



Hemofilia w systemach ochrony zdrowia w Polsce i na świecie

Izabela Obarska

Warszawa, 22 stycznia 2019

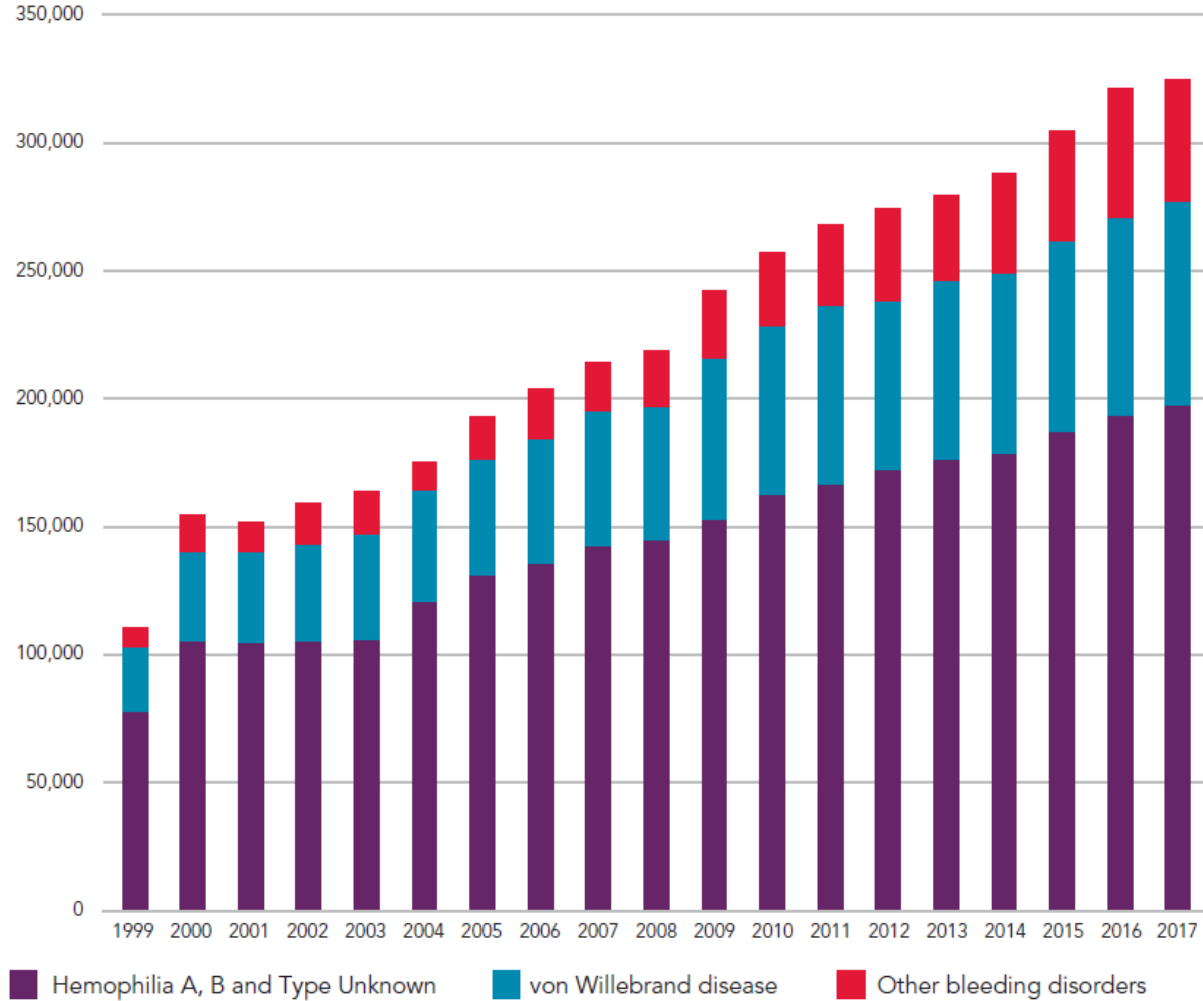
Epidemiologia

Zgodnie z danymi World Federation of Hemophilia częstość występowania hemofilii ocenia się na ok. 1/10 000 urodzeń.

Liczbę osób chorych na hemofilię na całym świecie szacuje się na ok. 400 000, przy czym zidentyfikowanych i potwierdzonych przypadków jest ponad 300 000.

Źródło: Report On The Annual Global Survey 2017

Figure A. Identified patients over time – all bleeding disorders



Źródło: Report On The Annual Global Survey 2017



KEY NUMBERS

From the 2017 Report on the Annual Global Survey

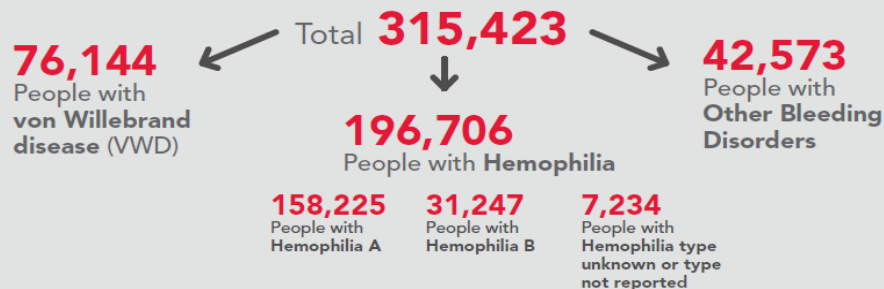
116 Countries Represented



75%

Response Rate from WFH National Member Organizations (105/140)

6.6% increase in number of people with bleeding disorders identified from 2016–2017



Factor VIII Usage per capita **1.09 IU** (0.08 – 4.79) Median (IQR) (93 countries, 68% of the world population)



Factor IX Usage per capita **0.17 IU** (0.01-0.60) Median (IQR) (89 countries, 67% of the world population)



WFH

WORLD FEDERATION OF HEMOPHILIA
FÉDÉRATION MONDIALE DE L'HEMOPHILIE
FEDERACIÓN MUNDIAL DE HEMOFILIA

Zasady organizacji optymalnej opieki nad chorymi na hemofilię

„European Principles of Haemophilia Care” –

dokument zaakceptowany przez Europejskie Konsorcjum Chorych na Hemofilię (EHC), Światową Federację Chorych na Hemofilię (WFH) oraz zatwierdzony przez Parlament Europejski w 2009 r.

10 zasad organizacji opieki nad chorymi na hemofilię

1. Stworzenie centralnej organizacji realizującej opiekę nad chorymi na hemofilię.
2. Prowadzenie krajowego rejestru chorych na hemofilię.
3. Utworzenie sieci ośrodków realizujących wielospecjalistyczną i kompleksową opiekę oraz ośrodków leczenia hemofilii.
4. Równorzędna współpraca w zakresie świadczenia opieki dla chorych na hemofilię – klinicystów, przedstawicieli pacjentów, resortów odpowiedzialnych za sprawy zdrowia i kwestie socjalne oraz organizacji świadczących opiekę dla osób z hemofilią.
5. Zapewnienie dostępu do skutecznego i bezpiecznego leczenia suplementacyjnego niedoborowymi czynnikami krzepnięcia w optymalnych dawkach.
6. Dostęp do leczenia domowego.
7. Dostęp do leczenia profilaktycznego.
8. Natychmiastowy dostęp do leczenia (pomoc doraźna) w sytuacjach krytycznych – w ramach szpitalnych oddziałów ratunkowych oraz specjalistycznej opieki medycznej.
9. Dostęp do leków omijających inhibitor, do leczenia indukującego tolerancję immunologiczną oraz do terapii skutków krwawień.
10. Zapewnienie wysokiego poziomu kształcenia lekarzy oraz dalsze prowadzenie badań naukowych nad hemofilią.

Źródło: Hemofilia. Systemy zarządzania i gospodarowania czynnikami krzepnięcia w Polsce i Europie

Stan realizacji w Polsce

1. Przedstawiciele lekarzy, organizacji chorych na hemofilię oraz Ministerstwa Zdrowia formalnie uczestniczą w pracach.
2. Rejestr chorych na hemofilię wciąż wymaga doskonalenia.
3. Nie działają ośrodki opieki kompleksowej dla chorych na hemofilię.
4. Współpraca istnieje, ale wiele jest jeszcze do zrobienia.
5. Poziom zużycia czynnika krzepnięcia na mieszkańca na rok wzrasta od momentu wprowadzenia Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne, ale poziom dostępności do czynników rekombinowanych wciąż pozostaje poniżej poziomu w innych krajach europejskich.
6. Nie wszyscy chorzy na hemofilię w Polsce mają dostęp do leczenia domowego, jedynie niewielka grupa chorych pediatrycznych ma dostęp do bezpośrednich dostaw czynników krzepnięcia do domu.
7. Leczenie rekombinowanymi czynnikami krzepnięcia dostępne jest jedynie w ramach profilaktyki u dzieci, które nie były leczone czynnikami osoczopochodnymi w przeszłości.
8. Teoretycznie wszyscy pacjenci w sytuacjach zagrożenia życia mają dostęp do leczenia, jednak w praktyce zdarzały się na tym polu zaniedbania.
9. Wszyscy pacjenci mają dostęp do leków omijających inhibitor, do leczenia indukującego tolerancję immunologiczną oraz do terapii skutków krwawień.
10. W Polsce większość lekarzy hematologów ma dostęp do odpowiedniego kształcenia w zakresie postępowania z chorymi na hemofilię, jednak nie wszyscy lekarze pozostałych specjalności mają wystarczającą wiedzę w tym zakresie.

Źródło: Hemofilia. Systemy zarządzania i gospodarowania czynnikami krzepnięcia w Polsce i Europie

Centralne organizacje realizujące opiekę nad chorymi na hemofilię

W 18 krajach Europy działa Narodowa Rada ds. Hemofilii lub grupa koordynująca.

W 12 krajach:

Albanii, Czechach, Finlandii, Francji, Grecji, Irlandii, Polsce, Serbii, Słowacji, Słowenii, Wielkiej Brytanii i we Włoszech,

organizacje te w sposób formalny uczestniczą w organizowaniu narodowych ośrodków opieki nad chorymi na hemofilię,

w pozostałych 6 krajach:

Belgii, Holandii, Hiszpanii, na Litwie, w Niemczech i w Turcji, są to grupy nieformalne.

Źródło: Hemofilia. Systemy zarządzania i gospodarowania czynnikami krzepnięcia w Polsce i Europie

Narodowy rejestr chorych na hemofilię

W większości krajów Europy prowadzone są narodowe rejestry chorych na hemofilię.

Do nielicznych krajów, w których brak jest takich rejestrów należą: Albania, Belgia, Dania, Finlandia, Holandia, Macedonia, Portugalia, Ukraina, Węgry, Estonia, Litwa i Łotwa.

W Polsce i Bułgarii rejestry są niekompletne.

Od 1991 roku w Instytucie Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie prowadzony jest rejestr chorych na hemofilię i inne skazy krwotoczne.

Źródło: Hemofilia. Systemy zarządzania i gospodarowania czynnikami krzepnięcia w Polsce i Europie

Ośrodki opieki kompleksowej

W składzie zespołu realizującego kompleksową opiekę, według WFH, powinni się znaleźć: dyrektor medyczny (hematolog lub lekarz z doświadczeniem w zakresie hemostazy), pielęgniarki, specjaliści zajmujący się zapobieganiem i leczeniem powikłań choroby (fizjoterapeuta, psycholog, ortopeda, reumatolog), diagnosta laboratoryjny, pracownik socjalny.

W miarę możliwości w skład zespołu powinni wejść także: specjalista leczenia bólu, stomatolog, genetyk, hepatolog, specjalista chorób zakaźnych, ginekolog, doradca zawodowy.

Ośrodki opieki kompleksowej

Ośrodki działają w 24 krajach Europy.

Ośrodków nie ma w: Albania, Bośni i Hercegowinie, Bułgarii, na Litwie, Łotwie, w Macedonii, Portugalii, Serbii, na Ukrainie, na Węgrzech oraz w Polsce.

Zespołowe podejmowanie decyzji dotyczące opieki nad chorymi na hemofilię

W podejmowaniu decyzji dotyczących opieki nad chorymi na hemofilię na szczeblu krajowym lub regionalnym, powinni uczestniczyć klinicyści i przedstawiciele chorych w równorzędnej współpracy z resortami odpowiedzialnymi za sprawy zdrowia i kwestie socjalne oraz organizacjami świadczącymi opiekę dla osób z hemofilią.

Źródło: Hemofilia. Systemy zarządzania i gospodarowania czynnikami krzepnięcia w Polsce i Europie

Zespołowe podejmowanie decyzji dotyczące opieki nad chorymi na hemofilię

W procesie wyboru produktów leczniczych do leczenia chorych na hemofilię, w większości krajów europejskich uczestniczy Minister Zdrowia.

W 6 krajach: Irlandia, Polska, Rosja, Serbia, Słowacja i Wielka Brytania uczestniczą w tym procesie narodowe organizacje chorych na hemofilię.

W 7 krajach: Białoruś, Finlandia, Irlandia, Serbia, Słowacja, Wielka Brytania i Włochy – narodowe komitety ds. zamówień publicznych.

W Irlandii organizacja chorych na hemofilię działa formalnie, jako narodowy komitet ds. zamówień publicznych w zakresie zakupu koncentratów czynników krzepnięcia.

W 17 krajach organizowane są krajowe przetargi na koncentraty czynników krzepnięcia.

Źródło: Hemofilia. Systemy zarządzania i gospodarowania czynnikami krzepnięcia w Polsce i Europie

Dostęp do skutecznego i bezpiecznego leczenia suplementacyjnego

Zgodnie z europejskim standardem opieki nad chorymi na hemofilię miernikiem dostępności do właściwego leczenia u chorych na hemofilię A jest poziom zużycia czynnika VIII na mieszkańca na rok.

Przyjmuje się, że zużycie na poziomie:

- 1 j.m. pozwala przeżyć,
- 1-3 j.m. pozwala na funkcjonalną niezależność,
- 3-5 j.m. gwarantuje profilaktykę artropatii,
- 5-7 j.m. pozwala na zachowanie pełnej aktywności życiowej.

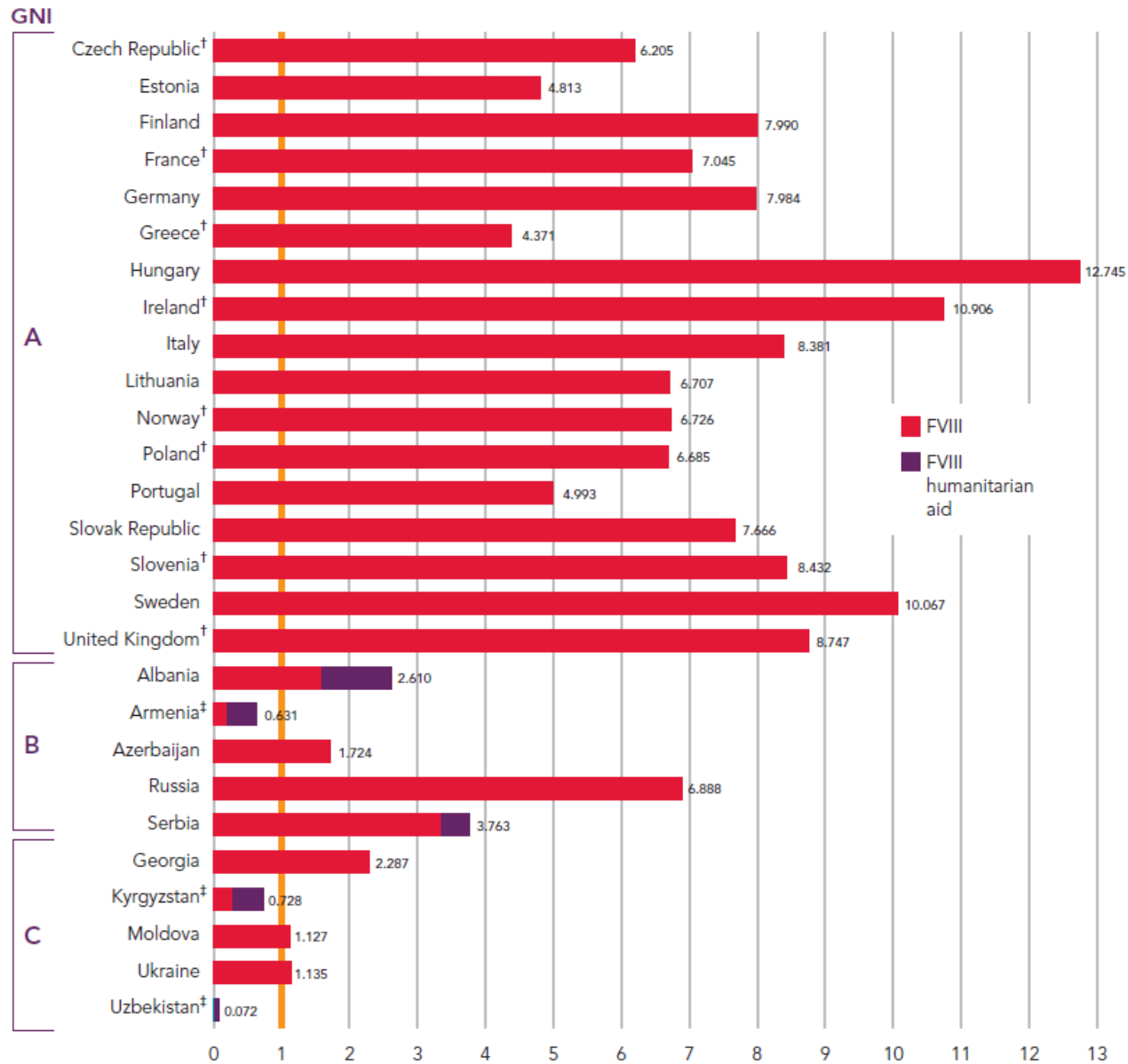
Źródło: Hemofilia. Systemy zarządzania i gospodarowania czynnikami krzepnięcia w Polsce i Europie

Dostęp do skutecznego i bezpiecznego leczenia suplementacyjnego

W 2016 rekomendowane minimum zużycia czynnika VIII zostało podniesione z 3 (rekomendacja z 2013) do 4 IU/osobę z populacji całkowitej.

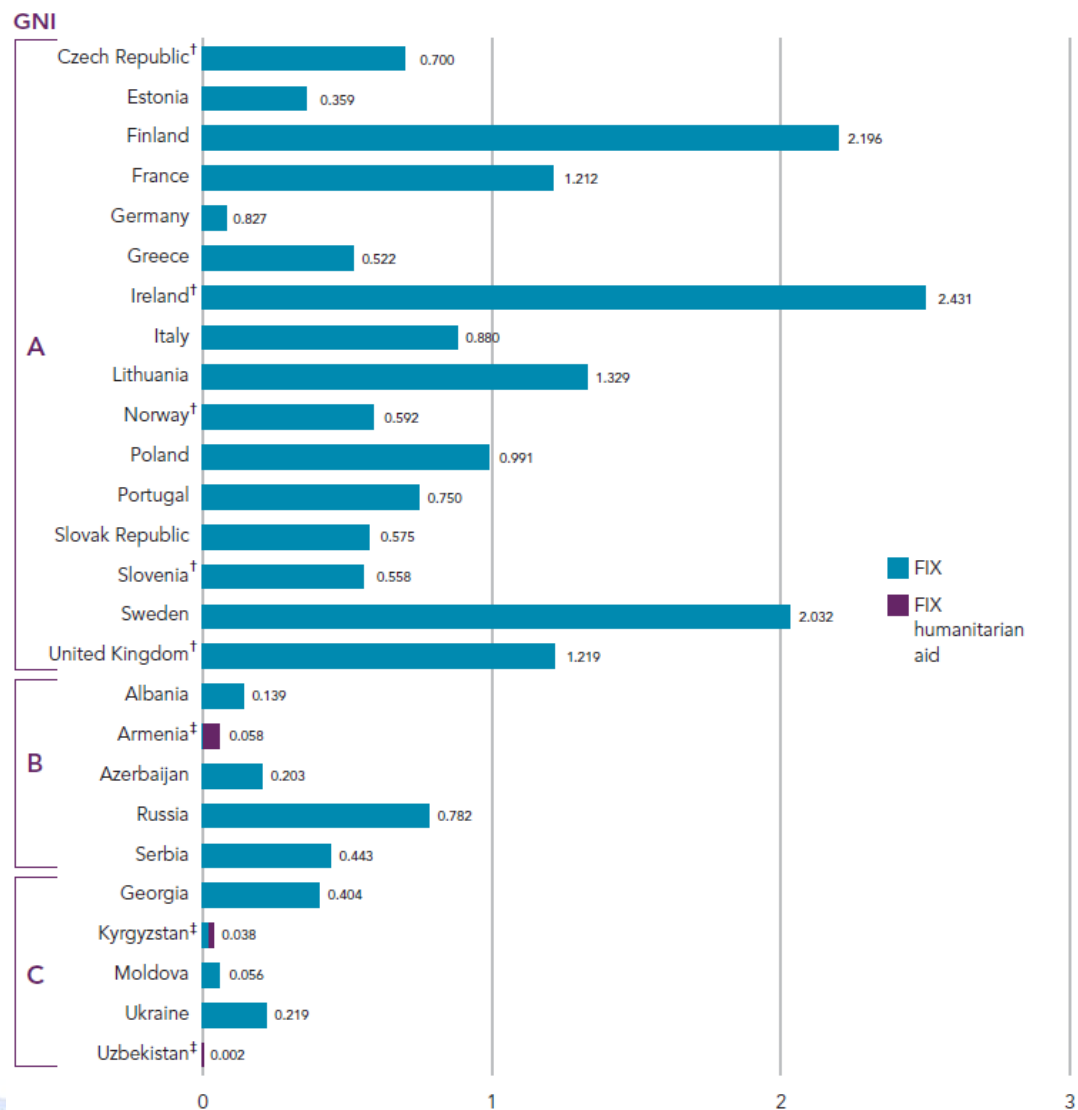
Źródło: Wild bad Kreuth IV consensus recommendations 2016

Figure C4a. Mean per capita factor VIII use in 2017 – regional and GNI comparisons of IU/total population: Europe



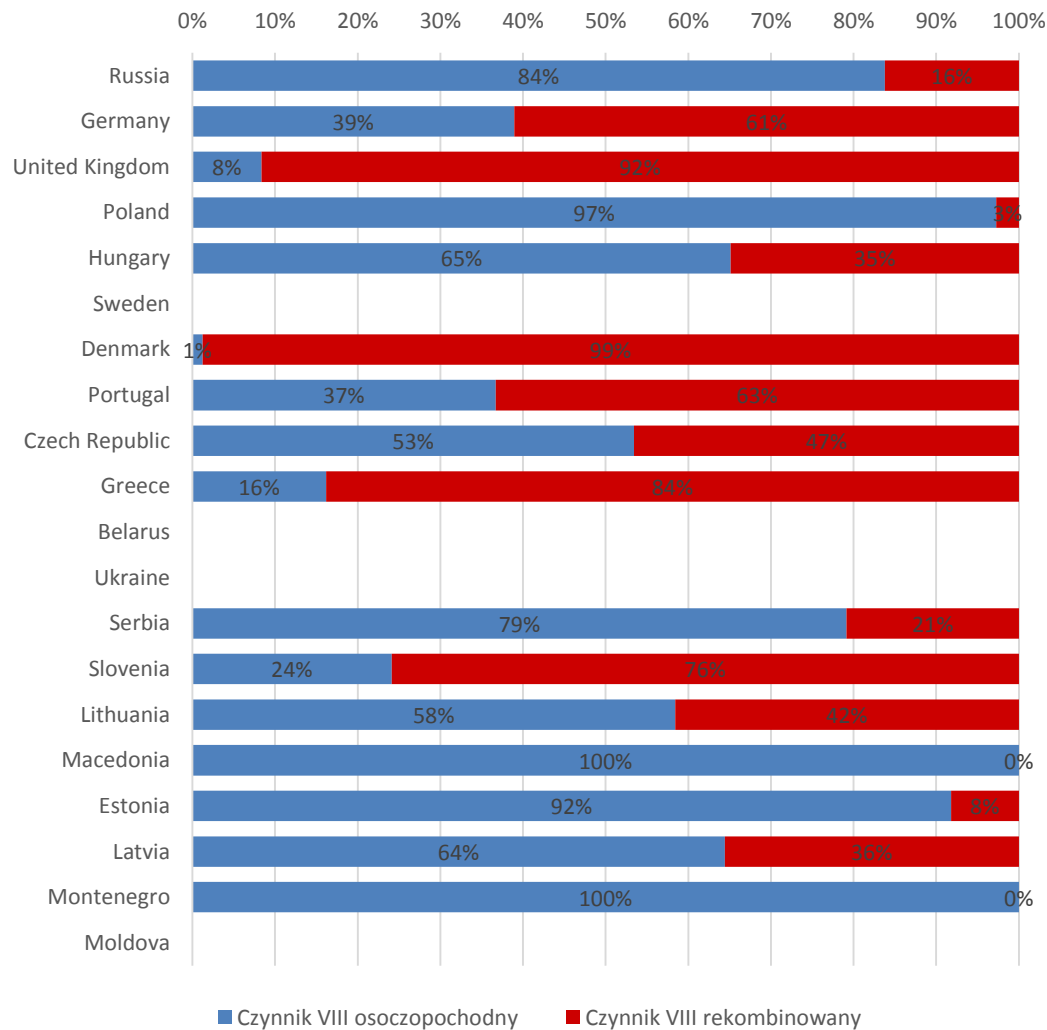
Źródło: Report On The Annual Global Survey 2017

Figure C4b. Mean per capita factor IX use in 2017 – regional and GNI comparisons of IU/total population: Europe



Źródło: Report On The Annual Global Survey 2017

Udział czynnika VIII osoczopochodnego i rekombinowanego w zużyciu w Europie



Źródło: Report On The Annual Global Survey 2015

Leczenie domowe

Na podstawie danych z 2012 roku, leczenie w warunkach domowych jest dostępne w 32 krajach Europy, a w 13 krajach leki są dostarczane bezpośrednio do domu chorych.

W 19 krajach (w tym w Polsce) 75-100% chorych na hemofilię może skorzystać z terapii prowadzonej w warunkach domowych, w 5 krajach 50-75% chorych, a w kolejnych 5 krajach zaledwie 10-50% chorych.

Źródło: Hemofilia. Systemy zarządzania i gospodarowania czynnikami krzepnięcia w Polsce i Europie

Dostęp do skutecznego i bezpiecznego leczenia profilaktycznego

Leczenie profilaktyczne jest dostępne dla wszystkich chorych na hemofilię w 18 krajach, dla niektórych chorych na hemofilię w 13 krajach i w 3 krajach (Grecja, Litwa, Macedonia) jest dostępne tylko dla dzieci.

Dostęp do skutecznego i bezpiecznego leczenia profilaktycznego

Prawie we wszystkich krajach UE, profilaktyka jest stosowana u dzieci z ciężką postacią hemofilii, od 2-3 r.ż.

W 18 krajach 75-100% dzieci chorych na ciężką postać hemofilii ma dostęp do profilaktyki niedoborowymi czynnikami krzepnięcia,

w 6 krajach 50-75% dzieci z hemofilią może otrzymywać czynniki krzepnięcia profilaktycznie, a w 7 krajach – zaledwie 1-25% dzieci.

W Szwecji 76-100% dorosłych chorych na hemofilię może przyjmować leczenie profilaktyczne.

W 10 krajach, 26-50% dorosłych chorych na hemofilię ma dostęp do profilaktyki, w tym w Polsce.

Źródło: Hemofilia. Systemy zarządzania i gospodarowania czynnikami krzepnięcia w Polsce i Europie

Dostęp do leków omijających inhibitor, do leczenia indukującego tolerancję immunologiczną oraz do terapii skutków krwawień

Leczenie indukujące immunotolerancję jest dostępne dla większości chorych z 18 krajów.

W 6 krajach:

Albania, Bośnia - Hercegowina, Bułgaria, Macedonia, Rumunia, Serbia chorzy, u których występują inhibitory niedoborowych czynników krzepnięcia, nie mają szansy na odpowiednią terapię.

Dostęp do leków omijających inhibitor, do leczenia indukującego tolerancję immunologiczną oraz do terapii skutków krwawień

Chorzy z inhibitorem przetaczają sobie codziennie ogromne dawki czynnika VIII (8000 -16000 j.m. na dobę) w programach wywoływania tolerancji immunologicznej.

Organizacja opieki nad chorymi na hemofilię w Polsce

Zaopatrzenie w produkty lecznicze

Zaopatrzenie chorych na hemofilię A i B w koncentraty krzepnięcia odbywa się w ramach dwóch programów:

1. „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019-2023”
2. Programu lekowego „B.15. Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”

Narodowy Program jest finansowany z budżetu Ministerstwa Zdrowia (z budżetu będącego w dyspozycji Ministra Zdrowia z części 46 – Zdrowie, działu – 851 – Ochrona zdrowia, rozdziału 85149 – Programy polityki zdrowotnej).

Program lekowy jest finansowany w ramach środków przeznaczonych na leczenie przez Narodowy Fundusz Zdrowia.

Populacja leczona

1. Liczba chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne w Polsce wykazana w bazie danych prowadzonej przez Instytut Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie – 5708 (stan na marzec 2018).
2. Liczba chorych, którzy w 2017 roku przynajmniej raz pobrali koncentrat czynnika krzepnięcia lub desmopresynę w ramach „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018” – 2713
3. Liczba chorych, którzy otrzymują koncentrat czynnika krzepnięcia w ramach programu „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B” – 362 (stan na czerwiec 2018 roku).

Program lekowy „B.15. Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”

Program obejmuje pierwotną i wtórną profilaktykę krwawień oraz leczenie hemofilii powikłanej nowo powstałym inhibitorem.

Koncentraty rekombinowanych czynników krzepnięcia VIII lub IX, minimum drugiej generacji mogą być zastosowane wyłącznie w profilaktyce pierwotnej nowozdiagnozowanych dzieci wcześniej nie leczonych czynnikami osoczopochodnymi.

AKCEPTUJĘ
Z upoważnienia
MINISTRA ZDROWIA
PODSEKRETARZ STANU

Sławomir Gademski

19.10.2018
.....
dzień

Minister Zdrowia

PROGRAM POLITYKI ZDROWOTNEJ

**Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię
i Pokrewne Skazy Krwotoczne**

OKRES REALIZACJI

Lata 2019-2023

Podstawa prawna: art. 48 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r. poz. 1510, t.j. z 8 sierpnia 2018 r.)

Warszawa, 2018 r.

Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019 – 2023

Programem są objęci chorzy z rozpoznaniem:

1. hemofilia A
2. hemofilia A powikłana inhibitorem
3. nabyta hemofilia A
4. hemofilia B
5. hemofilia B powikłana inhibitorem
6. choroba von Willebranda
7. nabyty zespół von Willebranda
8. niedobory fibrynogenu
9. niedobór protrombiny
10. niedobór czynnika: V, VII, X, XI, XIII,
11. złożony niedobór czynnika V i VIII
12. złożony wrodzony niedobór czynnika II, VII, IX, X
i wiele innych

Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019 – 2023

W programie pacjenci otrzymują produkty lecznicze na podstawie zamówienia indywidualnego na produkty krwiopochodne, rekombinowane koncentraty czynników krzepnięcia oraz desmopresynę, które wystawić może lekarz dowolnej specjalności.

W ramach programu zapewnia się powszechną dostępność produktów leczniczych dla pacjentów z inhibitorem oraz bez inhibitora na następujące wskazania:

- leczenie domowe, w tym:
leczenie krwawień, immunotolerancję, wtórną profilaktykę u dorosłych chorych, wtórną profilaktykę dla dzieci, które nie mogą korzystać z programu lekowego (np. z uwagi na inhibitor),
- leczenie ambulatoryjne,
- leczenie szpitalne.

Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019 – 2023

Cel główny:

Zapewnienie opieki i poprawa standardu leczenia.

Cele szczegółowe:

1. **Poprawa jakości życia i zmniejszenie chorobowości** poprzez objęcie chorych opieką w specjalistycznych ośrodkach.
2. **Zaopatrzenie w leki, poprawa jakości obsługi** poprzez zmniejszenie uciążliwości związanych z odbiorem produktów leczniczych, celem prowadzenia profilaktyki i leczenia domowego.
3. **Wzmocnienie nadzoru nad stosowaniem produktów leczniczych, skoordynowanie działań na szczeblu ogólnopolskim oraz podniesienie wiedzy personelu medycznego zaangażowanego w sprawowanie specjalistycznej opieki nad tą grupą chorych oraz monitorowanie leczenia z wykorzystaniem rejestru medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.**

Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019 – 2023

Najlepszym modelem organizacji opieki nad omawianą grupą chorych jest zgodnie z zapisami programu sieć współpracujących ze sobą wyspecjalizowanych poradni, klinik, oddziałów szpitalnych o profilu hematologii oraz onkologii i hematologii dziecięcej, z wyodrębnionymi dwoma ośrodkami krajowymi dla dorosłych oraz dla dzieci.

Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019 – 2023

W ramach programu zapewnione są następujące produkty lecznicze:

1. koncentraty czynnika VIII i IX niezależnie od wieku,
2. koncentraty rekombinowanych czynników krzepnięcia VIII i IX dla dzieci i dorosłych, którzy nie otrzymywali wcześniej osoczopochodnych koncentratów czynników krzepnięcia VIII i IX w ramach programu lekowego,
3. koncentraty rekombinowanych czynników krzepnięcia VIII i IX dla pacjentów, u których stwierdzono działania niepożądane po stosowaniu więcej niż jednego osoczopochodnego koncentratu czynnika krzepnięcia VIII lub IX i zostało to udokumentowane oraz zgłoszone do URPLW MiPB,

Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019 – 2023

W ramach programu zapewnione są następujące produkty lecznicze:

4. emicizumab, wieprzowy rekombinowany czynnik VIII, czynniki krzepnięcia o przedłużonym działaniu oraz inne nowo rejestrowane produkty lecznicze do leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych po spełnieniu łącznie trzech kryteriów:

- zgłoszenie pacjentów do Rady Programu,
- wykazanie efektywności klinicznej lub kosztowej, w ramach możliwości budżetu,
- pozytywna opinia AOTMiT odnośnie wskazania do stosowania leku.

Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019 – 2023

W ramach programu przewidywane są m.in. następujące interwencje:

1. Powołanie i funkcjonowanie ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych oraz objęcie pacjentów kompleksową opieką w tych ośrodkach.
2. Zakupy centralne produktów leczniczych.
3. Powierzenie funkcji konsultacyjnej oraz szkoleniowej ośrodkom referencyjnym drugiego stopnia zlokalizowanym w Warszawie, tj.: Instytutowi Hematologii i Transfuzjologii oraz Samodzielnemu Publicznemu Dziecięcemu Szpitalowi Klinicznemu.
4. Powołanie Rady Programu.
5. Utworzenie i prowadzenie rejestru medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne.

Ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych

Zadania ośrodka:

- 1) sprawowanie kompleksowej opieki nad chorymi na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne zgodnie z polskimi wytycznymi postępowania,
- 2) sprawowanie nadzoru nad leczeniem w warunkach domowych, prowadzenie instruktażu dla pacjentów i ich rodzin w zakresie bezpiecznego stosowania produktów leczniczych, zasad ich podawania i sposobu przechowywania,
- 3) regularna ocena stanu zdrowia chorych,
- 4) potwierdzanie wykonywanych zadań poprzez wystawianie i aktualizację każdemu pacjentowi karty postępowania,
- 5) prowadzenie depozytu koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny na podstawie umowy zawartej z RCKiK,
- 6) całodobowy dyżur konsultacyjny dla innych podmiotów leczniczych, w tym lekarzy podstawowej opieki zdrowotnej i Państwowego Ratownictwa Medycznego,

Ośrodki leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych

Zadania ośrodka:

- 7) wprowadzanie danych pacjentów do rejestru medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne,
- 8) weryfikacja dorosłych pacjentów, którzy nie byli dotychczas leczeni osoczopochodnymi koncentratami czynników krzepnięcia VIII i IX oraz wydanie opinii Radzie Programu w tym zakresie,
- 9) zgłaszanie pacjentów do Rady Programu do dostaw domowych,
- 10) zgłaszanie pacjentów do Rady Programu do nowoczesnych terapii,
- 11) przedstawicielstwo w Radzie Programu,
- 12) kierowanie kadry medycznej na szkolenia prowadzone przez ośrodki leczenia hemofilii, którym powierzono funkcję konsultacyjną i szkoleniową,
- 13) konsultacje dla pacjentów w ośrodku leczenia, telefonicznie lub drogą elektroniczną,
- 14) diagnostyka hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych – finansowana ze środków NFZ.

Zakupy centralne produktów leczniczych

Podstawowe zasady zakupów centralnych:

1. Zakup będzie dokonywany przez Narodowe Centrum Krwi, za pośrednictwem Zakładu Zamówień Publicznych przy Ministrze Zdrowia.

Koncentraty czynników krzepnięcia VIII i IX będą kupowane bez różnicowania na produkty osoczopochodne i rekombinowane oraz bez preferencji za czas działania.

2. Koncentraty czynników krzepnięcia VIII i IX dla dzieci, będą kupowane za pośrednictwem Zakładu Zamówień Publicznych przy Ministrze Zdrowia, we wspólnych postępowaniach o udzielenie zamówień publicznych przez Narodowe Centrum Krwi oraz jednostkę koordynującą program lekowy „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”.

Celem wspólnych przetargów będzie koordynacja metod zakupu produktów leczniczych w obydwu programach, przede wszystkim zakup tych samych produktów leczniczych dla dzieci w obydwu programach, z uwzględnieniem możliwości zapewnienia takich samych usług towarzyszących.

Rada Programu

Radę Programu powołuje Minister Zdrowia z przedstawicielami ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, stowarzyszeń chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, Ministerstwa Zdrowia oraz Narodowego Centrum Krwi.

Rada Programu

Zadania:

- 1) doradzanie i tworzenie rekomendacji dla MZ,
- 2) ewaluacja realizacji programu,
- 3) merytoryczna ocena i analiza stopnia osiągnięcia celów programu,
- 4) określenie szczegółowych kryteriów kwalifikacji do dostaw domowych koncentratów czynników krzepnięcia i kwalifikowanie pacjentów do tych dostaw; kryteria powinny uwzględniać co najmniej odległość miejsca zamieszkania od miejsca odbioru produktu leczniczego, sytuację rodzinną pacjenta, tj. czy prowadzi jednoosobowe gospodarstwo domowe, możliwość zapewnienia opieki przez pozostałych członków rodziny, itp.
- 5) przyjmowanie i opiniowanie zgłoszeń pacjentów do leczenia nowoczesnymi lekami,

Rada Programu

Zadania:

- 6) rekomendowanie NCK podmiotów leczniczych, w których powinny być tworzone depozyty koncentratów czynników krzepnięcia,
- 7) inicjatywa w zakresie proponowania MZ rekomendacji dotyczących wprowadzenia do programu nowych zadań oraz odstępowania od kontynuowania zadań już realizowanych, w tym wprowadzania do programu nowo rejestrowanych produktów,
- 8) inicjatywa w zakresie proponowania MZ rekomendacji z zakresu ratownictwa medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne,
- 9) opracowywanie coroczne i po zakończeniu realizacji programu, raportu dla MZ zawierającego ocenę programu, w terminie wskazanym przez MZ.

Rejestr medyczny chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne

Zakres danych:

- 1) zużycie koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny,
- 2) inhibitory,
- 3) infekcje wirusami HCV, HBV, HIV, inne infekcje przenoszone drogą krwi,
- 4) choroby współistniejące,
- 5) wyniki stanu fizycznego pacjenta,
- 6) zastosowane metody obrazowania,
- 7) wyniki czynnościowe,
- 8) przebyte operacje chirurgiczne,
- 9) data i przyczyna zgonu,
- 10) jakość życia pacjenta oraz generowane koszty, np. liczba dni opuszczonych w szkole lub w pracy.

Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019 – 2023

Program zakłada następujące mierniki efektywności realizacji:

1. Liczba pacjentów objętych opieką ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych na koniec 2023 roku, którym założono karty postępowania powinna wynieść 6 000.
2. Przewiduje się wzrost średniego rocznego zużycia poszczególnych produktów leczniczych na mieszkańca kraju do wartości zbliżonej do krajów „starej Unii”.
3. Przewiduje się wzrost ilości koncentratów rekombinowanych czynników krzepnięcia VIII i IX, w celu zabezpieczenia zwiększonego zużycia wynikającego:
 - ze zwiększenia liczby dzieci, które nie otrzymywały wcześniej produktów osoczopochodnych oraz ze wzrostu ich wagi ciała,
 - z konieczności zabezpieczenia leku dla dorosłych uczulonych na produkty osoczopochodne.

| Produkty lecznicze | Roczne zużycie poszczególnych koncentratów czynników krzepnięcia na mieszkańca kraju | | | | |
|----------------------|--|------|------|------|------|
| | 2019 | 2020 | 2021 | 2022 | 2023 |
| czynnik VIII* (j.m.) | 5,30 | 5,99 | 6,68 | 7,58 | 8,00 |
| czynnik IX* (j.m.) | 0,75 | 0,86 | 0,97 | 1,04 | 1,11 |

* Do wyliczenia wartości zużycia koncentratów czynników krzepnięcia VIII i IX na mieszkańca kraju sumowane są koncentraty osoczopochodnych i rekombinowanych czynników krzepnięcia VIII i IX w ramach programu.

| Produkty lecznicze | Przyrosty procentowe rocznego zużycia poszczególnych koncentratów czynników krzepnięcia na mieszkańca kraju | | | | |
|----------------------|---|-----------|-----------|-----------|-----------|
| | 2019/2018 | 2020/2019 | 2021/2020 | 2022/2021 | 2023/2022 |
| czynnik VIII* (j.m.) | 12% | 13% | 12% | 13% | 6% |
| czynnik IX* (j.m.) | 39% | 15% | 13% | 7% | 6% |

Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019 – 2023

Program zakłada następujące mierniki efektywności realizacji:

4. Liczba pacjentów objętych dostawami domowymi koncentratów czynników krzepnięcia ze środków programu wyniesie 200 osób.

Dostawami domowymi objęci są pacjenci mający trudności w poruszaniu się. Dostawy domowe będą docelowo realizowane przez wykonawcę dostarczającego produkt leczniczy.

Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019 – 2023

Koszty programu:

2019 – 284 690 000 zł (w tym koszt produktów leczniczych –
282 700 000 zł)

2023 - 384 334 000 (w tym koszt produktów leczniczych –
384 334 000 zł)

Dziękuję za uwagę

