i stałego dostępu do koncentratów czynników krzepnięcia. Im szybciej zostanie wstrzyknięty odpowiedni koncentrat, tym szybciej zostanie zahamowane krwawienie.

Bardzo często, szybkie wstrzyknięcie koncentratu niedoborowego czynnika krzepnięcia ma decydujące znaczenie dla uratowania życia chorego. Niezbędna jest

---

[4] Łaguna P. *„Profilaktyka u pacjentów z hemofilią powikłaną inhibitorem"* , Prace poglądowe Pol. Merk. Lek., 2011, XXX, 177, s. 211

w związku z tym właściwa organizacja leczenia tej grupy chorych, na którą powinna składać się sieć wyspecjalizowanych poradni oraz klinik bądź oddziałów szpitalnych na bazie ośrodków hematologicznych, gdzie chorzy mogliby się zgłaszać w razie potrzeby.
W miejscach tych pacjenci powinni otrzymywać także koncentraty czynników krzepnięcia do domu (leczenie w warunkach domowych).
Ponieważ znajomość zagadnień związanych z wrodzonymi zaburzeniami krzepnięcia krwi wśród większości lekarzy i innego personelu medycznego nie jest wystarczająca, co wpływa niejednokrotnie na nieprawidłowe postępowanie terapeutyczne, zaproponowane w Programie szkolenia personelu medycznego zarówno lekarzy, pielęgniarek, diagnostów laboratoryjnych jak i ratowników medycznych znajdują uzasadnienie.

3) Waga problemu dla społeczeństwa

Chorzy na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne stanowią małą liczbowo grupę i są niewielką częścią ogólnej populacji. Jeżeli jednak weźmie się pod uwagę konieczność częstych przyjęć tych chorych do szpitali, bardzo wysokie koszty ich leczenia i trudności w rehabilitacji, to zagadnienie dotyczące stosunkowo niewielkiej grupy osób urasta do problemu społecznego. Życie i zdrowie chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne zależy w głównej mierze od dostępu do koncentratów czynników krzepnięcia. Miernikiem zabezpieczenia chorych na hemofilię, jak to wskazano powyżej, jest wskaźnik zużycia czynnika VIII w przeliczeniu na 1 mieszkańca rocznie. Przy odpowiednim poziomie zaopatrzenia można zapewnić: leczenie w warunkach domowych, przeprowadzenie większości planowych zabiegów chirurgicznych, długo- i krótkoterminową profilaktykę, immunotolerancję w przypadku wystąpienia inhibitora niedoborowego czynnika krzepnięcia. Dużym osiągnięciem było wdrożenie w Polsce w 2008 r. profilaktyki krwawień u dzieci w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego pn. *„Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B"*, finansowanego z budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia, dzięki któremu zredukowana w przyszłości zostanie liczba niezwykle kosztownych, ortopedycznych zabiegów naprawczych (wszczepianie endoprotez), jakie przeprowadza się u dorosłych z zaawansowaną artropatią hemofilową. Co więcej, wyprowadzenie profilaktyki krwawień u dzieci znacznie zmniejszy odsetek pacjentów,

którzy z powodu inwalidztwa narządu ruchu nie mogą pracować i bardzo wcześnie przechodzą na rentę. Zmniejszy się także liczba hospitalizacji i kosztownych w tej grupie chorych zabiegów kinezyterapii. Wreszcie zmniejszy się odsetek zgonów wywołanych ciężkimi, samoistnymi i pourazowymi wylewami krwi, np. krwawieniami śródczaszkowymi.

4) Dotychczasowe próby rozwiązania problemu

W 2001 r. powstał po raz pierwszy „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 organizacji leczenia tej grupy pacjentów w Polsce, polegającą na wyodrębnieniu dwóch ośrodków referencyjnych leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych (dla dorosłych i dla dzieci) zlokalizowanych w Warszawie oraz regionalnych ośrodków leczenia hemofilii, obecnych w każdym województwie (co najmniej jeden dla dzieci i jeden dla dorosłych). Wszystkie ośrodki powinny być dostępne dla chorego przez 24 h/dobę. Do dziś jedynie w dwóch ośrodkach referencyjnych zlokalizowanych w Warszawie udało się zapewnić opiekę chorym na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne na optymalnym poziomie.
Obecny Program stanowi kontynuację idei i części zadań dotychczas realizowanego programu zdrowotnego dedykowanego tej grupie chorych funkcjonującego pn.: *„Narodowy Program Leczenia Hemofilii na lata 2005-2011"*, który w roku 2005 zastąpił *„Program zaopatrzenia chorych na hemofilię i inne skazy krwotoczne w czynniki krzepnięcia"*.

5) Przedstawienie trudności w uzyskaniu świadczeń

Najpoważniejszym problemem w uzyskaniu świadczeń zdrowotnych przez grupę pacjentów ze skazami krwotocznymi pozostaje wciąż niedostateczne zaopatrzenie w koncentraty czynników krzepnięcia oraz brak dostatecznej liczby wyspecjalizowanych ośrodków zapewniających kompleksową opiekę tej grupie chorych. Aktualny poziom zaopatrzenia w koncentrat czynnika krzepnięcia VIII na poziomie 4,7 j.m. na 1 mieszkańca kraju nadal nie pozwala na prowadzenie terapii

ITI u wszystkich pacjentów wymagających tego rodzaju leczenia a także na stosowanie wtórnej profilaktyki dorosłych chorych na hemofilię o ciężkim przebiegu.

Aby ośrodki hematologiczne były zainteresowane wyspecjalizowaniem w kierunku zapewnienia kompleksowej opieki w zakresie leczenia chorych z hemofilią i innymi pokrewnymi skazami krwotocznymi, niezbędne jest dokonanie zmian w systemie prawnym. Zasadność zainicjowania wskazanych zmian, podyktowana jest kosztami leczenia niektórych jednostek chorobowych, ponoszonych przez specjalistyczne ośrodki hematologiczne. I tak np. chory na hemofilię A powikłaną inhibitorem z rozległym krwiakiem zaotrzewnowym i złamaniem kończyny dolnej z przemieszczeniem wymaga bezwzględnie hospitalizacji w ośrodku o najwyższym stopniu referencyjności, ponieważ konieczne jest wykonanie specjalistycznych kosztownych badań diagnostycznych, zastosowanie drogich preparatów i przeprowadzenie leczenia przy współpracy specjalistów z różnych dziedzin medycyny. Właściwa terapia takiego chorego w ośrodku specjalistycznym jest wysoce kosztochłonna. Program określa warunki dla dwóch poziomów ośrodków leczenia: referencyjnego i wojewódzkiego. Do tej pory wymagania te nie były zdefiniowane dla ośrodków leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne i w związku z tym nie są one ujęte w rozporządzeniu Ministra Zdrowia z dnia 29 sierpnia 2009 r. *w sprawie świadczeń gwarantowanych z zakresu leczenia szpitalnego* (Dz. U. Nr.140, poz. 1143, z późn. zm.). Zdefiniowane w Programie cele oraz warunki dla dwóch poziomów leczenia hemofilii i innych pokrewnych skaz krwotocznych dają podstawę i uzasadnienie dla rozpoczęcia prac zmierzających do nowelizacji ww. rozporządzenia.

Nadto wskazane byłoby obligatoryjne zgłaszanie przez ośrodki leczące wszystkich nowowykrytych przypadków skaz krwotocznych, jak również informacji o zgonach chorych na skazy krwotoczne do ewidencji chorych na hemofilię i inne wrodzone skazy krwotoczne prowadzonej przez realizatorów Programu w formie aplikacji komputerowej, która będzie gromadziła i udostępniała dane upoważnionym osobom i podmiotom, w czasie rzeczywistym za pośrednictwem portalu internetowego. Z tego względu, w dłuższej perspektywie czasowej, zasadne są również zmiany organizacyjne.

III. Uzasadnienie

1) Dlaczego realizacja Programu powinna zostać sfinansowana przez ministra właściwego do spraw zdrowia

Zgodnie z zaleceniami Światowej Organizacji Zdrowia i Światowej Federacji Hemofilii (WHO/WFH Recommendations, June 1997; *Haemophilia* 1998, suppl. 2, s. 64-66), odpowiedzialność za narodowy system opieki nad chorymi na hemofilię powinna spoczywać na władzach danego kraju. Podobnie jak w innych państwach, w Polsce koncentraty czynników krzepnięcia dla chorych na hemofilię i inne pokrewne skazy krwotoczne muszą być finansowane ze środków publicznych. Należy podkreślić, że koncentraty czynników krzepnięcia nie mogą być traktowane na równi z innymi lekami.

W 2008 roku w czasopiśmie *Haemophilia* (*Haemophilia*, 2008, suppl. 14, s. 361-674) zostały opublikowane *„European Principles of Haemophilia Care"*, które 27 stycznia 2009 roku przyjął Parlament Europejski.

Zgodnie z przyjętymi wytycznymi w każdym państwie członkowskim powinna istnieć organizacja pełniąca nadzór nad funkcjonowaniem specjalistycznych ośrodków opieki, udzielających całego spektrum świadczeń klinicznych i laboratoryjnych. Zależnie od liczebności i rozmieszczenia geograficznego danej populacji dodatkowo może być konieczne zorganizowanie sieci mniejszych ośrodków leczenia hemofilii. Powinno tez istnieć zaplecze organizacyjne w celu dostarczania bezpiecznych koncentratów czynników krzepnięcia, które można stosować w leczeniu domowym i programach profilaktycznych.

Dziesięć przyjętych wytycznych to:

1. Centralna organizacja opieki nad chorymi na hemofilię i lokalne ośrodki wspierające jej działania

W każdym kraju powinna funkcjonować centralna organizacja na rzecz opieki nad chorymi na hemofilię wspierająca ośrodki działające lokalnie. Organizacje te powinny odpowiadać za skrupulatne prowadzenie dokumentacji i skuteczne sprawowanie opieki nad chorymi na hemofilię. Takie rozwiązanie służyłoby ponadto ułatwieniu

wymiany informacji na temat optymalnych sposobów postępowania oraz koordynacji badań naukowych.

2. Krajowe rejestry chorych na hemofilię

W każdym kraju powinien być prowadzony rejestr pacjentów administrowany przez centralną organizację opieki nad chorymi na hemofilie. Dane z rejestru można wykorzystać do ułatwiania planowania i alokacji zasobów. Dane te mogą także dostarczać dokładnych informacji na temat liczby pacjentów, przepisywanych leków, rozmieszczenia geograficznego i zdarzeń niepożądanych. Wszystkie rejestry powinno się prowadzić z zachowaniem poufności danych, zgodnie z obowiązującymi przepisami oraz przyjętymi w danym kraju zasadami etycznymi.

3. Ośrodki opieki kompleksowej i ośrodki leczenia hemofilii

Powinno się utworzyć ośrodki opieki kompleksowej i ośrodki leczenia hemofilii zapewniające chorym na hemofilię dostęp do wszystkich lekarzy specjalistów i odpowiednich badań laboratoryjnych.

4. Równorzędna współpraca w zakresie świadczenia opieki nad chorymi na hemofilię

W podejmowaniu decyzji dotyczących opieki nad chorymi na hemofilię na szczeblu krajowym i/lub regionalnym powinni uczestniczyć klinicyści i przedstawiciele pacjentów w równorzędnej współpracy z resortami odpowiedzialnymi za sprawy zdrowia i kwestie socjalne oraz organizacjami świadczącymi opiekę nad osobami z hemofilią w ramach sformalizowanych mechanizmów w rodzaju Krajowej Grupy Koordynacyjnej ds. Hemofilii.

5. Bezpieczne i skuteczne koncentraty czynników krzepnięcia w optymalnych dawkach

Chorym na hemofilię należy zapewnić dostęp do bezpiecznych i skutecznych terapii stosowanych w sposób optymalny, ponieważ służy to poprawie ich zdrowia fizycznego, długości i jakości życia oraz ograniczeniu negatywnego wpływu omawianej skazy krwotocznej na pacjenta i jego rodzinę w wymiarach psychospołecznym i ekonomicznym. Ponadto zmniejsza skalę długofalowego wsparcia udzielanego z zasobów ochrony zdrowia.

6. Leczenie w warunkach domowych i dostawa koncentratów czynników krzepnięcia do domu

W każdym kraju pacjentom z hemofilią trzeba umożliwić prowadzenie leczenia w domu oraz organizowanie dostaw koncentratów czynników krzepnięcia do domu, co pozwoli na natychmiastową i skuteczną terapię. Spełnienie tej zasady będzie sprzyjać zmniejszeniu liczby wizyt w szpitalu, zapobieganiu krótko- i długookresowej niesprawności i prowadzeniu przez dzieci i dorosłych z hemofilią w miarę normalnego życia.

7. Leczenie profilaktyczne (zapobiegawcze)

Osoby z hemofilią powinny mieć dostęp do leczenia profilaktycznego, ponieważ zapobiega ono rozwojowi przewlekłej artropatii lub zmniejsza jej nasilenie. Profilaktyka służy ponadto promocji zdrowia i dobrego samopoczucia społecznego oraz ogranicza obciążenie chorobą.

8. Świadczenia specjalistyczne i pomoc doraźna

Opieka nad chorym na hemofilię wymaga koordynacji działań wielu dostawców usług medycznych w celu zaspokojenia konkretnych potrzeb tych chorych. W sytuacjach krytycznych pacjentom z hemofilią trzeba, dla nich własnego bezpieczeństwa, zapewnić natychmiastowy dostęp do leczenia oraz specjalistycznej opieki medycznej, za pośrednictwem szpitalnych oddziałów ratunkowych, oraz wielu lekarzy specjalistów.

9. Postępowanie w przypadku obecności inhibitorów

U części chorych na hemofilię dochodzi do wytworzenia inhibitorów czynników krzepnięcia, które inaktywują przetaczane w ramach leczenia substytucyjnego egzogenne czynniki krzepnięcia. Tacy pacjenci muszą mieć zapewniony natychmiastowy dostęp do optymalnych metod leczenia. W stosownych przypadkach klinicyści dysponujący odpowiednią wiedzą i doświadczeniem, w szpitalach z odpowiednim zapleczem klinicznym i laboratoryjnym, powinni prowadzić leczenie indukujące tolerancję immunologiczną oraz terapię skutków krwawień.

10. Kształcenie lekarzy i badania naukowe

Rekrutacja i kształcenie lekarzy w dziedzinie chorób zakrzepowych i zaburzeń hemostazy to ważne zadanie na przyszłość, które pozwoli zabezpieczyć wysoką jakość opieki medycznej. Konieczne jest prowadzenie dalszych badań naukowych nad hemofilią, z przyjęciem za priorytetowe: badań nad preparatami czynników VIII i IX o dłuższych okresach półtrwania i zmniejszonej immunogenności, badań nad nowymi technikami podawania koncentratów czynników krzepnięcia, badań zmierzających do pogłębienia dotychczasowej wiedzy na temat inhibitorów oraz zapobiegania ich pojawianiu się, a także badań nad terapią genową. Istnieje potrzeba prowadzenia badań naukowych zmierzających do dalszej poprawy poziomu opieki nad chorym i jego rodziną, w tym badania różnorodnych modeli świadczenia usług medycznych w obrębie tej grupy chorych oraz parametrów do oceny wyników leczenia i jakości życia pacjentów z hemofilią.

2) Zdefiniowanie potrzeby społecznej, której zaspokojeniu ma służyć realizacja Programu

Liczbę osób ze zdiagnozowaną skazą krwotoczną w Polsce oraz liczbę chorych leczonych dotychczas w ramach programu finansowanego z budżetu ministra właściwego do spraw zdrowia obrazują przedstawione poniżej tabele.

Postęp medycyny, który dokonał się na przestrzeni ostatnich kilkudziesięciu lat, skutkuje m.in. tym, że populacje krajów rozwiniętych a także rozwijających się żyją teraz dłużej i cieszą się lepszym zdrowiem. W większości krajów odsetek osób powyżej 60 roku życia rośnie szybciej niż w przypadku innych grup wiekowych; w rezultacie wzrasta średnia długość życia, a zmniejsza się przyrost naturalny. W 2006 r. na świecie było pół miliarda osób powyżej 65 roku życia. Przewiduje się, że do 2030 r. ta liczba się podwoi.

Ta tendencja dotyczy też osób ze skazami krwotocznymi – wielu chorych na hemofilię wchodzi obecnie w zaawansowany wiek. Postępy w leczeniu hemofilii rozpoczęte w latach pięćdziesiątych przyczyniły się do wydłużenia średniej długości życia i do poprawy jakości życia. Wcześniejsze pokolenia chorych na hemofilię A lub B umierały przedwcześnie wskutek komplikacji związanych z wylewami i krwotokami,

ponieważ nie było jeszcze koncentratów czynników krzepnięcia; później pojawiły się też komplikacje związane z zakażeniem HIV i HCV. Aktualne standardy terapii chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne a także poziom i rozwój metod diagnostyki tej jednostki chorobowej pozwala wnioskować, iż corocznie coraz więcej osób będzie wymagało włączenia do Programu.

Chociaż długość życia chorych na ciężką postać hemofilii nadal jest mniejsza niż wśród zdrowych osób, to jednak coraz bardziej zbliża się do średniej wartości dla ogółu mężczyzn.

Tabela 2. *Liczba osób ze zdiagnozowaną skazą krwotoczną w Polsce (dorosłych i dzieci)*

Rodzaj skazy	Liczba chorych
Hemofilia A:	**2216**
ciężka	*1037*
powikłana inhibitorem	*156*
umiarkowana	*325*
łagodna	*698*
Hemofilia B	**389**
ciężka	*184*
powikłana inhibitorem	*3*
umiarkowana	*83*
łagodna	*119*
Nabyta hemofilia	**34**
Choroba von Willebranda	**1199**
typ 1	*881*
typ 2	*158*
typ 3	*152*
nieokreślony	*8*
Niedobór czynnika V	**20**
Niedobór czynnika VII	**193**
Niedobór czynnika X	**16**
Niedobór czynnika XI	**33**
Niedobór czynnika XIII	**10**
Hypofibrynogenemia	**54**
Inne rzadko występujące niedobory (np. protrombiny, skojarzony niedobór czynników krzepnięcia, immunokoagulopatie)	**41**
Wrodzone płytkowe skazy krwotoczne	**72**
RAZEM	**4277**

Źródło: dane Instytutu Hematologii i Transfuzjologii aktualne na 1.07.2011 r.

Tabela 3. *Liczba pacjentów (dorosłych i dzieci) przyjmujących koncentraty czynników krzepnięcia w ramach "Narodowego Programu Leczenia Hemofilii na lata 2005 - 2011" od 01.01. do 31.12.2009 r.*

Lp.	Realizator programu	Hemofilia A	Hemofilia A powikłana inhibitorem	Hemofilia B	Hemofilia B powikłana inhibitorem	Choroba von Willebranda	Inne skazy krwotoczne
1.	RCKiK Białystok	38	1	6	0	5	1
2.	RCKiK Bydgoszcz	80	1	13	0	17	2
3.	RCKiK Gdańsk	65	12	14	1	8	3
4.	RCKiK Katowice	162	12	30	1	24	10
5.	RCKiK Kielce	44	4	1	0	1	1
6.	RCKiK Kraków	130	12	14	0	34	9
7.	RCKiK Lublin	94	6	15	0	15	1
8.	RCKiK Łódź	77	7	11	1	18	1
9.	RCKiK Olsztyn	51	3	7	0	4	1
10.	RCKiK Opole	26	1	7	0	2	0
11.	RCKiK Poznań	131	16	25	0	16	5
12.	RCKiK Rzeszów	83	4	10	0	9	0
13.	RCKiK Szczecin	51	6	14	1	5	1
14.	RCKiK Warszawa	114	1	19	0	18	1
15.	RCKiK Wrocław	109	4	15	0	21	4
16.	RCKiK Zielona Góra	28	5	5	0	2	0
17.	IHiT w Warszawie	229	51	40	2	32	63*
	RAZEM	**1 512**	**146**	**246**	**6**	**231**	**103**
	RAZEM	**1 658**		**252**			
	RAZEM	**2 244**					

* w tym 5 pacjentów z hemofilią nabytą

Źródło: dane Narodowego Centrum Krwi

Lp.	Realizator programu	Hemofilia A	Hemofilia A powikłana inhibitorem *	Hemofilia B	Hemofilia B powikłana inhibitorem	Choroba von Willebranda	Inne skazy krwotoczne
1.	RCKiK Białystok	39	1	6	0	8	2
2.	RCKiK Bydgoszcz	78	2	13	0	13	0
3.	RCKiK Gdańsk	78	10	16	1	11	2
4.	RCKiK Katowice	182	14	30	2	25	9
5.	RCKiK Kielce	47	5	0	0	2	1
6.	RCKiK Kraków	155	16+1	14	0	42	8
7.	RCKiK Lublin	111	9+2	17	0	12	1
8.	RCKiK Łódź	75	7	13	1	11	1
9.	RCKiK Olsztyn	55	4+1	10	0	1	2
10.	RCKiK Opole	33	1	8	0	1	0
11.	RCKiK Poznań	145	8+4	31	0	16	9
12.	RCKiK Rzeszów	87	3	17	0	8	2
13.	RCKiK Szczecin	47	18+1	13	5	2	0
14.	RCKiK Warszawa	114	0	24	0	17	3
15.	RCKiK Wrocław	122	2+3	18	0	23	1
16.	RCKiK Zielona Góra	52	4	4	0	2	0
17.	IHiT w Warszawie	245	47+8	45	1	49	70
	RAZEM	**1665**	**171**	**279**	**10**	**243**	**111**
	RAZEM	**1836**		**289**			
	RAZEM			**2479**			

Tabela 4. *Liczba pacjentów (dorosłych i dzieci) przyjmujących koncentraty czynników krzepnięcia w ramach "Narodowego Programu Leczenia Hemofilii na lata 2005 - 2011" od 01.01.do 31.12.2010*

** w tym 20 pacjentów z hemofilią nabytą i inhibitorem*

Źródło: dane Narodowego Centrum Krwi

Opierając się na przedstawionych danych, przy uwzględnieniu dokonującego się na bieżąco postępu medycyny skutkującego coraz dłuższym czasem przeżycia, lepszymi metodami diagnostycznymi oraz ich skutecznością, należy przypuszczać, że rokrocznie liczba chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, szczególnie te, których aktualny stan niedoszacowania jest wysoki, wymagających korzystania z koncentratów czynników krzepnięcia oraz, a może przede wszystkim,

desmopresyny (łagodna postać hemofilii A i choroby von Willebranda) finansowanych w ramach przedmiotowego Programu będzie wzrastać.

3) Efektywność ekonomiczna

Hemofilia i pokrewne skazy krwotoczne to choroby dotykające nie tylko pacjenta, ale także całą jego rodzinę. Stąd niezbędne jest zapewnienie leczenia, opieki medycznej oraz psychologicznej pacjentowi i jego rodzinie, mając na względzie, że skazy krwotoczne są nieuleczalne, a świadczenia muszą być udzielane przez całe życie pacjenta.

Skazy krwotoczne powodują ból i kalectwo oraz wymagają dla leczenia dużych ilości koncentratów czynników krzepnięcia. Pacjenci chorzy na skazy krwotoczne uzyskując dostęp do leczenia specjalistycznego poprzez dwustopniową sieć wyspecjalizowanych szpitali i klinik (ośrodków referencyjnych lub wojewódzkich) uzyskają opiekę medyczną i leczenie sprawowane w sposób, który zminimalizuje ból i kalectwo.

Zastosowanie profilaktyki wtórnej u pacjentów z ciężkim przebiegiem skazy krwotocznej zmniejszy cierpienie chorym, zmniejszy też zużycie koncentratów czynników krzepnięcia. Duże, nawracające krwawienia do stawów wymagają stosowania dużych dawek koncentratu czynnika krzepnięcia w długim przedziale czasowym. Przy obecnej, niedostatecznej **liczbie** wyspecjalizowanych ośrodków, niejednokrotnie pacjent sam decyduje o wysokości dawki i okresie leczenia wylewu, co jest ze szkodą zarówno dla pacjentów jak i płatnika, którym jest minister właściwy do spraw zdrowia.

Profilaktyka wtórna zlecona przez lekarza referencyjnego lub wojewódzkiego ośrodka leczenia pozwoli w wielu wypadkach, przy zastosowaniu racjonalnych dawek koncentratu czynnika krzepnięcia, nie dopuścić do krwawienia. W konsekwencji pacjent nawet nie przerwie pełnienia swych funkcji życiowych.

Objęcie leczeniem w warunkach domowych wszystkich chorych na hemofilię i pokrewne skazy zmniejsza koszty leczenia w stosunku do leczenia na żądanie, ale przede wszystkim ogranicza cierpienie i w znacznie mniejszym stopniu ogranicza zdolność podejmowania funkcji życiowych.

Objęcie Programem wywołania tolerancji immunologicznej, w perspektywie do roku 2018, wszystkich pacjentów z inhibitorem znacząco zmniejszy liczbę pacjentów

wymagających stosowania czynników omijających (rVIIa, aPCC), kilka a nawet kilkanaście razy droższych od koncentratów niedoborowych czynników krzepnięcia. Wprowadzenie do leczenia desmopresyny dla wskazanej w Programie grupy pacjentów zmniejszy koszty leczenia z uwagi na znacznie niższą cenę leku, w stosunku do ceny stosowanych koncentratów czynników krzepnięcia, eliminując w tej grupie pacjentów konieczność stosowania tych **produktów leczniczych**. Można szacunkowo ocenić, że do leczenia desmopresyną będzie się kwalifikować w pierwszym roku nowego Programu ~ 200 chorych, co pozwoli zaoszczędzić ~1 mln j. koncentratu czynnika krzepnięcia VIII. Nie wszyscy chorzy na łagodną postać choroby von Willebranda doznają krwawień lub są poddawani zabiegom operacyjnym, stanowiącym wskazanie do podawania desmopresyny. Rozpowszechnienie stosowania desmopresyny na terenie całego kraju będzie wymagało w pierwszym roku realizacji Programu popularyzacji wiedzy o tym leku i przeprowadzenia szkoleń w mniejszych ośrodkach zajmujących się leczeniem chorych na hemofilię i na chorobę von Willebranda. W kolejnych latach **liczba** chorych leczonych desmopresyną będzie się zwiększać.

Faktyczne zużycie desmopresyny i oszczędności w zużyciu koncentratu czynnika VIII oraz koncentratu czynnika krzepnięcia VIII zawierającego czynnik von Willebranda, będzie można dokładniej określić dopiero po wprowadzeniu tego **produktu leczniczego** do Programu. W miarę polepszania się diagnostyki skaz krwotocznych, **liczba** chorych z łagodną hemofilią powinna się zwiększać, gdyż w Polsce odsetek zdiagnozowanej łagodnej hemofilii jest nieproporcjonalnie mały w stosunku do ciężkiej postaci tej choroby (co wynika z niedodiagnozowania postaci łagodnej), zwiększy się także ilość pacjentów z łagodną postacią choroby von Willebranda (też niedodiagnozowaną w Polsce). Zdarza się, że pacjenci z nierozpoznanymi łagodnymi skazami krwotocznymi, które mogą nie dawać odchyleń w powszechnie wykonywanych "przesiewowych" badaniach krzepnięcia, mają ciężkie, zagrażające nieraz życiu krwotoki pooperacyjne, pourazowe i poporodowe. Leczenie ciężkich krwotoków wymaga dużych nakładów finansowych. Warto więc łagodne skazy diagnozować, zapobiegać krwawieniom (np. stosując desmopresynę) i w sposób celowany leczyć.

Ponadto, zakłada się, że Program spowoduje:

1) podniesienie jakości życia pacjentów zależnej od zdrowia,
2) zmniejszenie ryzyka utraty życia,

3) zmniejszenie ryzyka powikłań choroby i związanych z nimi kosztów leczenia,
4) skrócenie czasu niezdolności do pracy,
5) szybsze podjęcie funkcji zawodowych, rodzinnych i społecznych,
6) zmniejszenie odsetka pacjentów pobierających świadczenia wynikające z niezdolności do pracy.

Zakłada się, że ww. spodziewane korzyści wynikające z wprowadzenia programu będą w dłuższej perspektywie czasowej jego efektami, co biorąc pod uwagę specyfikę choroby, będzie miało bezpośrednie przełożenie na jakoś życia chorych (pozytywny efekt zdrowotny).

4) Nowatorstwo zaproponowanych rozwiązań

1) wyspecjalizowanie ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych na dwóch poziomach: referencyjnym i wojewódzkim,
2) wprowadzenie profilaktyki wtórnej w leczeniu chorych na hemofilię A i B z inhibitorem,
3) ekonomiczna optymalizacja leczenia łagodnej postaci hemofilii A i łagodnej postaci choroby von Willebranda przez wprowadzenie do Programu finansowania zakupu desmopresyny,
4) wprowadzenie obowiązku ewidencji chorych na hemofilię i inne wrodzone skazy krwotoczne w formie aplikacji komputerowej, która będzie gromadziła i udostępniała dane upoważnionym osobom i podmiotom, w czasie rzeczywistym za pośrednictwem portalu internetowego,
5) rozpoczęcie, w ramach Programu, szkoleń kadry medycznej zaangażowanej w realizację Programu.

5) Wykorzystanie dotychczasowych doświadczeń

Do realizacji Programu wykorzystane zostaną doświadczenia płynące z realizacji dotychczas obowiązującego programu zdrowotnego pn.: *„Narodowy Program Leczenia Hemofilii na lata 2005-2011"* oraz realizowanego od roku 2008 programu terapeutycznego pn. *„Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B".*

6) Wykorzystanie istniejących środków

W trakcie realizacji Programu wykorzystywane będą dane zgromadzone w rejestrach którymi dysponują poszczególne Regionalne Centra Krwiodawstwa i Krwiolecznictwa, zwane dalej RCKiK, oraz Instytut Hematologii i Transfuzjologii, zwanym dalej IHiT, jak również rejestru prowadzonego przez realizatorów programu **lekowego NFZ** pn. *„Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B"*.

7) Promowanie współpracy między różnymi instytucjami i organizacjami

W ramach realizacji Programu zasadna jest współpraca pomiędzy Narodowym Centrum Krwi, Narodowym Funduszem Zdrowia, Regionalnymi Centrami Krwiodawstwa i Krwiolecznictwa, referencyjnymi i wojewódzkimi ośrodkami leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, konsultantami krajowymi i wojewódzkimi w dziedzinie hematologii, transfuzjologii klinicznej, diagnostyki laboratoryjnej, ratownictwa medycznego, wojewódzkimi koordynatorami ds. leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych u dorosłych i u dzieci, wojewódzki koordynatorami ds. dystrybucji, towarzystwami naukowymi oraz organizacjami pozarządowymi działającymi w obszarze hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych.

8) Możliwość ponownego wykorzystania Programu w przyszłości lub kontynuowania jego realizacji przez inne jednostki

Specyfika leczenia koncentratami czynników krzepnięcia chorych na hemofilię i inne wrodzone skazy krwotoczne wymaga ciągłości. Zgodnie z obowiązującym prawem pacjent wybiera sam ośrodek, w którym będzie leczony koncentratami czynników krzepnięcia. Zazwyczaj jest to ośrodek zlokalizowany najbliżej miejsca zamieszkania chorego (wojewódzki), w przypadku leczenia w warunkach domowych lub leczenia krwawień o łagodnym lub umiarkowanym przebiegu, natomiast leczenie skomplikowanych wylewów oraz przeprowadzanie zabiegów operacyjnych powinno odbywać się w ośrodkach referencyjnych, zapewniających kompleksową opiekę tej grupie pacjentów. Leczenie substytucyjne koncentratami czynników krzepnięcia jest leczeniem wieloletnim i terapia raz rozpoczęta nie może być przerwana. Przerwy

w podawaniu i dostawie koncentratów czynników krzepnięcia stanowią zagrożenie życia i zdrowia pacjentów z hemofilią oraz pokrewnymi skazami krwotocznymi i mogą być traktowane jako błąd w sztuce lekarskiej. Ze względu na migrację pacjentów i możliwe zmiany ośrodka leczącego w trakcie terapii, najkorzystniejsze jest prowadzenie ogólnopolskiego systemu leczenia, co daje możliwość przekazywania koncentratów czynników krzepnięcia „idących za pacjentem", bez zagrożenia brakiem **produktów leczniczych** lub ich przeterminowania z powodu niewykorzystania przez danego pacjenta.

V. Opis Programu

1) Określenie, czy Program stanowi kontynuację z lat ubiegłych

„Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018" stanowi kontynuację części zadań realizowanych w latach 2005-2011 w ramach programu zdrowotnego pn.: *„Narodowy Program Leczenia Hemofilii na lata 2005-2011"*, w zakresie zakupu koncentratów czynników krzepnięcia.

2) Cele ogólne i szczegółowe

Cele ogólne:

1) poprawa wyników leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne,
2) poprawa jakości życia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.

Cele szczegółowe:

1) zapewnienie powszechnej dostępności koncentratów czynników krzepnięcia chorym na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne niepowikłane krążącym antykoagulantem - inhibitorem:
   a) do leczenia krwawień, w tym w warunkach domowych, od roku 2012,
   b) do przeprowadzania zabiegów operacyjnych, od roku 2012,

c) na wtórną profilaktykę dorosłych chorych ze skazą krwotoczną o ciężkim przebiegu (co najmniej jedno krwawienie w miesiącu lub co najmniej trzy krwawienia do tego samego stawu w ciągu trzech miesięcy lub przebycie samoistnego krwawienia zagrażającego życiu, np. krwawienia do ośrodkowego układu nerwowego), od roku 2014,
d) do leczenia krwawień koncentratami rekombinowanych czynników krzepnięcia u dzieci, które nie otrzymywały wcześniej preparatów krwiopochodnych, zakwalifikowanych do modułu pierwotnej profilaktyki krwawień czynnikami rekombinowanymi w ramach programu NFZ pn.: *„Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B"* oraz włączanie nowych dzieci, do leczenia, na tych samych zasadach, niezależnie od ciężkości hemofilii, od roku 2012.

2) zapewnienie powszechnej dostępności koncentratów czynników krzepnięcia chorym na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne powikłane krążącym antykoagulantem - inhibitorem:
   a) do leczenia krwawień, w tym w warunkach domowych, od roku 2012,
   b) do przeprowadzania zabiegów operacyjnych, od roku 2012,
   c) na wtórną profilaktykę u chorych ze skazą krwotoczną o ciężkim przebiegu (co najmniej jedno krwawienie w miesiącu lub co najmniej trzy krwawienia do tego samego stawu w ciągu trzech miesięcy lub przebycie samoistnego krwawienia zagrażającego życiu, np. krwawienia do ośrodkowego układu nerwowego), od roku 2016,
   d) do terapii ITI u wszystkich chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne powikłane krążącym antykoagulantem, którzy zostaną wskazani przez zespół kwalifikujący do terapii immunotolerancji, od roku 2013,
   e) zapewnienie stosowania w terapii ITI koncentratów rekombinowanych czynników VIII i IX dzieciom, które wytworzyły inhibitor przed włączeniem do modułu pierwotnej profilaktyki krwawień czynnikami rekombinowanymi w ramach programu NFZ pn.: *„Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B"* a stosowały w terapii „na żądanie" koncentraty rekombinowanych czynników krzepnięcia, od roku 2012,
3) wyspecjalizowanie ośrodków hematologicznych do zapewniania kompleksowego leczenia chorym na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, od roku 2012 (bezkosztowo pod stronie budżetu państwa),

4) przygotowanie kadry do realizacji celów Programu, od roku 2012,
5) prowadzenie ewidencji chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne w formie aplikacji komputerowej, która będzie gromadziła i udostępniała dane upoważnionym osobom i podmiotom, w czasie rzeczywistym za pośrednictwem portalu internetowego, w oparciu o i w powiązaniu z bazą danych prowadzaną w ramach realizacji programu **lekowego** NFZ pn. *„Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B"*,
6) wprowadzenie desmopresyny do profilaktyki i leczenia krwawień (epizod krwotoczny lub planowany zabieg chirurgiczny) u chorych na łagodną hemofilię A (VIII: C > 5% normy) i łagodną chorobę von Willebranda (typ 1, typ 2N, niektóre postaci typu 2A) przy braku przeciwwskazań bezwzględnych, którymi są: objawy nietolerancji desmopresyny, okres połogu, choroba niedokrwienna serca, powikłania zakrzepowo-zatorowe. Kryteria skuteczności leczenia: poprawa kliniczna (zatrzymanie krwawienia) oraz wyrównanie parametrów hemostazy (wzrost aktywności czynnika VIII i/lub kofaktora rystocetyny), od roku 2012.

3) Plan działań i sposób ich realizacji

W celu dążenia do poprawy leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne niezbędne jest po pierwsze sukcesywne zwiększanie **liczby** koncentratów poszczególnych czynników krzepnięcia finansowanych w ramach przedmiotowego Programu, włączenie do Programu desmopresyny oraz podjęcie działań zarówno organizacyjnych jak i legislacyjnych, służących wyspecjalizowaniu ośrodków hematologicznych w zakresie kompleksowej opieki nad chorymi na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne. Niezbędnym elementem poprawy leczenia tej grupy chorych jest edukacja lekarzy różnych specjalności, pielęgniarek, fizjoterapeutów, diagnostów laboratoryjnych oraz ratowników medycznych, poprzez organizowanie raz w roku warsztatów naukowo-szkoleniowych dla osób zaangażowanych w leczenie hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych z terenu całej Polski.

W okresie trwania Programu szkoleniami zostaną objęte osoby wytypowane przez wojewódzkich koordynatorów ds. leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych u dorosłych i dzieci, przede wszystkim z ośrodków, w których są leczeni pacjenci z hemofilią i pokrewnymi skazami krwotocznymi. Rocznie planuje się objecie

szkoleniami ok. 120 lekarzy, ok. 60 pielęgniarek, ok. 30 fizjoterapeutów, ok. 30 diagnostów laboratoryjnych i ok. 30 ratowników medycznych. Szkolenia dla wszystkich grup będą odbywały się cyklicznie. Przewiduje się prowadzenie szkoleń teoretycznych i warsztatów praktycznych. Główne zagadnienia będące tematami szkoleń to:

1) diagnostyka hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych,
2) leczenie substytucyjne hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych,
3) monitorowanie leczenia substytucyjnego,
4) rozpoznawanie i leczenie powikłań samej choroby (np. artropatii), jak również leczenia substytucyjnego (np. inhibitorów czynników krzepnięcia),
5) zasady rehabilitacji pacjentów z artropatią hemofilową,
6) problemy pielęgnacyjne u pacjentów z hemofilią i pokrewnymi skazami krwotocznymi,
7) zabiegi chirurgiczne u pacjentów z hemofilią i pokrewnymi skazami krwotocznymi,
8) zasady immunotolerancji,
9) postępy leczenia, w tym terapia genowa i czynniki krzepnięcia poddawane modyfikacji genetycznej,
10) problematyka skaz krwotocznych u kobiet,
11) zasady leczenia chorób współistniejących u pacjentów z hemofilią i pokrewnymi skazami krwotocznymi w tym populacji osób w podeszłym wieku,
12) zasady organizacji ośrodków leczenia hemofilii.

W związku z zakładanym od 2013 r. przeprowadzeniem terapii immunotolerancji (ITI) dla pacjentów z hemofilią i krążącym antykoagulantem – inhibitorem, kwalifikacji pacjentów do powyższej terapii dokonywać będzie zespół ekspertów, powołany przez Ministra Zdrowia, na wniosek Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie, składający się od 4 do 6 osób. Z uwagi na charakter terapii jak również na wysokie koszty jej przeprowadzenia, członkowie zespołu powinni spełniać następujące kryteria:

1) specjalizacja co najmniej z chorób wewnętrznych,
2) doświadczenie w leczeniu hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych,
3) publikacje z zakresu hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych,

4) aktywny udział w pracach towarzystw naukowych na rzecz wrodzonych skaz krwotocznych.

Do głównych zadań powyższego zespołu należeć będzie:

1) monitorowanie prawidłowej realizacji terapii immunotolerancji, w oparciu o wiedzę medyczną, z uwzględnieniem możliwości finansowych w ramach środków przeznaczonych na realizację programu zdrowotnego pn. „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018",
2) prowadzenie prac mających na celu dopracowanie założeń i warunków prowadzonej terapii immunotolerancji,
3) podejmowanie ostatecznej decyzji o kwalifikacji pacjentów do powyższej terapii,
4) określenie, wraz z lekarzem prowadzących, indywidualnych schematów immunotolerancji oraz indywidualnego dawkowania podawanych czynników omijających (aPPC, rVIIa),
5) podejmowanie decyzji, wraz z lekarzem prowadzących, dotyczących oceny wyników immunotolerancji oraz o jej zaprzestanie u danego pacjenta.

W celu bieżącego monitorowania realizacji Programu, w szczególności w zakresie stosowania koncentratów czynników krzepnięcia planuje się wprowadzenie obowiązku prowadzenia zarówno przez RCKiK jak i referencyjne oraz wojewódzkie ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, ewidencji chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne w formie aplikacji komputerowej, która będzie gromadziła i udostępniała dane upoważnionym osobom i podmiotom, w czasie rzeczywistym za pośrednictwem portalu internetowego, w oparciu o i w powiązaniu z bazą danych prowadzaną w ramach realizacji programu **lekowego** NFZ pn. *„Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B"*, docelowo w zakresie:

1) rodzaju skazy krwotocznej i jej ciężkości (poziom czynników krzepnięcia na podstawie którego postawiono rozpoznanie),
2) rejestru krwawień dla danego pacjenta,
3) działań niepożądanych:
   - wystąpienia inhibitora, jego poziomu i daty wykrycia,
   - wystąpienia zakażeń będących następstwem stosowania koncentratów czynników krzepnięcia (leków substytucyjnych): WZW, vCJD, HIV,

- wystąpienia reakcji alergicznych,

4) rodzaju, serii, wielkości opakowania i dawki dostarczanych i przyjmowanych leków substytucyjnych,
5) miejsca, daty, godziny zamówienia oraz daty i godziny dostawy poszczególnych opakowań leków substytucyjnych,
6) miejsca, daty oraz rodzaju świadczeń udzielanych dla poszczególnych pacjentów,
7) zakwalifikowania do podawania desmopresyny (DDAVP),
8) danych na temat prowadzonych w Polsce badań klinicznych leków substytucyjnych, DDAVP (lub odpowiedników): danych sponsora badania lub jego prawnego przedstawiciela, adresu i nazwy ośrodka, daty rozpoczęcia, nazwiska badacza, danych pacjentów biorących w nich udział, informacji na temat protokołu badania,
9) kosztów świadczeń, leków substytucyjnych oraz DDAVP dla każdego pacjenta,
10) rejestracji zgonów.

Prowadzona ewidencja ma umożliwić:

1) unifikację systemu ewidencji chorych na hemofilię;
2) scalenie danych chorych na hemofilie i pokrewne skazy krwotoczne leczonych w ramach niniejszego Programu oraz programu **lekowego NFZ** pn. „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B";
3) określenie zachorowalności i ilości pacjentów w powiatach i województwach,
4) planowanie zapotrzebowania na poszczególne leki substytucyjne,
5) określanie przewidywanego czasu życia pacjentów chorych na poszczególne skazy krwotoczne,
6) dostęp do istotnych klinicznie i diagnostycznie danych pacjentów,
7) monitorowanie sposobu leczenia pacjentów, analizę jego efektywności oraz efektywności kosztowej w poszczególnych ośrodkach,
8) optymalizację kosztów leczenia,
9) generowanie raportów na tematy istotne klinicznie i społecznie,
10) planową modyfikację priorytetów Programu.

Koncentraty czynników krzepnięcia oraz desmopresyna będą wydawane do leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne przez regionalne centra

krwiodawstwa i krwiolecznictwa na podstawie zapotrzebowania, **którego wzór określa Załącznik** nr 6 do Programu.

4) Źródła finansowania:

a) budżet ministra właściwego do spraw zdrowia

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

Podstawę prawną finansowania przedmiotowego Programu dotyczącego istotnych problemów zdrowotnych określonej populacji, przy istniejących możliwościach ich eliminowania bądź ograniczania, stanowi art. 48 ust. 1 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. *o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych* (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz. 1027, z późn. zm.).

b) udział własny realizatorów

brak

c) inne

brak

5) Szczegółowy harmonogram działań wynikający z formy opisowej

Zaopatrzenie w koncentraty czynników krzepnięcia oraz desmopresynę będzie odbywało się zgodnie z ustawą z dnia 29 stycznia 2004 r. - *Prawo zamówień publicznych* (Dz. U. z 2010 r., Nr 113, poz. 759, z późn. zm.). Zakup będzie dokonywany, w pierwszym etapie, przez Narodowe Centrum Krwi, zwane dalej NCK, za pośrednictwem Zakładu Zamówień Publicznych przy Ministrze Zdrowia. Zakupione koncentraty czynników krzepnięcia będą przekazywane przez Narodowe Centrum Krwi, na podstawie stosownych umów, regionalnym centrom krwiodawstwa i krwiolecznictwa (RCKiK), które to będą odpowiedzialne za przechowywanie, magazynowanie i wydawanie ich do leczenia pacjentom, na podstawie imiennego zapotrzebowania wystawianego przez lekarza leczącego. W kolejnym etapie, planowanym najwcześniej od **2014 roku**, zakup będzie dokonywany przez realizatorów programu wybranych w drodze konkursu, tj. Referencyjne Ośrodki

Leczenia Hemofilii, zwane dalej ROLH, i Wojewódzkie Ośrodki Leczenia Hemofilii, zwane dalej WOLH za pośrednictwem Zakładu Zamówień Publicznych przy Ministrze Zdrowia, na podstawie art. 16 ust. 1 ww. ustawy. Korzystając z powyższego przepisu, realizatorzy będą wspólnie przeprowadzali postępowanie i udzielenie zamówienia, wyznaczając spośród siebie zamawiającego upoważnionego do przeprowadzenia postępowania i udzielenia zamówienia w ich imieniu i na ich rzecz.

2012

1. Wyłonienie Jednostki Koordynującej Program .
2. Zakup koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny.
3. Pierwszy cykl warsztatów szkoleniowo – naukowych dla kadry medycznej przygotowujących do realizacji celów Programu.

2013

1. Zakup koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny.
2. Drugi cykl warsztatów szkoleniowo – naukowych dla kadry medycznej przygotowujących do realizacji celów Programu.

2014

1. Zakup koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny.
2. Wyspecjalizowanie dwóch ośrodków referencyjnych.
3. Trzeci cykl warsztatów szkoleniowo – naukowych dla kadry medycznej przygotowujących do realizacji celów Programu.

2015

1. Zakup koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny.
2. Wyspecjalizowanie wszystkich wojewódzkich ośrodków leczenia hemofilii i dwóch ośrodków referencyjnych.
3. Czwarty cykl warsztatów szkoleniowo – naukowych dla kadry medycznej przygotowujących do realizacji celów Programu.

2016

1. Zakup koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny.

2. Wyspecjalizowanie kolejnego referencyjnego ośrodka leczenia hemofilii.
3. Piąty cykl warsztatów szkoleniowo – naukowych dla kadry medycznej przygotowujących do realizacji celów Programu.

2017

1. Zakup koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny.
2. Wyspecjalizowanie kolejnego referencyjnego ośrodka leczenia hemofilii.
3. Szósty cykl warsztatów szkoleniowo – naukowych dla kadry medycznej przygotowujących do realizacji celów Programu.

2018

1. Zakup koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny.
2. Wyspecjalizowanie kolejnego referencyjnego ośrodka leczenia hemofilii.
3. Siódmy cykl warsztatów szkoleniowo – naukowych dla kadry medycznej przygotowujących do realizacji celów Programu.

6) Wskaźniki monitorowania oczekiwanych efektów

Ewaluację i monitorowanie Programu będzie prowadzić Narodowe Centrum Krwi (NCK) we współpracy z Jednostką Koordynującą. RCKiK, ROLH, WOLH oraz Jednostka Koordynującą będą zobowiązane do systematycznej współpracy z NCK, celem zabezpieczenia odpowiedniej ilości czynników krzepnięcia i desmopresyny na terenie całego kraju. Wszystkie zakupione leki tworzą ogólnopolską pulę leków. W przypadku zaistnienia konieczności dokonania przesunięć, daje to możliwość sprawnej wymiany leków w pierwszym etapie między RCKiK, w kolejnych etapach pomiędzy ROLH, WOLH i zapobiega przeterminowaniu leków, bądź zaleganiu w magazynach bez możliwości ich wykorzystania. Wszelkie przesunięcia, w stosunku do przydzielonej puli leków na poszczególne województwa, będą możliwe za zgodą Narodowego Centrum Krwi. RCKiK oraz ROLH i WOLH będą zobowiązane do systematycznego sporządzania raportów, zgodnie z wytycznymi NCK. Skuteczność podejmowanych działań i wykorzystywanych metod w kolejnych latach realizacji Programu będzie oceniana na podstawie:

- liczby referencyjnych ośrodków leczenia hemofilii (2 ośrodki w 2014 r., 4 ośrodki w 2015 r., 5 ośrodków w 2016 r., 6 ośrodków w 2017 r.7 ośrodków w 2018 r.),
- liczby wojewódzkich ośrodków leczenia hemofilii (15 ośrodków dla dzieci i 16 ośrodków dla dorosłych w 2015 r.),
- liczby osób przeszkolonych w ramach programu, w tym: lekarzy, pielęgniarek, fizjoterapeutów, diagnostów laboratoryjnych, ratowników medycznych,
- zwiększania ilości dostępnych danych zawartych w ewidencji chorych do pełnego zakresu zaplanowanego do osiągnięcia w roku 2018,
- upowszechnienia leczenia w warunkach domowych w poszczególnych skazach krwotocznych,
- upowszechnienia stosowania wtórnej profilaktyki,
- poszerzenia zakresu stosowania immunotolerancji,
- wprowadzenia i upowszechnienia leczenia desmopresyną wybranych skaz krwotocznych,
- zwiększenia dostępności do leczenia chirurgicznego i neurochirurgicznego ze wskazań życiowych, a także w trybie planowym.

Wskaźniki zużycia koncentratów czynników krzepnięcia w 2018 roku powinny osiągnąć następujące wartości:

- 6 j.m. czynnika VIII na 1 mieszkańca,
- 0,7 j.m. czynnika IX na 1 mieszkańca,
- 0,4 j.m. czynnika VIII zawierającego czynnik von Willebranda na 1 mieszkańca,
- 0,5 j.m. aPCC na 1 mieszkańca,
- 0,03 j.m. PCC na 1 mieszkańca,
- 0,02 j.m. czynnika VII na 1 mieszkańca,
- 0,8 µg rekombinowanego czynnika VIIa na 1 mieszkańca,
- 7 µg fibrynogenu na 1 mieszkańca.

VI. Kosztorys

Szczegółowy zakres zadań do realizacji wraz z kosztorysem na lata 2012-2018

Nazwa zadania	Wydatki w PLN (bieżące)						
	2012	2013	2014	2015	2016	2017	2018
Zaopatrzenie w koncentraty czynników krzepnięcia	288 398 452	210 mln	247 mln	271 mln	295 mln	318 mln	343 mln
Zaopatrzenie w desmopresynę	142 938	212 tys.	130 tys.	145 tys.	162 tys.	172 tys.	192 tys.
Warsztaty szkoleniowo naukowe przygotowujące kadrę medyczną do realizacji celów Programu	32 105	144 tys.	144 tys.	144 tys.	144 tys.	144 tys.	144 tys.
Koordynacja Programu	50 000.	200 tys.	200 tys.	200 tys.	200 tys.	200 tys.	200 tys.
RAZEM	**288 623 495**	**210 556 000**	**247 474 000**	**271 489 000**	**295 506 000**	**318 516 000**	**343 536 000**

Szczegółowa kalkulacja kosztów przeprowadzenia szkoleń stanowi Załącznik nr 4 do Programu.

VII. Realizatorzy Programu

Przepisy właściwe dotyczące wyboru realizatorów Programu określa art. 48 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. *o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych*. Realizatorem programu, na pierwszy etapie (tj. do momentu wyspecjalizowania ROLH i WOLH), będzie Narodowe Centrum Krwi. W kolejnych etapach realizatorami programu będą wybrane w drodze konkursu referencyjne i wojewódzkie ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych (tj. odpowiednio ROLH i WOLH).

Do zadań Narodowego Centrum Krwi będzie należało:

1) w pierwszym etapie:

a) zakup, za pośrednictwem Zakładu Zamówień Publicznych przy Ministrze Zdrowia, koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, zgodnie z przepisami ustawy z dnia 29 stycznia 2004 r. - *Prawo zamówień publicznych*;
b) przygotowywanie rozdzielników i przydział zakupionych koncentratów czynników krzepnięcia dla poszczególnych województw,
c) zawarcie umów z RCKiK posiadającymi doświadczenie w realizacji *„Narodowego Programu Leczenia Hemofilii na lata 2005-2011", na przechowywanie, dystrybucję, wydawanie koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny* oraz *zapewnienie utylizacji odpadów medycznych powstałych w związku z leczeniem w warunkach domowych.*
d) dokonywanie przesunięć, w stosunku do przydzielonej puli leków dla poszczególnych województw, stosownie do zapotrzebowania na terenie całego kraju,
e) ewaluacja i monitorowanie realizacji programu przez poszczególne podmioty;

2) po wyspecjalizowaniu ROLH i WOLH:

a) przeprowadzanie procedury konkursowej na wybór realizatorów programu,
b) zawieranie umów z realizatorami Programu,
c) koordynacja procedury zakupu przez ROLH i WOLH koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny (zlecanie uruchamiania procedur przetargowych Zakładowi Zamówień Publicznych przy Ministrze Zdrowia, monitorowanie przebiegu procedury przetargowej pod kątem zapewnienia ciągłości leczenia pacjentom, etc.),
d) przygotowywanie rozdzielników i przydział zakupionych koncentratów czynników krzepnięcia dla poszczególnych województw,
e) dokonywanie przesunięć, w stosunku do przydzielonej puli leków dla poszczególnych województw, stosownie do zapotrzebowania na terenie całego kraju,
f) ewaluacja i monitorowanie realizacji programu przez poszczególne podmioty.

Do momentu dokonania niezbędnych zmian organizacyjnych i legislacyjnych, warunkujących wyspecjalizowanie ośrodków hematologicznych w zakresie zapewnienia kompleksowej opieki nad chorymi na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, przewiduje się, iż zadania w zakresie przechowywania, dystrybucji

koncentratów czynników krzepnięcia, a także ewidencji chorych w aplikacji komputerowej będą realizowane przez jednostki posiadające doświadczenie w realizacji programu pn.: *„Narodowy Program Leczenia Hemofilii na lata 2005-2011"*, czyli RCKiK.

W kolejnym etapie realizacji Programu realizatorami będą referencyjne i wojewódzkie ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych (ROLH, WOLH), wyłonione w drodze postępowania konkursowego, przy uwzględnieniu art. 114-117 ustawy z dnia 15 kwietnia 2011 r. o działalności leczniczej (Dz. U. Nr 112, poz. 654, z późn. zm.) spełniające następujące warunki:

Referencyjne ośrodki leczenia hemofilii (ROLH):
ROLH mogą być tworzone na bazie klinik albo oddziałów hematologicznych. Kierownikiem ROLH może być specjalista w dziedzinie hematologii albo onkologii i hematologii dziecięcej
Kryteria wyboru realizatora:

1) dostępność do badań:
   a) umożliwiających specjalistyczną diagnostykę hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych (w miejscu), w tym: wykonanie testu korekcji osoczem prawidłowym, ocena aktywności czynników krzepnięcia I-XIII, oznaczenie miana inhibitora czynnika VIII i IX (test Bethesda w modyfikacji Nijmegen), oznaczenie stężenia antygenu czynnika von Willebranda i aktywności kofaktora rystocetyny, zbadanie czasu okluzji w aparacie PFA-100, agregacji płytek krwi,
   b) oznaczenie zawartości glikoprotein płytkowych metodą cytometrii przepływowej,
   c) badań wirusologicznych (anty-HCV, anty-HIV 1/2, HBsAg, RNA HCV, RNA HIV, DNA HBV) - zapewnienie dostępu,
   d) konsultacji genetycznych między innymi dla nosicielek hemofilii.
2) 24 godzinny dyżur konsultacyjny dla wojewódzkich ośrodków leczenia skaz krwotocznych,
3) 24 godzinna możliwość hospitalizacji w razie wystąpienia powikłań krwotocznych wymagających leczenia szpitalnego,
4) zapewnienie dostępu do operacji chirurgicznych w tym ortopedycznych,

5) zapewnienie opieki psychologicznej,
6) zapewnienie rehabilitacji,
7) zapewnienie dostępu do leczenia stomatologicznego, konsultacji ortopedycznej, chirurgicznej, specjalisty chorób zakaźnych, genetyka klinicznego, ginekologa – położnika.

Zadania ROLH:

1) zakup, za pośrednictwem Zakładu Zamówień Publicznych przy Ministrze Zdrowia koncentratów czynników krzepnięcia oraz desmopresyny na podstawie art. 16 ust. 1 ustawy z dnia 29 stycznia 2004 roku *Prawo zamówień publicznych*,
2) realizacja i nadzór nad świadczeniem „leczenie w warunkach domowych" koncentratami czynników krzepnięcia,
3) administrowanie ewidencją pacjentów na podległym terenie,
4) zgłaszanie kandydatów do terapii immunotolerancji zespołowi kwalifikującemu oraz przeprowadzanie procesu immunotolerancji (ITI),
5) kwalifikacja i podawanie czynników omijających,
6) monitorowanie działań niepożądanych leków substytucyjnych na podległym terenie,
7) zapewnienie właściwych warunków do przechowywania koncentratów czynników krzepnięcia – chłodnia o temp. 4-6 ^{o} C oraz desmopresyny – chłodnia o temp. 2-8 ^{o} C,
8) zapewnienie całodobowego dostępu do czynników krzepnięcia,
9) zapewnienie dystrybucji czynników krzepnięcie na terenie swojego działania oraz w razie potrzeby na terenie całego kraju, poprzez nawiązanie współpracy z realizatorami *„Narodowego Programu Leczenia Hemofilii na lata 2005-2011"* w przedmiotowym zakresie, w poszczególnych województwach, tj. RCKiK.

Wojewódzkie ośrodki leczenia hemofilii (WOLH):

WOLH mogą być tworzone na bazie oddziałów hematologicznych, chorób wewnętrznych lub pediatrycznych.

Kryteria wyboru realizatora:

1) dostępność do badań:
   a) umożliwiających podstawową diagnostykę skaz krwotocznych: badań przesiewowych układu hemostazy (w miejscu), w tym: wykonanie APTT,

czasu protrombinowego, testu korekcji osoczem prawidłowym, czasu trombinowego, czasu krwawienia, pomiaru liczby płytek krwi, aktywności czynników krzepnięcia VIII, IX oraz miana inhibitora czynnika VIII i IX (test Bethesda w modyfikacji Nijmegen) - w lokalizacji lub zapewnienie dostępu, pozostałych czynników krzepnięcia, w tym czynnika von Willebranda;

b) wirusologicznych (w tym HCV, HBV, HIV).

2) 24 godzinny dyżur konsultacyjny dla lokalnych świadczeniodawców,3)24 godzinna możliwość hospitalizacji w razie wystąpienia powikłań krwotocznych
3) wymagających leczenia szpitalnego,
4) zapewnienie osłony hemostatycznej przy zabiegach stomatologicznych i drobnych zabiegach chirurgicznych oraz fizjoterapii,
5) zapewnienie dostępu do leczenia stomatologicznego,
6) dostęp do opieki psychologicznej.

Zadania WOLH:

1) zakup koncentratów czynników krzepnięcia oraz desmopresyny, za pośrednictwem Zakładu Zamówień Publicznych przy Ministrze Zdrowia na podstawie art. 16 ust. 1 ustawy z dnia 29 stycznia 2009 roku *Prawo zamówień publicznych*,
2) realizacja i nadzór nad świadczeniem „leczenie w warunkach domowych" koncentratami czynników krzepnięcia,
3) administrowanie ewidencją pacjentów na podległym terenie,
4) przeprowadzanie procesu immunotolerancji (ITI) wg zaleceń zespołu kwalifikującego oraz ROLH,
5) podawanie czynników „omijających" wg zaleceń ROLH,
6) monitorowanie działań niepożądanych leków hemostatycznych na podległym terenie,
7) przeprowadzanie szkoleń dla pacjentów oraz ich rodzin,
8) zapewnienie właściwych warunków do przechowywania koncentratów czynników krzepnięcia – chłodnia o temp. 4-6 $^{\circ}$C oraz desmopresyny – chłodnia o temp. 2-8 $^{\circ}$C,
9) zapewnienie całodobowego dostępu do czynników krzepnięcia,
10) zapewnienie dystrybucji czynników krzepnięcie na terenie swojego działania oraz w razie potrzeby na terenie całego kraju, poprzez nawiązanie współpracy

z realizatorami *„Narodowego Programu Leczenia Hemofilii na lata 2005-2011"* w przedmiotowym zakresie, w poszczególnych województwach, tj. RCKiK.

Główne kryteria wyboru koordynatora (Jednostki Koordynującej) Programu

Ze względu na wielokierunkowe działania w ramach Programu istnieje konieczność wyłonienia Jednostki Koordynującej - w drodze postępowania konkursowego, która:

1) posiada doświadczenie w realizacji i koordynacji zadań objętych Programem,
2) zapewni monitorowanie efektów realizacji zadań Programu,
3) posiada kadrę i zaplecze merytoryczne gwarantujące realizację zadań,
4) zapewni w odpowiednim zakresie kontynuację działań podjętych w „Narodowym Programie Leczenia Hemofilii na lata 2005-2011" realizowanym w latach 2005-2011,
5) zapewni współpracę pomiędzy realizatorami Programu, konsultantami krajowymi i wojewódzkimi, wojewódzkimi koordynatorami ds. leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych u dzieci i dorosłych, wojewódzkimi koordynatorami ds. dystrybucji czynników krzepnięcia, towarzystwami naukowymi w dziedzinie m.in. hematologii i transfuzjologii klinicznej oraz Narodowym Funduszem Zdrowia,
6) zapewni racjonalne koszty koordynacji Programu.

Do zadań Jednostki Koordynującej należy:

1) harmonizacja wszystkich działań podejmowanych w Programie,
2) sporządzanie rocznych raportów z realizowanych działań w Programie, obejmujących w szczególności dane epidemiologiczne, rodzaj i liczbę świadczeń zdrowotnych udzielonych pacjentom, rodzaj i liczbę wykorzystanych koncentratów czynników krzepnięcia, analizę danych pochodzących z ewidencji prowadzonej w ramach Programu.
3) realizacja zadania dotyczącego organizacji i prowadzenia warsztatów naukowo-szkoleniowych dla osób zaangażowanych w leczenie hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych z terenu całej Polski,
4) coroczne określanie proporcji i rodzaju koncentratów czynników krzepnięcia VIII i IX, niezbędnych do zakupu dla pacjentów chorych na hemofilię w ramach określonych w Programie ilości na dany rok, przy uwzględnieniu aktualnych

danych medycznych i doniesień naukowych oraz możliwości finansowych budżetu państwa.

VIII. Kontynuacja działań podjętych w Programie

Program, którego celem jest poprawa wyników leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne oraz poprawa jakości życia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne ze względu na specyfikę wrodzonych skaz krwotocznych oraz ich terapii wymaga ciągłej realizacji. Przewidywana jest kontynuacja Programu w kolejnych latach z uwzględnieniem nowych **produktów leczniczych** i nowych metod dostępnych w leczeniu tej grupy chorych.

Piśmiennictwo:

1. Windyga J, Chojnowski K, Klukowska A, Łętowska M, Mital A, Podolak-Dawidziak M, Zdziarska J, Zawilska K, i wsp. Polskie zalecenia postępowania we wrodzonych skazach krwotocznych na tle niedoboru czynników krzepnięcia. Acta Haematologica Polonica 2008;39(3):537-579
2. Windyga J. Jak w przyszłości będziemy leczyć hemofilię? Acta Haematologica Polonica 2008;39 (4):651-660
3. Łaguna P. Profilaktyka u pacjentów z hemofilią powikłaną inhibitorem, Prace poglądowe Pol. Merk. Lek. 2011;XXX(177): 211-214
4. Windyga J. Osoczopochodne koncentraty czynników krzepnięcia. Acta Haematologica Polonica 2009;40(2):501-510
5. B.T.Colvin, J. Astermark, K.Fischer, A. Gringeri, R. Lassila, W. Schramm, A. Thomas and J. Ingerslev for The Inter Disciplinary Working Group European principles of haemophilia care, Haemophilia 2008;39(14): 361-374

Załącznik nr 1

WOJEWÓDZCY KOORDYNATORZY DS. LECZENIA HEMOFILII I POKREWNYCH SKAZ KRWOTOCZNYCH U DZIECI*

Lp.	Nazwa Ośrodka	Kierownik	Członek Zespołu Koordynującego Program „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B"	Adres elektroniczny
1	Katedra i Klinika Pediatrii, Hematologii i Onkologii WUM; SPDSK, 00-576 Warszawa, ul. Marszałkowska 24	prof. Michał Matysiak	dr Anna Klukowska (przewodniczący Zespołu)	aklukowska@poczta.onet.pl michal.matysiak@litewska.edu.pl
2	Dziecięcy Szpital Kliniczny UM; Klinika Hematologii i Onkologii Dziecięcej; ul. Chodźki 2, 20-093 Lublin	prof. Jerzy R. Kowalczyk	lek. Irena Woźnica-Karczmarz	jerzy.kowalczyk@dsk.lublin.pl irena.woznica@dsk.lublin.pl
3	Akademicki Szpital Kliniczny, Katedra i Klinika Transplantacji Szpiku, Onkologii i Hematologii Dziecięcej ul. O. Bujwida 44, 50-368 Wrocław	prof. Alicja Chybicka	dr Grzegorz Dobaczewski	g.dobacz@gmail.com
4	Gdański Uniwersytet Medyczny, Katedra i Klinika Pediatrii, Hematologii, Onkologii i Endokrynologii, ul. Dębinki 7, 80-211 Gdańsk	prof. Anna Balcerska	dr Marek Wlazłowski	marekwlazlowski@gmail.com
5	Samodzielny Publiczny Szpital Kliniczny Nr 1, Katedra i Klinika Pediatrii, Hematologii i Onkologii Dziecięcej ŚUM, ul. 3 Maja 13/15 41-800 Zabrze	prof. Tomasz Szczepański	dr Anna Janik-Moszant	ajanik@szpital.zabrze.pl
6	Szpital Wojewódzki, samodzielny Publiczny Zakład Opieki Zdrowotnej im. Karola Marcinkiewicza ul. Zyty 26; 65-045 Zielona Góra	dr Kazimiera Barczyk	dr Dariusz Wasiński	wadar.zgora@wp.pl

7	Specjalistyczny Zespół Opieki Zdrowotnej nad Matką i Dzieckiem; Oddział Chorób Wewnętrznych i Heamatologii ul. B. Krysiewicza 7/8 61-825 Poznań	dr Halina Bobrowska	dr Halina Bobrowska	bober@pro.onet.pl
8	Samodzielny Publiczny DziecięcySzpital Kliniczny; Klinika Onkologii i Hematologii Dziecięcej ul. Waszyngtona 17 15-274 Białystok	prof. Maryna Krawczuk - Rybak	dr Łucja Dakowicz	lucjadakowicz@gmail.com
9	Szpital Uniwersytecki im. dr A. Jurasza; Klinika Pediatrii, Hematologii i Onkologii ul Skłodowskiej-Curie 9 85-094 Bydgoszcz	prof. Mariusz Wysocki	dr Andrzej Kołtan	akoltan@by.home.pl
10	Szpital Wojewódzki nr 2 w Rzeszowie; Oddział Pediatrii z Pododdziałem Neurologii Dziecięcej ul. Lwowska 60 35-301 Rzeszów	doc. Bartosz Korczowski	doc. Bartosz Korczowski	korczowski@op.pl
11	Wojewódzki Specjalistyczny szpital Dziecięcy; Oddział Onkologii i Heamtologii Dziecięcej ul. Żołnierska 18 10-561 Olsztyn	dr Wanda Badowska	dr Wanda Badowska	hematologia@wssd.olsztyn.pl
12	Samodzieny Publiczny Szpital Kliniczny Nr 1 im. Prof. Tadeusza Sokołowskiego; Klinika Pediatrii, Hematologii i Onkologii Dziecięcej PAM ul. Unii Lubelskiej 1 71-252 Szczecin	prof. Tomasz Urasiński	prof. Tomasz Urasiński	urasin@pam.szczecin.pl
13	Uniwersytecki Szpital Dziecięcy; Klinika Onkologii i Hematologii Dziecięcej ul. Wielicka 265 30-663 Kraków	prof. Walentyna Balwierz	prof. Walentyna Balwierz	walentyna@balwierz.com

14	Uniwersytecki szpital Kliniczny Nr 4; Klinika Onkologii, Hematologii i Diabetologii, I Katedra Pediatrii Uniwersytetu Medycznego im. M. Konopnickiej ul. Sporna 36/50 91-738 Łódź	prof. Wojciech Młynarski	dr Magdalena Kostrzewska	makostrzewska@o2.pl
15	Wojewódzki Specjalistyczny Szpital Dziecięcy, Oddział Hematologiczno-onkologiczny Kielce, ul. Langiewicza 2	dr Grażyna Karolczyk	dr Grażyna Karolczyk	karolczykg@chok.kielce.pl

*** wykaz wojewódzkich koordynatorów ds. leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych u dzieci będzie aktualizowany na bieżąco**

Załącznik nr 2

WOJEWÓDZCY KOORDYNATORZY DS. LECZENIA HEMOFILII I POKREWNYCH SKAZ KRWOTOCZNYCH U DOROSŁYCH*

Lp.	Nazwa ośrodka	Kierownik	Członek Zespołu Koordynującego
1	woj. Mazowieckie: Instytut Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie	prof. Krzysztof Warzocha	prof. Jerzy Windyga
2	woj. Lubelskie: Katedra i Klinka Hematologii AM w Lublinie	prof. Anna Dmoszyńska	dr Magdalena Górska-Kosicka
3	woj. Dolnośląskie: Katedra i klinika Hematologii, Nowotworów Krwi i transplantacji szpiku AM, Wrocław	prof. Kazimierz Kuliczkowski	prof. dr hab. Małgorzata Kuliszkiewicz-Janus
4	woj. Pomorskie: Klinika Hematologii GUM w Gdańsku	prof. Andrzej Hellmann	dr n. med. Andrzej Mital
5	woj. Śląskie: Klinika Hematologii i Transplantacji Szpiku ŚUM Katowice	prof. Sławomira Kyrcz-Krzemień	dr hab. med. Małgorzata Krawczyk-Kuliś (zastępca: dr Michał Jamrozik)
6	woj. Lubuskie: Oddział Hematologii w Szpitalu Wojewódzkim SP ZOZ im. K. Marcinkowskiego w Zielonej Górze	dr Alina Świderska	dr Alina Świderska
7	woj. Wielkopolskie: Oddział Hematologii i Chorób Wewnętrznych Wielospecjalistycznego Szpitala im. J. Strusia w Poznaniu	prof. Krystyna Zawilska	prof. dr hab. med. Krystyna Zawilska
8	woj. Podlaskie: Klinika Hematologii USK, Białystok	prof. Janusz Kłoczko	dr Jarosław Sokołowski
9	woj. kujawsko – pomorskie: Oddział Hematologii Szpitala Uniwersyteckiego nr 2 w Bydgoszczy oraz, Oddział Hematologii Specjalistycznego szpitala Miejskiego w Toruniu	dr med. Gadomska	dr Danuta Błońska, dr Aleksandra Kostyra
10	woj. Podkarpackie: Wojewódzki Szpital Specjalistyczny Oddział Chorób Wewnętrznych z Pododdziałem Hematologii w Rzeszowie	dr Starzak-Gwóźdź	dr Alicja Wysocka

11	woj. warmińsko – mazurskie: Oddział Hematologiczny WSS w Olsztynie	dr Ewa Wojciechowska	dr Radosław Bogucki
12	woj. Zachodniopomorskie: Klinika Hematologii PUM w Szczecinie	prof. Barbara Zdziarska	dr med. Renata Guzicka-Kazimierczak
13	woj. Małopolskie: Szpital Uniwersytecki w Krakowie, Klinika Hematologii CMUJ	prof. dr hab. med. Aleksander B. Skotnicki,	prof. dr hab. med. Aleksander B. Skotnicki
14	woj. Łódzkie: Klinika Hematologii UM w Łodzi	prof. Tadeusz Robak	prof. dr hab. med. Krzysztof Chojnowski —
15	woj. świętokrzyskie, Oddział Hematologii Świętokrzyskiego Centrum Onkologii	dr Maria Nowakowska-Domagała	dr Arkadiusz Drobiecki –
16	woj. Opolskie: Oddział Hematologii Szpitala Wojewódzkiego w Opolu	dr n. med. Dariusz Woszczyk	dr med. Dariusz Woszczyk

*** Wykaz wojewódzkich koordynatorów ds. leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych u dorosłych będzie aktualizowany na bieżąco**

Załącznik nr 3

WOJEWÓDZCY KOORDYNATORZY DS. DYSTRYBUCJI KONCENTRATÓW CZYNNIKÓW KRZEPNIĘCIA i DESMOPRESYSNY*

RCKiK	Województwo	Imię i nazwisko	Stanowisko
Białystok	podlaskie	prof. dr hab. Piotr Radziwon	Dyrektor RCKiK w Białymstoku
Bydgoszcz	kujawsko-pomorskie	lek. med. Danuta Boguszyńska	Zastępca Dyrektora ds. Medycznych
Gdańsk	pomorskie	lek. med. Jolanta Juścińska	Z-ca Dyrektora ds. Medycznych, RCKiK w Gdańsku
Katowice	śląskie	lek. med. Bożena Dyrbańska	Z-ca Dyrektora ds. Medycznych RCKiK w Katowicach
Kielce	świętokrzyskie	lek. med. Zdzisława Sitarz-Żelazna	Z-ca Dyrektora ds. Medycznych RCKiK w Kielcach
Kraków	małopolskie	lek. med. Beata Mazurek	Kierownik Działu Ekspedycji, Specjalista Transfuzjologii Klinicznej, RCKiK w Krakowie
Lublin	lubelskie	lek. med. Hanna Radwan-Wieczorek	Z-ca Dyrektora ds. Medycznych RCKiK w Lublinie
Łódź	łódzkie	dr n. med. Michał Zamolski	Kierownik Działu Dawców i Ekspedycji RCKiK w Łodzi
Olsztyn	warmińsko-mazurskie	lek. med. Grażyna Kula	Dyrektor RCKiK
Opole	opolskie	lek. med. Andrzej Ostrowiecki	Z-ca Dyrektora ds. Medycznych RCKiK
Poznań	wielkopolskie	lek. med. Hanna Skalisz	Z-ca Dyrektora ds. Medycznych, RCKiK w Poznaniu
Rzeszów	podkarpackie	Małgorzata Zwierkowska - Tłuczek	p.o. Kierownika Sekcji Ekspedycji Krwi i jej Składników

Szczecin	zachodniopomorskie	lek. med. Ewa Kochanowicz	Kierownik Działu Ekspedycji, Specjalista Transfuzjologii Klinicznej, RCKiK w Szczecinie
Warszawa	mazowieckie	lek. med. Bożena Sobecka	Kierownik Działu Ekspedycji, RCKiK w Warszawie
Wrocław	dolnośląskie	mgr Urszula Sokalska	Kierownik Działu Ekspedycji, RCKiK we Wrocławiu
Zielona Góra	lubuskie	lek. med. Zbigniew Urbaniak	Dyrektor RCKiK w Zielonej Górze

* **Wykaz wojewódzkich koordynatorów ds. dystrybucji koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny będzie aktualizowany na bieżąco**

Załącznik nr 4

SZKOLENIA – KALKULACJA NA JEDEN ROK					
Lekarze					
Liczba grup	**Ilość osób**			**Suma grup**	**Suma uczestników**
Grupa I	30			4	120
Grupa II	30				
Grupa III	30				
Grupa IV	30				
Pielęgniarki					
Liczba grup	**Ilość osób**			**Suma grup**	**Suma uczestników**
Grupa I	30			2	60
Grupa II	30				
Fizjoterapeuci					
Liczba grup	**Ilość osób**			**Suma grup**	**Suma uczestników**
Grupa I	30			1	30
Diagności laboratoryjni					
Liczb grup	**Ilość osób**			**Suma grup**	**Suma uczestników**
Grupa I	30			1	30
Ratownicy medyczni					
Liczba grup	**Ilość osób**			**Suma grup**	**Suma uczestników**
Grupa I	30			1	30
Ilość organizowanych szkoleń w ciągu roku - 9					
Suma wszystkich uczestników szkolenia - 270 osób					
Czas trwania jednego szkolenia - 8 godz.					
Koszt szkolenia					
Wykładowca	**1h= 500 zł**	**8h= 4000 zł**			
Obsługa (sala, catering, materiały edukacyjne)	**400 zł od osoby**				
Ogólne koszty					
Wykładowca	**36 000 zł**				
Obsługa (sala, catering, materiały edukacyjne)	**108 000 zł**				
SUMA	**144 000 zł**				

Załącznik Nr 5

ADRESY OŚRODKÓW, W KTÓRYCH CHORZY NA HEMOFILIĘ MOGĄ ZNALEŹĆ FACHOWĄ OPIEKĘ

BIAŁYSTOK

Dzieci:

Klinika Onkologii i Hematologii Dziecięcej AM w Białymstoku
15-274 Białystok, ul. Waszyngtona 17 Tel. (85) 74 50 846 Sekretariat Kliniki Onkologii i Hematologii

Dorośli:

Państwowy Szpital Kliniczny Klinika Hematologii AM w Białymstoku
15-097 Białystok, ul. M. Skłodowskiej-Curie 24a Tel. (85) 746 86 03

BIELSKO-BIAŁA

Dzieci:

Szpital Pediatryczny, I Oddział Wewnętrzny 43-300 Bielsko-Biała, ul. Sobieskiego 83 Tel. (33) 812 5000 do 4 w. 250,

Dorośli:

Szpital Wojewódzki, Oddział I Wewnętrzny
43-316 Bielsko-Biała, ul. Armii Krajowej 101 Tel. (33) 81 102 270/ 810 20 00/ 810 01 45, (33) 810 22 70 oddział I wewnętrzny

BYDGOSZCZ

Dzieci:

Szpital Uniwersytecki im. dr A. Jurasza; Klinika Pediatrii, Hematologii i Onkologii
85-094 Bydgoszcz, ul Skłodowskiej-Curie 9 Tel. (52) 585 48 60- sekretariat

CHORZÓW

Dzieci:

Chorzowskie Centrum Pediatrii Odział Hematologii i Onkologii Dziecięcej 41-500 Chorzów, ul. Truchana 7 Tel. (32) 3490043, (32) 3490075, (32) 3490000

CIESZYN

Dorośli:

Zespól Zakładów Opieki Zdrowotnej, I Oddział Chorób Wewnętrznych
43-400 Cieszyn, ul. Bielska 4 Tel. (33) 852 05 11 w. 370, 371, 372

CZĘSTOCHOWA

Dzieci:

Woj. Szpital Specjalistyczny im. Najświętszej Maryi Panny Oddział Dziecięcy 42-200 Częstochowa ul. Bialska 104/118 Tel. (34) 367 36 18 (pielęgniarki); 367 36 12, (34) 367 36 20 (sekretariat)

Dorośli:

Wojewódzki Szpital Zespolony Oddział Chorób Wewnętrznych
42-200 Częstochowa, ul. PCK 1 Tel. (34) 325 48 21, (34) 325 26 11 (sekretariat)

GDAŃSK

Dzieci:

Sam. Publiczny Szpital Kliniczny nr 1 GUM w Gdańsku Klinika Chorób Dzieci
80-211 Gdańsk, ul. Dębinki 7 Tel. (58) 349 28 63, (58) 349 28 70/ (58) 349 28 80 (klinika chorób dzieci)

Dorośli:

Sam. Publ. Szpital Kliniczny nr 1 GUM w Gdańsku Klinika Hematologii 80-2 1 I Gdańsk, ul. Dębinki 7 Budynek nr 26 Tel. (58) 349 22 30, (58) 349 28 30 (klinika hematologii)

GLIWICE
Dzieci:
Szpital nr 1 Oddział Pediatrii 44-100 Gliwice, ul. Kościuszki 29 Tel. (32) 461 32 77 (oddział pediatrii), (32) 461 32 77 (sekretariat oddziału pediatrii) w. 287, 277
Dorośli:
Szpital nr 1 Oddział Chorób Wewnętrznych 44-100 Gliwice, ul. Kościuszki 29 Tel. (32) 461 32 41
GORZÓW WIELKOPOLSKI
Dorośli:
Samodzielny Publiczny Szpital Wojewódzki
Oddział Hematologii i Chorób Rozrostowych Układu Krwiotwórczego
66-400 Gorzów Wlkp., ul. Jana Dekerta 1 Tel. (95) 733 14 97-98/ (95) 733 12 22/(95) 733 12 27, (95) 733 1491 (ordynator)
KATOWICE
Dzieci: Górnośląskie Centrum Zdrowia Dziecka i Matki, Oddział Onkologii, Hematologii i Chemioterapii;
40-752 Katowice, ul. Medyków 16 Tel. (32) 207 18 00, (32) 207 17 63 (oddział onkologii, hematologii i chemioterapii)
Dorośli:
Państwowy Szpital Kliniczny, Katedra i Klinika Hematologii Śląskiego UM 40-029 Katowice, ul. Reymonta 8 Tel. (32) 259 12 00 (centrala) (32) 259 12 81 (katedra i klinika hematologii)
KIELCE
Dzieci:
Woj. Szpital Dziecięcy im. Władysława Buczkowskiego Odział Hematologiczno-Onkologiczny 25-381 Kielce, ul. Artwińskiego 3a pawilon G Tel. (41) 361 55 25 (centrala), (41) 347 05 60 (gabinet lekarski)
Dorośli:
Świętokrzyskie Centrum Onkologii, Oddział Hematologii
25-734 Kielce, ul. Artwińskiego 3 Tel. (41) 367 44 78 (centrala), (41) 367 41 82 (sekretariat oddziału hematologii)
KRAKÓW
Dzieci:
Sam. Publiczny Dziecięcy Szpital Kliniczny CM UJ Klinika Onkologii i Hematologii Dziecięcej 30-522 Kraków Prokocim, ul. Wielicka 265 Tel. (12) 658 20 11
Dorośli:
Klinika Hematologii CM W 31-501 31-501 Kraków, ul. Kopernika 17 Tel. (12) 4247600
LUBLIN
Dzieci:
Dziecięcy Szpital Kliniczny Klinika Hematologii i Onkologii
20-093 Lublin, Nr Chodźki 2 Tel. (81) 743 00 10 (centrala) (81) 718 55 20 (oddział hematologii i onkologii)
Dorośli:
Wojewódzka Przychodnia Specjalistyczna Poradnia Hematologiczna Al. Kraśnicka 100 27-718 Lublin Tel. (81) 537 42 45, SP Szpital Kliniczny Nr 1 Klinika Hematoonkologii i Transplantacji Szpiku 20-081 Lublin, ul. Staszica 11 Tel. (81) 534 54 68

ŁÓDŹ
Dzieci:
Szpital Kliniczny nr 4 UM im. M. Konopnickiej Poradnia Hematologiczna
36-150 Łódź, ul. Sporna 36/50 Tel. (42) 617 79 65, (42) 617 77 77 (centrala)
Dorośli:
Klinika Hematologii UM w Łodzi 93-510 Łódź, ul, Ciołkowskiego 2 Tel. centrala (42) 689 50 00, hematologia (42) 689 51 91 sekretariat (42) 689 51 93
OLSZTYN
Dzieci:
Woj. Specjalistyczny Szpital Dziecięcy Oddział Wewnętrzny 1, Hematologiczno-Onkologiczny 10-561 Olsztyn, ul. Żołnierska 18 Tel. (89) 533 77 01(centrala), (89) 539 33 71 (oddział hematologii)
Dorośli:
Woj. Szpital Specjalistyczny Pododdział Hematologii
10-561 Olsztyn, ul Żołnierska 18 Tel. (89) 538 63 92
OPOLE
Dzieci:
Wojewódzkie Centrum Medyczne Oddział Pediatrii ul. Witosa 26 45-418 Opole Tel. (77) 45 20 798
Dorośli:
Szpital Wojewódzki w Opolu, Oddział Hematologii
45-061 Opole, ul. Katowicka 64 Tel. (77) 443 35 95 (centrala), (77) 443 3550 (pielęgniarki oddziału hematologii)
POZNAŃ
Dzieci:
Oddział Chorób Wewnętrznych i Hematologii, Specjalistyczny ZOZ nad Matką i Dzieckiem 61-825 Poznań, ul. B. Krysiewicza 7/8 Tel. (61) 850 62 78/ (61) 850 62 79 (dyrekcja)
Dorośli:
Wielospecjalistyczny Szpital im. J. Strusia Oddział Hematologii i Chorób Wewnętrznych 61-833 Poznań, ul. Szkolna 8/12 Tel. (61) 858 5636 (sekretariat), (61)858 56 87 (pielęgniarki), (61) 858 5736
RZESZÓW
Dzieci:
Szpital Wojewódzki Nr 2 Oddział Pediatrii z Pododdziałem Neurologii Dziecięcej 35-301 Rzeszów, ul. Lwowska 60 Tel. (17) 866 47 01 (centrala), (17) 866 41 42 (sekretariat oddziału) (17) 866 41 41 (ordynator) (17) 866 40 75 (gabinet lekarski)
Dorośli:
Wojewódzki Szpital Specjalistyczny Oddział Chorób Wewnętrznych z Pododdziałem Hematologii
35-301 Rzeszów, ul. Lwowska 60 Tel. (17) 86 64 352 (oddział chorób wewnętrznych)
SZCZECIN
Dzieci:
Sam. Publiczny Szpital Kliniczny nr 1 PAM Klinika Chorób Dzieci Oddział Hematologii i Onkologii Dziecięcej
71-252 Szczecin, ul. Unii Lubelskiej 1 Tel. (91) 425 31 39 ; 425 35 39/ (91) 425 30 00 (centrala)
Dorośli:
Sam. Publiczny Szpital Kliniczny nr 1 PAN Klinika Hematologii

71-252 Szczecin, ul, Unii Lubelskiej 1 Tel. (91) 425 33 47 Przykliniczna Przychodnia Specjalistyczna Dla Dorosłych, Poradnia Hematologiczna Adres: j.w. Tel. (91) 4253398

TORUŃ

Dorośli:

Szpital Miejski im. M. Kopernika, Oddział Hematologii 87-100 Toruń ul. S. Batorego 17/19 Tel. (56) 61002 16(izba przyjęć) (56) 6100 249 (centrala)/ (56) 6100 414 (oddział hematologii), Fax (56) 655 7530

WARSZAWA

Dzieci:

Katedra i Klinika Pediatrii, Hematologii i Onkologii, 00-576 Warszawa, ul. Marszałkowska 24 Tel. pokój lekarski (22) 522 74 19, pokój pielęgniarek (22) 522 73 40; Poradnia wtorki 10-12, czwartki 12-14: Tel. (22) 52 27 415/ (22) 522 73 33 (centrala)

Dorośli:

Instytut Hematologii i Transfuzjologii 02-776 Warszawa, ul. Indiry Gandhi 14 Tel. (22) 3496 100 — centrala Poradnia Skaz Krwotocznych Rejestracja: (22) 3496 132

Gabinety lekarskie: (22) 3496 153, (22) 3496 154

Gabinet zabiegowy: (22) 3496 155

Klinika Zaburzeń Hemostazy i Chorób Wewnętrznych:

Sekretariat (22) 3496 158/3496 481

Gabinet kinezyterapii: (22) 3496 122

Pokój pielęgniarek: (22) 3496 285

Konsultacje: (22) 3496 249

Klinika Chirurgii Ogólnej i Hematologicznej:

Sekretariat (22) 3496 271

Pokój pielęgniarek: (22) 3496 259

Lekarz dyżurny: (22) 3496 276

WROCŁAW

Dzieci:

Klinika Onkologii i Hematologii Dziecięcej AM

50-345 ul. Bujwida 44 Tel. (71) 733 32 12 / (71) 77 03 212 (centrala), (71) 77 03 167/68 (sekretariat kliniki)

Dorośli:

Klinika Hematologii AM

50-367 Wrocław, ul. Pasteura 4 Tel. (71) 78401 12/ (71) 784 25 76 (centrala), Fax 784 25 76

ZABRZE

Dzieci:

Samodzielny Miejski Publiczny Szpital Kliniczny nr 1 im. prof. Stanisława Szyszko UMŚ, Klinika Hematologii Dziecięcej 41-800 Zabrze, ul. 3 Maja 13/15 Tel.(32) 370 43 72 Fax (32)273 60 75

ZIELONA GÓRA

Dzieci:

Oddział Pediatrii Szpitala Wojewódzkiego SPZOZ im. K.Marcinkowskiego

65-041 Zielona Góra, ul. Zyty 26; Tel. (68) 329 63 88 (centrala), (68) 329 63 86 (ordynator) (68) 329 63 92/ 88 (oddział pediatrii)

Dorośli:

Oddział Hematologii Szpitala Wojewódzkiego SPZOZ im. K.Marcinkowskiego

65-041 Zielona Góra, ul. Zyty 26, Tel. (68) 329 63 72, (68) 329 63 78 (ordynator)

Załącznik nr 6

Zapotrzebowanie na koncentrat czynnika krzepnięcia i desmopresyne

Imię i nazwisko.....

PESEL ☐ ☐ ☐ ☐ ☐ ☐ ☐ ☐ ☐ ☐ ☐

Data urodzenia (dd-mm-rrrr) ☐ ☐ ☐ ☐ ☐ ☐ ☐ ☐

Rodzaj skazy krwotocznej oraz postać:

☐ hemofilia A	☐ ciężka	☐ umiarkowana	☐ łagodna
☐ hemofilia B	☐ ciężka	☐ umiarkowana	☐ łagodna
☐ choroba von Willebranda	☐ typ 1	☐ typ 2	☐ typ 3

☐ niedobór czynnika VII

☐ niedobór czynnika XIII

☐ niedobór fibrynogenu

☐ nabyta hemofilia

☐ inne*

*podać jakie .....

Obecność inhibitora:

☐ niskie miano (poniżej 5 jednostek Bethesda) ☐ wysokie miano (powyżej 5 jednostek Bethesda)

Rodzaj produktu leczniczego stosowanego w programie (nazwa)

☐ koncentrat czynnika VIII	☐ koncentrat rekombinowanego czynnika VIIa
☐ koncentrat rekombinowanego czynnika VIII	☐ koncentrat fibrynogenu
☐ koncentrat czynnika IX	☐ koncentrat czynnika XIII

☐ koncentrat rekombinowanego czynnika IX

☐ koncentrat czynnika VIII zawierający czynnik von Willebranda

☐ koncentrat aktywowanych czynników zespołu protrombiny aPCC

☐ koncentrat czynników zespołu protrombiny PCC

☐ koncentrat czynnika VII

☐ desmopresyna

Data (dd-mm-rrrr) ☐ ☐ ☐ ☐ ☐ ☐ ☐ ☐

Zalecana ilość czynnika/desmopresyny .....

Wskazania do wydania koncentratów czynników krzepnięcia oraz desmopresyny, zgodnie z programem zdrowotnym Ministra Zdrowia pn. "Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2015":

1. Koncentrat czynnika VIII

☐ leczenie w warunkach domowych chorego na ciężką postać hemofilii A

☐ program ITI u dorosłego chorego na hemofilię A powikłaną inhibitorem czynnika VIII

☐ wykonanie zabiegu operacyjnego ze wskazań życiowych

☐ wykonanie planowanego zabiegu operacyjnego według wskazań lekarskich

☐ profilaktyka wtórna u dorosłego chorego na hemofilię A o ciężkim przebiegu

☐ leczenie wylewów śródstawowych u dzieci zakwalifikowanych do terapeutycznego programu zdrowotnego NFZ pn. "Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B" *)

☐ zabezpieczenie zabiegów/operacji u dzieci zakwalifikowanych do terapeutycznego programu zdrowotnego NFZ pn. "Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B" *)

inne: ☐ np.: leczenie domowe, hemofilia A łagodna postać (wylewy, krwawienia)

☐ np.: leczenie szpitalne, hemofilia A łagodna postać (wylewy, krwawienia, niewielki zabieg chirurgiczny)

2. Koncentrat rekombinowego czynnika VIII dla nowozdiagnozowanych dzieci z ciężką postacią hemofilii A, wcześniej nie leczonych czynnikami osoczopochodnymi, zakwalifikowanych do modułu pierwotnej profilaktyki krwawień czynnikami rekombinowanymi - moduł 1.2 terapeutycznego programu zdrowotnego NFZ pn. "Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B" *)

☐ zabezpieczenie wylewów śródstawowych

☐ zabezpieczenie zabiegów chirurgicznych

3. Koncentrat czynnika IX

- ☐ leczenie domowe chorego na ciężką postać hemofilii B
- ☐ program ITI u dorosłego chorego na hemofilię B powikłaną inhibitorem czynnika IX
- ☐ wykonanie zabiegu operacyjnego ze wskazań życiowych
- ☐ wykonanie zabiegu planowego według wskazań lekarskich
- ☐ profilaktyka wtórna u dorosłego chorego na hemofilię B o ciężkim przebiegu
- ☐ leczenie wylewów śródstawowych u dzieci zakwalifikowanych do terapeutycznego programu zdrowotnego NFZ pn. "Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B" **
- ☐ zabezpieczenie zabiegów/operacji u dzieci zakwalifikowanych do terapeutycznego programu zdrowotnego NFZ pn. "Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B" **

inne: ☐ np.: leczenie domowe, hemofilia B łagodna postać (wylewy, krwawienia)

☐ np.: leczenie szpitalne, hemofilia B łagodna postać (wylewy, krwawienia, niewielki zabieg chirurgiczny)

4. Koncentrat rekombinowanego czynnika IX dla nowozdiagnozowanych dzieci z ciężką postacią hemofilii B, wcześniej nie leczonych czynnikami osoczopochodnymi, zakwalifikowanych do modułu pierwotnej profilaktyki krwawień czynnikami rekombinowanymi - moduł 1.2 terapeutycznego programu zdrowotnego NFZ pn. "Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B" **

- ☐ zabezpieczenie wylewów śródstawowych
- ☐ zabezpieczenie zabiegów chirurgicznych

5. Koncentrat czynnika VIII zawierający czynnik von Willebranda, zarejestrowany ze wskazaniem do leczenia choroby von Willebranda

- ☐ leczenie domowe chorego na chorobę von Willebranda o najcięższym przebiegu klinicznym
- ☐ pilny zabieg u pacjenta z ciężką postacią choroby von Willebranda
- ☐ inne: .....

6. Koncentrat czynników zespołu protrombiny (PCC)

- ☐ zabezpieczenie krwawień u pacjenta z niedoborem czynnika X, czynnika II oraz złożonym niedoborem czynników kompleksu protrombiny
- ☐ inne: .....

7. Koncentrat aktywowanych czynników zespołu protrombiny (aPCC)

- ☐ leczenie krwawień u chorego z inhibitorem czynnika VIII o wysokim mianie
- ☐ leczenie krwawień u chorego z inhibitorem czynnika IX o wysokim mianie
- ☐ leczenie krwawień zagrażających życiu u chorego z inhibitorem czynnika VIII o wysokim mianie
- ☐ leczenie krwawień zagrażających życiu u chorego z inhibitorem czynnika IX o wysokim mianie
- ☐ zabieg operacyjny ze wskazań życiowych u chorego z inhibitorem czynnika VIII o wysokim mianie
- ☐ zabieg operacyjny ze wskazań życiowych u chorego z inhibitorem czynnika IX o wysokim mianie
- ☐ leczenie krwawień u chorego w przebiegu nabytej hemofilii
- ☐ zabieg operacyjny u chorego w przebiegu nabytej hemofilii
- ☐ osłona dużego zabiegu chirurgicznego u pacjenta z niedoborem czynnika VII
- ☐ leczenie krwawień zagrażających życiu u chorego z niedoborem czynnika VII
- ☐ osłona dużego zabiegu chirurgicznego u chorego z ciężką trombocytopatią
- ☐ leczenie krwawień zagrażających życiu u chorego z ciężką trombocytopatią
- ☐ obecność alloprzeciwciał przeciwpłytkowych
- ☐ profilaktyka wtórna u chorego z inhibitorem czynnika VIII z licznymi krwawieniami
- ☐ profilaktyka wtórna u chorego z inhibitorem czynnika IX z licznymi krwawieniami
- ☐ inne: .....

8. Koncentrat rekombinowanego czynnikaVIIa

- ☐ leczenie krwawień u chorego z inhibitorem czynnika VIII o wysokim mianie
- ☐ leczenie krwawień u chorego z inhibitorem czynnika IX o wysokim mianie
- ☐ leczenie krwawień zagrażających życiu u chorego z inhibitorem czynnika VIII o wysokim mianie
- ☐ leczenie krwawień zagrażających życiu u chorego z inhibitorem czynnika IX o wysokim mianie
- ☐ wykonanie zabiegów operacyjnych ze wskazań życiowych u chorego z inhibitorem czynnika VIII o wysokim mianie
- ☐ wykonanie zabiegów operacyjnych ze wskazań życiowych u chorego z inhibitorem czynnika IX o wysokim mianie
- ☐ leczenie krwawień u chorego w przebiegu nabytej hemofilii
- ☐ zabieg operacyjny u chorego w przebiegu nabytej hemofilii
- ☐ osłona dużych zabiegów chirurgicznych u pacjenta z niedoborem czynnika VII
- ☐ leczenie krwawień zagrażających życiu u chorego z niedoborem czynnika VII
- ☐ osłona dużych zabiegów chirurgicznych u chorego z ciężką trombocytopatią
- ☐ leczenie krwawień zagrażających życiu u chorego z ciężką trombocytopatią
- ☐ obecność alloprzeciwciał przeciwpłytkowych
- ☐ inne: .....

9. Koncentrat czynnika VII

- ☐ nagły zabieg operacyjny
- ☐ planowy zabieg operacyjny
- ☐ leczenie w warunkach domowych - zabezpieczanie bieżących krwawień u chorego z niedoborem czynnika VII
- ☐ inne: .....

10. Koncentrat fibrynogenu

- ☐ leczenie chorego z hypofibrynogenemią
- ☐ inne: .....

11. Koncentrat czynnika XIII

- ☐ bezterminowa profilaktyka krwawień u pacjenta z niedoborem czynnika XIII
- ☐ inne: .....

11. Desmopresyna

- ☐ krwawienie
- ☐ zabieg operacyjny
- ☐ profilaktyka

.....
data

.....
czytelny podpis i pieczątka lekarza

** wskazania do wydania czynników krzepnięcia na leczenie dzieci (w pkt 1-4) nie dotyczą Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie