

Załącznik nr 30
do zarządzenia Nr 8/2010/DGL Prezesa NFZ
z dnia 20 stycznia 2010 roku

Nazwa programu:

ZAPOBIEGANIE KRWAWIENIOM U DZIECI Z HEMOFILIĄ A I B

ICD- 10 **D 66** Dziedziczny niedobór czynnika VIII

D 67 Dziedziczny niedobór czynnika IX

Dziedzina medycyny: hematologia.

1. Cele programu:

- 1.1. Pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci chorych na ciężką postać hemofilii A i B.
- 1.2. Wtórna profilaktyka krwawień u dzieci chorych na hemofilię A lub B po wystąpieniu wylewów do stawów.
- 1.3. Objęcie programem wywoływania tolerancji immunologicznej wszystkich chorych na hemofilię powikłaną nowo powstałym krążącym antykoagulantem (inhibitorem) (powyżej 5 B.U, oraz o niskim mianie w przypadku przetrwania powyżej 6 miesięcy od momentu wykrycia). Finansowanie realizacji wywoływania tolerancji immunologicznej będzie się odbywało poprzez wprowadzenie zasady odpowiedzialności finansowej podmiotu odpowiedzialnego (w rozumieniu Ustawy Prawo Farmaceutyczne) za całkowity koszt leczenia tego powikłania leczenia¹. Wprowadzenie zasady odpowiedzialności finansowej podmiotu odpowiedzialnego (w rozumieniu Ustawy Prawo Farmaceutyczne) za całkowity koszt leczenia zakażeń (WZW, vCJD, HIV), w przypadku w którym udowodniono, że źródłem zakaźnego patogenu był zastosowany koncentrat czynnika krzepnięcia¹.
- 1.4. Zapewnienie powszechnej dostępności czynników krzepnięcia i poprawę jakości życia chorych poprzez:

- Wdrożenie w pełni transparentnej procedury kwalifikacji pacjentów do programu przez powołany do medycznego nadzoru nad programem Zespół Koordynujący.

- Zorganizowanie bezpłatnego dla pacjentów systemu dostaw domowych koncentratów czynników krzepnięcia wraz z niezbędnym dodatkowym sprzętem jednorazowym oraz środkami dezynfekującymi, który będzie realizowany w ramach bezpłatnego świadczenia „leczenie w warunkach domowych” . Koszt realizacji przedmiotowego świadczenia będzie obejmował: koszt koncentratów czynników krzepnięcia, koszt wykonania niezbędnych czynności personelu medycznego związanych z wydaniem pacjentowi w domu koncentratów czynników krzepnięcia wraz z niezbędnym dodatkowym sprzętem jednorazowym i igłami (dotyczy pacjentów z założonym centralnym dostępem żylnym) oraz środkami dezynfekcyjnymi (dotyczy pacjentów z założonym centralnym dostępem żylnym), kontrolę zużycia przekazanych w ramach świadczenia leków i sprzętu oraz koszt odbioru wydanego sprzętu jednorazowego i jego utylizacji.

- Implementacja przedmiotowego systemu dostaw będzie realizowana poprzez realizację świadczenia „leczenie w warunkach domowych”. Będzie ono realizowane przez świadczeniodawcę lub świadczeniodawców wyłonionych w ramach postępowania o udzielenie zamówienia publicznego.

- Zorganizowanie rejestru pacjentów zakwalifikowanych do przedmiotowego programu.

- Wyłonienie w procesie kontraktowania świadczeń nowej funkcjonalnej sieci centrów leczenia hemofilii. Przedmiotowa sieć będzie podzielona na dwa poziomy referencyjne: lokalne centra leczenia hemofilii (poziom niższy – jedno centrum dla kilku powiatów), regionalne centra leczenia hemofilii (poziom wyższy – jedno centrum dla kilku województw).

2. Opis problemu medycznego

Hemofilia jest wrodzoną uwarunkowaną genetycznie skazą krwotoczną związaną z niedoborem czynnika VIII (hemofilia A) lub czynnika IX (hemofilia B). Oba czynniki krzepnięcia krwi produkowane są w wątrobie pod wpływem genów znajdujących się w chromosomie X. Nieprawidłowości w budowie tych genów w postaci delecji fragmentów

białka, inwersji lub różnego rodzaju mutacji punktowych powodują powstawanie zmniejszonych ilości czynnika krzepnięcia, całkowity brak czynnika lub zaburzenia czynności czynnika.

Przebieg hemofilii A i B jest taki sam i uzależniony od poziomu czynnika VIII lub IX. Mówimy o ciężkiej postaci choroby, gdy poziom niedoborowego czynnika wynosi $\leq 1\%$ normy i objawami są ciężkie krwawienia do mięśni, stawów, centralnego układu nerwowego i każdej innej okolicy ciała.

Objawy ciężkiej postaci hemofilii pojawiają się w ostatnich miesiącach pierwszego roku życia dziecka w postaci wzmożonego siniaczenia, a krwawienia do stawów występują wówczas sporadycznie. Najczęściej pierwsze krwawienia do stawów obserwowane są w drugim i trzecim roku życia. Dotyczą przede wszystkim stawów skokowych, kolanowych i łokciowych. U nastolatków dołączają się krwawienia do stawów biodrowych i barkowych. Rozpoczęty proces niszczenia stawu wskutek pojawiających się wylewów krwi postępuje szybko po każdym kolejnym krwawieniu i jest nieodwracalny. Nierzadko już trzy-czteroletnie dzieci po kilku przebytych krwawieniach do stawu mają klinicznie zmieniony staw, utykają, mają nieprawidłowy zakres ruchomości stawu.

Artropatia hemofilowa rozwija się przede wszystkim u chorych na ciężką postać choroby. Sporadycznie jednak może wystąpić również w umiarkowanej ciężkiej postaci hemofilii. Leczenie hemofilii polega na dożylnym podawaniu preparatów zawierających czynnik VIII lub czynnik IX w odpowiedniej dawce dostosowanej do masy ciała chorego.

Wczesne leczenie krwawień do stawów poprawia sprawność ruchową chorych na hemofilię, jednak powtarzające się wylewy krwi uszkadzają je i również doprowadzają do poważnych zmian nawet już u dzieci.

Poprzez stosowanie wczesnej profilaktyki, można skutecznie zapobiec artropatii hemofilowej oraz innym poważnym krwawieniom. Jak dowiodła praktyka, dzieci które otrzymują profilaktycznie koncentraty czynników krzepnięcia w sposób ciągły, chodzą normalnie do szkoły, uczestniczą w grach i zabawach rówieśników, nie różnią się zewnętrznie niczym od swoich kolegów.

W Polsce zarejestrowanych jest 2118 chorych na hemofilię A, w tym 1139 chorych na postać ciężką. Chorych na hemofilię B jest 363, wśród nich 179 ma ciężką postać choroby. Są to dane z rejestru prowadzonego przez Instytut Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie.

Dane Narodowego Centrum Krwi z dnia 24 lipca 2008 roku mówią o 425 pacjentach

do 18 roku życia chorych na hemofilię A oraz 92 pacjentach do 18 roku życia chorych na hemofilię B.

Profilaktyka u najmłodszych dzieci wiąże się często z koniecznością założenia dojścia do żyły centralnej typu vascuport, ponieważ tak częste nakłuwanie żyły obwodowej może być niezwykle trudne lub wręcz niemożliwe. Zabieg ten wymaga podawania koncentratu czynnika VIII lub IX, aby zapewnić prawidłową hemostazę przez 6 dni i przy zdjęciu szwów. Ocenia się, że inhibitor cz. VIII pojawia się u około 30% pacjentów z ciężką hemofilią A (VIII:C <1% normy) i u 0,9-7% pacjentów z umiarkowaną i łagodną hemofilią A, zaś inhibitor cz. IX – u 1,5-3% wszystkich pacjentów z hemofilią B. Powyższe dane liczbowe określają zapadalność na inhibitory. Częstość występowania inhibitorów w populacji chorych na hemofilię jest mniejsza niż zapadalność, gdyż niektóre inhibitory samoistnie zanikają (ang. *transient inhibitors*), a inne udaje się wyeliminować dzięki immunotolerancji. Zatem szacuje się, że w hemofilii A inhibitory cz. VIII występują u 5-7% pacjentów².

Większość inhibitorów w hemofilii A, niezależnie od jej stopnia ciężkości, pojawia się we wczesnym dzieciństwie, najczęściej po pierwszych kilku-kilkunastu dniach ekspozycji (mediana 9-12 dni) na koncentrat cz. VIII. Tym niemniej, inhibitory mogą pojawić się w każdym wieku, a badania autorów angielskich wskazują, że drugi – po wczesnym dzieciństwie – okres zwiększonej zapadalności na inhibitory cz. VIII wśród chorych na hemofilię A przypada na 6 dekadę życia².

Także w przypadku hemofilii B inhibitor pojawia się najczęściej w dzieciństwie, po pierwszych kilkunastu dniach (mediana 11 dni) ekspozycji na koncentrat cz. IX².

3. Opis programu

Świadczeniobiorcy

Kwalifikacji świadczeniobiorców do terapii pierwotnej i wtórnej profilaktyki oraz leczenia hemofilii powikłanej **nowo powstałym** krążącym antykoagulantem dokonuje Zespół Koordynujący powołany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia.

1. Moduł pierwotnej profilaktyki krwawień

1. 1. Pierwotna profilaktyka krwawień u dzieci od 1 dnia życia z zachowaniem ciągłości

leczenia do ukończenia 18 roku życia z ciężką postacią hemofilii A lub B, o poziomie aktywności czynników krzepnięcia VIII lub IX równym lub poniżej 1% poziomu normalnego. Substancja czynna finansowana w ramach powyższej profilaktyki – koncentraty osoczopochodnych (ludzkich) czynników krzepnięcia odpowiednio czynnika VIII lub czynnika IX

1.2 Pierwotna profilaktyka krwawień nowozdiagnozowanych dzieci z ciężką postacią hemofilii A i B wcześniej nie leczonych czynnikami osoczopochodnymi (ludzkimi). Substancja czynna finansowana w ramach powyższej profilaktyki – koncentraty rekombinowanych czynników krzepnięcia odpowiednio czynnika VIII lub czynnika IX minimum drugiej generacji.

1.3 Zapewnienie koncentratów czynników krzepnięcia odpowiednio czynnika VIII lub czynnika IX dla dzieci, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego
- dla grupy określonej w punkcie 1.1 – czynniki osoczopochodne (ludzkie)
- dla grupy określonej w punkcie 1.2 – czynniki rekombinowane minimum drugiej generacji

2. Moduł wtórnej profilaktyki krwawień

2.1 Wtórna profilaktyka krwawień – u dzieci od 1 dnia życia do ukończenia 18 roku życia, chorych na hemofilię A lub B, po wystąpieniu wylewów do stawów. Substancja czynna finansowana w ramach wtórnej profilaktyki – koncentraty osoczopochodnych (ludzkich) czynników krzepnięcia odpowiednio czynnika VIII lub czynnika IX

2.2 Zapewnienie koncentratów osoczopochodnych (ludzkich) czynników krzepnięcia odpowiednio czynnika VIII lub czynnika IX dla dzieci, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego

3. Objęcie programem wywoływania tolerancji immunologicznej wszystkich chorych na hemofilię powikłaną nowo powstałym krążącym antykoagulantem (inhibitorem) (powyżej 5 B.U, oraz o mianie niższym lub równym 5 B.U. w przypadku przetrwania powyżej 6 miesięcy od momentu wykrycia). Finansowanie realizacji wywoływania tolerancji immunologicznej będzie się odbywało poprzez realizację stosownych umów z podmiotami odpowiedzialnymi. Wymóg zawarcia przedmiotowych umów zostanie zapisany w specyfikacji przetargowej.

Kryteria włączenia do przedmiotowego modułu nowopowstałego inhibitora u dzieci do 18 roku życia:

- dotyczy chorych uprzednio zakwalifikowanych do programu, jednak stwierdzenie obecności inhibitora musi nastąpić po wejściu przedmiotowego programu w życie w 2010 r.,
- kwalifikacja pacjentów z hemofilią powikłaną nowo powstałym krążącym antykoagulantem (inhibitorem) (powyżej 5 B.U, oraz o mianie niższym lub równym 5 B.U. w przypadku przetrwania inhibitora powyżej 6 miesięcy) do modułu następuje na podstawie decyzji Zespołu Koordynującego.

4. Kryteria wyłączenia

Stwierdzenie obecności inhibitora. (krążącego antykoagulantu o mianie powyżej 5 B.U. oraz o mianie niższym lub równym 5 B.U. w przypadku przetrwania inhibitora powyżej 6 miesięcy).

5. Kryteria zakończenia udziału w programie lub module programu (dotyczy przyczyn, z powodu których udział pacjenta - uprzednio zakwalifikowanego - w przedmiotowym programie musi zostać zakończony):

- Stwierdzenie obecności nowo powstałego inhibitora (powyżej 5 B.U.) lub utrzymywanie się inhibitora w mianie niższym lub równym 5 B.U. przez ponad 6 miesięcy.
- Ukończenie 18 roku życia.

6. Określenie czasu leczenia w programie

Leczenie trwa do momentu ukończenia 18 roku życia lub do podjęcia przez lekarza prowadzącego decyzji o wyłączeniu świadczeniobiorcy z programu, zgodnie z kryteriami wyłączenia.

Szczegółowy zakres zadań powierzonych Zespołowi Koordynującemu, określenie zasad jego utworzenia, powoływania członków oraz nadzoru nad działalnością.

- 1) W celu nadzorowania realizacji zapisów wprowadzanego w 2010 r. terapeutycznego programu zdrowotnego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B” oraz w celu realizacji równego i transparentnego dostępu dla pacjentów do świadczeń zapisanych w programie, zostanie powołany Zespół Koordynujący.

- 2) Zespół Koordynujący zostanie powołany przy Regionalnym Centrum Leczenia Hemofilii, które zostanie wyłonione w drodze konkursu jako Jednostka Koordynująca.
- 3) Powołanie Zespołu Koordynującego nastąpi bezpośrednio po wyłonieniu Jednostki Koordynującej, w okresie przygotowywania realizacji programu w 2009r.
- 4) Przewodniczący, Zastępca Przewodniczącego oraz Członkowie Zespołu Koordynującego zostaną powołani spośród reprezentantów regionalnych centrów leczenia hemofilii (każde regionalne centrum leczenia hemofilii może mieć jednego reprezentanta, Przewodniczący Zespołu oraz Zastępca Przewodniczącego Zespołu reprezentują równocześnie swoje centra) oraz reprezentantów organizacji chorych na hemofilię posiadających osobowość prawną (każda organizacja może mieć jednego reprezentanta).
- 5) W posiedzeniach Zespołu Koordynującego mają prawo uczestniczyć w roli obserwatorów przedstawiciele Narodowego Funduszu Zdrowia, Ministerstwa Zdrowia, Agencji Oceny Technologii Medycznych.
- 6) Uchwały Zespołu Koordynującego zapadają na posiedzeniach zwykłą większością głosów, w obecności Przewodniczącego Zespołu lub Zastępcy oraz obecności nie mniej niż 5 członków Zespołu.
- 7) Zadaniem Zespołu Koordynującego jest monitorowanie prawidłowej realizacji celów programu, w oparciu o dane pozyskiwane z rejestru chorych na hemofilię.
- 8) Zespół Koordynujący podejmuje uchwały w szczególności dotyczące:
 - ostatecznej decyzji o kwalifikacji pacjentów do leczenia w ramach poszczególnych modułów przedmiotowego programu,
 - określenia indywidualnych schematów immunotolerencji oraz indywidualnego dawkowania podawanych czynników omijających (aPCC, rVIIa),
 - podjęcia decyzji dotyczących oceny wyników immunotolerencji oraz w przypadku jej sukcesu lub niepowodzenia, podjęcia decyzji o jej zaprzestaniu u danego pacjenta, w oparciu o właściwie wprowadzony do aplikacji komputerowej wniosek o zakwalifikowanie pacjenta do leczenia w ramach programu, przekazany do członków Zespołu Koordynującego,
- 9) Zespół Koordynujący podejmuje również uchwały dotyczące:

- określenia medycznych wytycznych niezbędnych dla przeprowadzenia przez upoważnione podmioty postępowań:

- a. o udzielenie zamówienia publicznego na wybór świadczeniodawców realizujących świadczenie „leczenie w warunkach domowych” ,
- b. o udzielenie zamówienia publicznego na dostarczanie koncentratów czynników krzepnięcia w ramach przedmiotowego świadczenia.

12) Zespół Koordynujący jest niezależny, a jego członkowie nie kontaktują się w sprawach pracy Zespołu, a szczególnie wydawanych opinii, z lekarzem prowadzącym pacjenta, pacjentem lub jakąkolwiek osobą, organizacją czy instytucją, która mogłaby być zainteresowana wydawaniem stosownych opinii. Wszystkie informacje, które mogą mieć znaczenie przy podejmowaniu decyzji mają być zamieszczane jedynie we wniosku nadesłanym za pośrednictwem aplikacji komputerowej obsługującej rejestr chorych.

13) Zadaniem Zespołu Koordynującego jest prowadzenie prac mających na celu dopracowywanie założeń i rozwiązań przedmiotowego programu.

14) Nadzór nad transparentnością działań Zespołu Koordynującego będzie sprawowany poprzez publikowanie niżej wylistowanych dokumentów dotyczących prac Zespołu:

- imion, nazwisk, tytułów naukowych oraz funkcji Przewodniczącego Zespołu, Zastępcy Przewodniczącego Zespołu oraz członków Zespołu.
- protokołów (publikacja nastąpi z poszanowaniem Ustawy o ochronie danych osobowych) z posiedzeń Zespołu,
- dokumentów (publikacja nastąpi z poszanowaniem Ustawy o ochronie danych osobowych), będących efektem prac związanych z kwalifikacją pacjentów do poszczególnych modułów programu,
- raportów dotyczących prac Zespołu związanych z realizacją i rozwojem programu,
- wytycznych stworzonych przez Zespół Koordynujący, w oparciu o które mają być określone przez Zakład Zamówień Publicznych przy Ministrze Zdrowia istotne warunki zamówienia dla przedmiotowych postępowań.

Wyżej wymienione dokumenty będą udostępniane za pośrednictwem portalu internetowego rejestru chorych na hemofilię oraz przekazywane do sekretariatu Jednostki Koordynującej.

- 15) Zespół Koordynujący działa w oparciu o sekretariat, którego siedziba znajduje się w Regionalnym Centrum Leczenia Hemofilii, które uzyska status Jednostki Koordynującej. Sekretariat zajmuje się sprawami formalnymi, w szczególności archiwizacją dokumentów, przekazywaniem korespondencji, kontaktowaniem się z członkami Zespołu, zawiadamianiem o spotkaniach, protokołowaniem posiedzeń udzielaniem informacji dotyczących funkcjonowania Zespołu.
- 16) Posiedzenia Zespołu Zespół Koordynujący odbywają się co najmniej raz w miesiącu, według przyjętego na dany rok harmonogramu ustalonego przez Przewodniczącego Zespołu Zespół Koordynującego. Harmonogram przekazywany jest do Dyrektora Jednostki Koordynującej oraz Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia.
- 17) W okresie przygotowywania realizacji programu w 2010 r. Zespół Koordynujący dokona:
- kwalifikacji pacjentów do poszczególnych modułów przedmiotowego programu (za wyjątkiem modułu dla leczenia nowopowstałego inhibitora),
 - kwalifikacji grupy pacjentów objętych przedmiotowym świadczeniem realizowanym w warunkach domowych w pierwszej kolejności od 1 czerwca 2010 r.,
 - przekazania świadczeniodawcom danych osobowych pacjentów zakwalifikowanych do przedmiotowego programu, niezbędnych dla realizacji przedmiotowego świadczenia.

Sposób realizacji świadczenia „leczenie w warunkach domowych” oraz opis sposobu przeprowadzenia postępowań o udzielenie zamówienia publicznego na wybór świadczeniodawców realizujących świadczenie „leczenie w warunkach domowych” oraz o udzielenie zamówienia publicznego na dostarczanie koncentratów czynników krzepnięcia w ramach świadczenia „leczenie w warunkach domowych”.

Sposób realizacji świadczenia „leczenie w warunkach domowych”.

- 1) Począwszy od 2010 r. przedmiotowy program terapeutyczny zapewni dla pacjentów programu realizację świadczenia „**leczenie w warunkach domowych**”, w ramach którego zostanie zapewnione przez świadczeniodawcę wyłonionego w postępowaniu:
 - 1.1) ściśle monitorowane leczenie domowe z kontrolą zużycia przekazanych w ramach świadczenia leków i sprzętu,

- 1.2) zostanie zapewnione bezpłatne dostarczanie niezbędnych koncentratów czynników krzepnięcia do domów pacjentów,
 - 1.3) niezbędnego sprzętu jednorazowego, także igieł dla obsługi centralnych dostępuów żylnych dla dzieci, u których taki dostęp jest założony,
 - 1.4) niezbędnych środków dezynfekcyjnych dla obsługi centralnych dostępuów żylnych dla dzieci, u których taki dostęp jest założony,
 - 1.5) świadczeniodawca realizujący przedmiotowe świadczenie odbiera od pacjentów zużyty sprzęt jednorazowy i utylizuje go na swój koszt.
- 2) Świadczeniodawca realizujący przedmiotowe świadczenie zapewni:
- 2.1) Zgodny z wymaganiami personel medyczny, który zapewni prawidłową pod względem medycznym realizację świadczenia „leczenie w warunkach domowych” zgodnie z opisem programu.
 - 2.2) Niezbędne środki logistyczne dla realizacji przedmiotowego świadczenia, gwarantujące koordynację i terminową realizację. W każdym przypadku przechowywanie i dystrybucja koncentratów czynników krzepnięcia musi odbywać się wyłącznie z poszanowaniem Ustawy Prawo Farmaceutyczne.
 - 2.3) Zastosowane przez świadczeniodawcę środki techniczne umożliwią:
 - 2.3)1. pełną identyfikację (w ciągu 24 godzin) zastosowanych u poszczególnych pacjentów koncentratów czynników krzepnięcia (identyfikacja: nazwy handlowej, nazwy międzynarodowej, kodu EAN, dawki, serii i rodzaju dostarczonych i zużytych koncentratów czynników krzepnięcia),
 - 2.3)2. bieżące przekazywanie do rejestru chorych na hemofilie wymaganych danych,
 - 2.3)3. optymalizację utylizacji zastosowanych koncentratów krzepnięcia, poprzez odpowiedni dobór wielkości dostarczanych opakowań,
 - 2.3)4. oraz minimalizację częstotliwości dokonywania zmian rodzajów koncentratów czynnika krzepnięcia zastosowanego u pojedynczego pacjenta.
 - 2.4) Świadczeniodawca będzie dysponował lub zapewni:
 - Niezbędną przestrzeń magazynową dla przechowywania wydawanych koncentratów czynników krzepnięcia, która zapewni warunki i temperaturę przechowywania zgodną z wymaganiami Charakterystyki Produktu Leczniczego.

- Niezbędnymi środkami dla zapewnienia transportu wydawanych koncentratów czynników krzepnięcia, w warunkach i temperaturze zgodnej z wymaganiami Charakterystyki Produktu Leczniczego.
 - Świadczeniodawcy realizujący przedmiotowe świadczenie zagwarantują jego realizację zgodnie z zasadami Dobrej Praktyki Dystrybucyjnej.
 - Na okres uruchamiania realizacji przedmiotowego świadczenia oraz na wypadek czasowej niemożności jego realizacji w domach pacjentów, alternatywny sposób realizacji przedmiotowego świadczenia za pośrednictwem aptek szpitalnych regionalnych i lokalnych centrów leczenia hemofilii. Odbiór czynników krzepnięcia i innych niezbędnych materiałów będzie dokonywany samodzielnie przez chorych lub ich opiekunów z w/w centrów (przy użyciu technicznych urządzeń dostarczonych przez świadczeniodawcę, które zapewnią warunki i temperaturę przechowywania koncentratów czynników krzepnięcia zgodną z wymaganiami Charakterystyki Produktu Leczniczego oraz przy użyciu personelu medycznego świadczeniodawcy) lub za pośrednictwem innego świadczeniodawcy, który został wybrany w ramach przedmiotowego postępowania.
 - Regularną, realizację przedmiotowego świadczenia w domu pacjenta co 3 miesiące, w uzgodnionym z opiekunem pacjenta czasie.
 - Możliwość realizacji w porozumieniu z lokalnym centrum leczenia hemofilii w ciągu 48 godzin od zlecenia, przedmiotowego świadczenia „na żądanie”, w przypadku większego niż przewidziane przez lekarza zużycia miesięcznego (np. częstsze krwawienia). W powyższym przypadku świadczenie to może być zrealizowane, po powiadomieniu lokalnego centrum leczenia hemofilii przez opiekuna pacjenta.
- 2.5) W przypadku złożenia pisemnej prośby przez opiekuna pacjenta za pośrednictwem apteki szpitalnej lokalnego centrum leczenia hemofilii (z miesięcznym wyprzedzeniem, w innym przypadku będzie wymagana zgoda świadczeniodawcy oraz lokalnego centrum leczenia hemofilii), świadczeniodawca oraz lokalne centrum leczenia hemofilii umożliwią wyjątkowo realizację przedmiotowego świadczenia w lokalnym centrum leczenia hemofilii w uzgodnionym z opiekunem chorego czasie. Odbiór czynników krzepnięcia i innych niezbędnych materiałów będzie dokonywany samodzielnie przez chorych lub ich opiekunów z w/w centrów (przy użyciu

- technicznych urządzeń dostarczonych przez świadczeniodawcę, które zapewnią warunki i temperaturę przechowywania koncentratów czynników krzepnięcia zgodną z wymaganiami Charakterystyki Produktu Leczniczego oraz przy użyciu personelu medycznego świadczeniodawcy).
- 2.6) W ramach realizacji przedmiotowego świadczenia zostanie zabezpieczona możliwość transportu i przechowywania (przy użyciu technicznych urządzeń dostarczonych przez świadczeniodawcę, które zapewnią warunki i temperaturę przechowywania koncentratów czynników krzepnięcia zgodną z wymaganiami Charakterystyki Produktu Leczniczego) koncentratów czynników krzepnięcia pochodzących z puli Narodowego Programu Leczenia Hemofilii Na Lata 2005 – 2011, do aptek szpitalnych lokalnych i regionalnych centrów leczenia hemofilii, na wypadek konieczności leczenia szpitalnego chorych zakwalifikowanych do programu.
- 2.7) Wielkość przedmiotowej rezerwy określi Zespół Koordynujący w porozumieniu z dyrektorami poszczególnych centrów leczenia.
- 2.8) Regionalne i lokalne centra leczenia hemofilii nie muszą dysponować przestrzenią magazynową dla przechowywania wszystkich dostarczanych do pacjentów opakowań koncentratów czynników krzepnięcia, za wyjątkiem niezbędnej przestrzeni (w warunkach i temperaturze zgodnej z wymaganiami Charakterystyki Produktu Leczniczego) dla zabezpieczenia możliwości przechowywania rezerwy koncentratów czynników krzepnięcia na wypadek konieczności leczenia szpitalnego chorych zakwalifikowanych do programu oraz dla przechowywania koncentratów czynników krzepnięcia dla realizacji przedmiotowego świadczenia w lokalnym lub regionalnym centrum leczenia hemofilii (przy użyciu technicznych urządzeń dostarczonych przez świadczeniodawcę, które zapewnią warunki i temperaturę przechowywania koncentratów czynników krzepnięcia zgodną z wymaganiami Charakterystyki Produktu Leczniczego)
- 2.9) Dostarczane w ramach przedmiotowego świadczenia koncentraty czynników krzepnięcia zostaną podzielone na partie równe 3 miesięcznemu (kwartalnemu) zapotrzebowaniu.
- 2.10) Procedura związana z dostarczaniem koncentratów czynników krzepnięcia chorym w ramach realizacji świadczenia „leczenie w warunkach domowych” ,

będzie się odbywała za pośrednictwem aptek szpitalnych lokalnych i regionalnych centrów leczenia hemofilii.

- 2.11) Świadczeniodawca, który zrealizował przedmiotowe świadczenie w danym kwartale, przedstawi w sekretariacie Regionalnego Centrum Leczenia Hemofilii posiadającego status Jednostki Koordynującej faktury oraz dokumenty potwierdzające jego realizację razem z fakturami za przekazane pacjentom w ramach świadczenia koncentraty czynników krzepnięcia, które przekazane zostaną do rozliczenia realizacji przedmiotowego świadczenia z Narodowym Funduszem Zdrowia. Ze środków przekazanych bez zbędnej zwłoki przez Narodowy Fundusz Zdrowia, Regionalne Centrum Leczenia Hemofilii posiadające status Jednostki Koordynującej opłaci zobowiązania wobec świadczeniodawcy i podmiotów odpowiedzialnych (w rozumieniu Ustawy Prawo Farmaceutyczne) wynikające z realizacji przedmiotowego świadczenia.
- 2.12) W związku ze złożonością procesu realizacji przedmiotowego świadczenia, która wymaga znacznej precyzji przy jej opracowywaniu, wprowadzaniu i kontroli oraz w związku z faktem, że powyższe zapisy programu wymagają czasu dla ich pełnej implementacji przez świadczeniodawców, uruchomienie realizacji przedmiotowego świadczenia będzie przebiegało w etapach.
- 2.13) W okresie implementacji programu (do 31 maja 2010 r.) realizacja przedmiotowego świadczenia będzie realizowana w lokalizacji lokalnych centrów leczenia z użyciem dostarczonych przez świadczeniodawcę środków technicznych (które zapewnią warunki i temperaturę przechowywania koncentratów czynników krzepnięcia zgodną z wymaganiami Charakterystyki Produktu Leczniczego) oraz personelu. Odbiór czynników krzepnięcia i innych niezbędnych materiałów będzie dokonywany samodzielnie przez chorych lub ich opiekunów z w/w centrów w uzgodnionym z opiekunami chorych czasie.
- 2.14) W okresie od 1 czerwca 2010 r. do 31 sierpnia 2010 r. zostanie rozpoczęta realizacja przedmiotowego świadczenia w domach pacjentów dla ograniczonej grupy pacjentów zakwalifikowanej przez Zespół Koordynujący.
- 2.15) Począwszy od 1 września 2010 r. przedmiotowe świadczenie będzie realizowane wyłącznie w domach pacjentów (z zachowaną wyjątkowo

możliwością realizacji przedmiotowego świadczenia w lokalizacji lokalnego centrum leczenia hemofilii zgodnie z powyższym opisem).

Opis sposobu przeprowadzenia postępowań o udzielenie zamówienia publicznego na wybór świadczeniodawców realizujących świadczenie „leczenie w warunkach domowych” oraz o udzielenie zamówienia publicznego na dostarczanie koncentratów czynników krzepnięcia w ramach świadczenia „leczenie w warunkach domowych”

1) Podmiotem zobowiązanym do zlecenia przeprowadzenia przedmiotowych postępowań będzie Regionalne Centrum Leczenia Hemofilii wyłonione w drodze konkursu ofert jako posiadające status Jednostki Koordynującej, przy którym powstanie Zespół Koordynujący. Będzie ono upoważnione przez pozostałe regionalne centra leczenia hemofilii do przeprowadzenia postępowań:

- o udzielenie zamówienia publicznego na wybór świadczeniodawców realizujących świadczenie „leczenie w warunkach domowych” ,
- o udzielenie zamówienia publicznego na dostarczanie koncentratów czynników krzepnięcia w ramach przedmiotowego świadczenia.

2) Regionalne Centrum Leczenia Hemofilii, posiadające status Jednostki Koordynującej zwróci się do Ministra Zdrowia o zlecenie Zakładowi Zamówień Publicznych przy Ministrze Zdrowia przeprowadzenia przedmiotowych postępowań.

3) Istotne warunki zamówienia zostaną określone przez Zakład Zamówień Publicznych przy Ministrze Zdrowia w oparciu o medyczne wytyczne określone przez Zespół Koordynujący, który to Zakład przeprowadzi przedmiotowe postępowania oraz zapewni niezbędną obsługę administracyjną i formalno-prawną.

4) Zabezpieczeniem finansowania przedmiotowego świadczenia będzie kontrakt z Narodowym Funduszem Zdrowia.

5) Przedmiotowe postępowanie będzie polegało na jednoczasowym wyłonieniu:

- świadczeniodawcy lub świadczeniodawców realizujących przedmiotowe świadczenie,
- podmiotu odpowiedzialnego (w rozumieniu Ustawy Prawo Farmaceutyczne) (lub podmiotów odpowiedzialnych (w rozumieniu Ustawy Prawo Farmaceutyczne)), któremu (lub którym) zostanie powierzone dostarczanie koncentratów czynników krzepnięcia w ramach świadczenia „leczenie w warunkach domowych” , począwszy od dnia 1 stycznia 2010 r.

6) Kryteriami wyboru w ramach przedmiotowych postępowań będą:

- spełnienie kryteriów istotnych warunków zamówienia,
- spełnienie kryteriów opisu programu,
- koszt realizacji świadczenia i koszt koncentratów krzepnięcia dostarczanych w ramach przedmiotowego świadczenia.
- złożenie pisemnej deklaracji przez podmioty odpowiedzialne (w rozumieniu Ustawy Prawo Farmaceutyczne) o uwzględnieniu w ofercie zasady odpowiedzialności finansowanej. Przedmiotowa deklaracja powinna również zawierać informacje o koszcie realizacji przedmiotowej odpowiedzialności w ramach złożonej oferty.

7) - złożenie pisemnej deklaracji przez podmiot odpowiedzialny (w rozumieniu Ustawy Prawo Farmaceutyczne), o złożeniu jednocześnie oferty przez współpracującego z nim świadczeniodawcę na realizację świadczenia „leczenie w warunkach domowych”, za pośrednictwem którego dostarczane przez podmiot odpowiedzialny (w rozumieniu Ustawy Prawo Farmaceutyczne) koncentraty czynników krzepnięcia będą dystrybuowane do pacjentów zakwalifikowanych do programu. Złożona oferta podmiotu odpowiedzialnego (w rozumieniu Ustawy Prawo Farmaceutyczne) na dostawę koncentratów czynników krzepnięcia będzie rozpatrywana tylko w przypadku spełnienia przedmiotowej deklaracji. W celu zabezpieczenia stałego poziomu kosztów realizacji przedmiotowego programu, zostaną zawarte umowy ramowe,

8) Przedmiotowe umowy ramowe będą zawierać zapisy gwarantujące, że:

- a. Podmiot odpowiedzialny (w rozumieniu Ustawy Prawo Farmaceutyczne) zobowiąże się do utrzymania stabilnych dostaw zagwarantowanych dla dostaw w umowie ramowej koncentratów czynników krzepnięcia przez cały okres trwania umowy ramowej oraz do ich dostępności dla dostaw przez okres co najmniej 3 lat od momentu jej zakończenia.
- b. W przypadku gdy wystąpi brak możliwości wywiązania się przez podmiot odpowiedzialny (w rozumieniu Ustawy Prawo Farmaceutyczne) z zapisów umowy ramowej z powodu zaprzestania produkcji zagwarantowanych dla dostaw w umowie ramowej koncentratów czynników krzepnięcia podmiot odpowiedzialny (w rozumieniu Ustawy Prawo Farmaceutyczne) wywiąże się z umowy dostarczając na warunkach zapisanych w umowie aktualnie produkowane koncentraty czynników krzepnięcia, które zostaną uznane przez Agencję Oceny Technologii Medycznych za równoważne lub lepsze.

- 9) Do 31 grudnia 2009 r. Regionalne Centrum Leczenia Hemofilii, posiadające status Jednostki Koordynującej, po zakończeniu przedmiotowych postępowań realizując zawarte umowy ramowe, podpiszą następujące umowy:
- z podmiotami odpowiedzialnym (w rozumieniu Ustawy Prawo Farmaceutyczne) na dostarczanie koncentratów czynników krzepnięcia w ramach świadczenia „leczenie w warunkach domowych” , pokrywającymi zapotrzebowanie począwszy od dnia 1 stycznia 2010 r.
 - ze świadczeniodawcami realizującymi świadczenie „leczenie w warunkach domowych” , wyłonionymi w przedmiotowym postępowaniu, począwszy od dnia 1 stycznia 2010 r.
- 10) Warunkiem złożenia udzielenie zamówienia publicznego na dostarczanie koncentratów czynników krzepnięcia w ramach

Począwszy od 2010 r. przy Regionalnym Centrum Leczenia Hemofilii, które uzyska status Jednostki Koordynującej, powstanie (ze środków finansowych programu) nowy rejestr pacjentów razem z aplikacją komputerową do jego obsługi, który będzie gromadził i udostępniał upoważnionym osobom i podmiotom, w zakresie upoważnienia, w czasie rzeczywistym za pośrednictwem portalu internetowego następujące informacje:

Zakres gromadzonych danych:

- Wiek pacjentów.
- Aktualny adres pobytu niezbędny do realizacji dostaw leków substytucyjnych w leczeniu domowym.
- Rodzaj skazy krwotocznej i jej ciężkość (poziom czynników krzepnięcia na podstawie którego postawiono rozpoznanie).
- Prowadzenie rejestru krwawień dla danego pacjenta.
- Rejestracje działań niepożądanych:
 - 1..1. Wystąpienie inhibitora, jego poziom i datę wykrycia.
 - 1..2. Wystąpienie zakażeń będących następstwem stosowania koncentratów czynników krzepnięcia (leków substytucyjnych): WZW, vCJD, HIV.
 - 1..3. Wystąpienie reakcji alergicznych.
- Rodzaj, nazwę handlową, nazwę międzynarodową, kodu EAN, serię, wielkość opakowania i dawkę dostarczanych i przyjmowanych leków substytucyjnych.
- Miejsce, datę, godzinę zamówienia oraz datę i godzinę dostawy poszczególnych opakowań leków substytucyjnych.

- Miejsce, datę oraz rodzaj innych świadczeń udzielanych dla poszczególnych pacjentów.
- Dane na temat prowadzonych w Polsce badań klinicznych leków substytucyjnych stosowanych w hemofilii z udziałem dzieci do 18 r. życia: dane sponsora badania lub jego prawnego przedstawiciela, adres i nazwę ośrodka, datę rozpoczęcia, nazwisko badacza, dane pacjentów biorących w nich udział.
- Koszt świadczeń, leków substytucyjnych dla każdego pacjenta.
- Rejestrację zgonów.

Rejestr ma umożliwiać:

- Określenie zachorowalności i ilości pacjentów w powiatach i województwach.
- Planowanie zapotrzebowania na poszczególne leki substytucyjne.
- Dostarczać danych umożliwiających oszacowanie przewidywanego czasu życia pacjentów chorych na poszczególne skazy krwotoczne.
- Umożliwiać dostęp do istotnych klinicznie i diagnostycznie danych populacji pacjentów.
- Monitorowanie sposobu leczenia pacjentów, analizę jego efektywności oraz efektywności kosztowej w poszczególnych centrach.
- Optymalizację kosztów leczenia.
- Usprawnianie procesów przetargowych.
- Planową modyfikację priorytetów programu.

Przeprowadzenie postępowania o udzielenie zamówienia publicznego na wykonanie rejestru oraz aplikacji komputerowej do jego obsługi wraz ze stworzeniem specyfikacji istotnych warunków zamówienia zostanie zrealizowane przez Regionalne Centrum Leczenia Hemofilii posiadające status Jednostki Koordynującej, pod nadzorem merytorycznym Zespołu Koordynującego.

Bieżące administrowanie rejestrem zostanie zlecone przez Jednostkę Koordynującą podmiotowi, który rejestr wykona lub innemu w tym celu wybranemu podmiotowi.

Pełny nadzór merytoryczny nad rejestrem będzie sprawowany przez Zespół Koordynujący we współpracy z wszystkimi regionalnymi centrami leczenia hemofilii.

Opis zadań, których realizacja będzie wymagana przez świadczeniodawców udzielających świadczenia w ramach programu terapeutycznego.

- 1) Zakres zadań i świadczeń realizowanych przez regionalne centra leczenia hemofilii obejmuje:
 - Przejmują zadania dotychczasowych ośrodków referencyjnych.

- Poprzez wyrażenie formalnej zgody na przeprowadzenie postępowań oraz poprzez udział w Zespole Koordynującym, wsparcie merytoryczne postępowań o udzielenie zamówienia publicznego na wybór świadczeniodawców realizujących świadczenie „leczenie w warunkach domowych” oraz o udzielenie zamówienia publicznego na dostarczanie koncentratów czynników krzepnięcia w ramach świadczenia „leczenie w warunkach domowych” .
- Monitorowanie pod względem medycznym realizacji świadczenia „leczenie w warunkach domowych”, w oparciu o dane pozyskiwane z rejestru pacjentów.
- Monitorowanie realizacji celów programu i pracy lokalnych centrów leczenia skaz krwotocznych na podległym terenie”, w oparciu o dane pozyskiwane z rejestru pacjentów oraz w oparciu o informacje pozyskane z lokalnych centrów leczenia hemofilii i od opiekunów chorych.
- Bieżące przekazywanie do rejestru wyników badań chorych wykonanych na podstawie indywidualnych decyzji Zespołu Koordynującego.
- Wstępna kwalifikacja chorych do realizacji procesu immunotolerancji ITI poprzez dokonanie odpowiedniego wpisu wymaganych danych pacjenta we wniosku o zakwalifikowanie w aplikacji komputerowej obsługującej rejestr chorych na hemofilię, w oparciu o dane pozyskiwane z rejestru pacjentów oraz w oparciu o informacje pozyskane z lokalnych centrów leczenia hemofilii, od opiekunów chorych i w oparciu o wyniki badań chorych.
- Przeprowadzanie procesu immunotolerancji ITI.
- Wstępna kwalifikacja pacjentów do udziału w modułach pierwotnej i wtórnej profilaktyki krwawień w ramach programu poprzez dokonanie odpowiedniego wpisu wymaganych danych pacjenta we wniosku o zakwalifikowanie w aplikacji komputerowej obsługującej rejestr chorych na hemofilię, w oparciu o dane pozyskiwane z rejestru pacjentów oraz w oparciu o informacje pozyskane z lokalnych centrów leczenia hemofilii, od opiekunów chorych i w oparciu o wyniki badań chorych.
- Wstępna kwalifikacja pacjentów do podawania czynników omijających poprzez dokonanie odpowiedniego wpisu wymaganych danych pacjenta we wniosku o zakwalifikowanie w aplikacji komputerowej obsługującej rejestr chorych na hemofilię, w oparciu o dane pozyskiwane z rejestru pacjentów oraz w oparciu o

informacje pozyskane z lokalnych centrów leczenia hemofilii, opiekunów chorych i w oparciu o wyniki badań chorych.

- Monitorowanie działań niepożądanych leków substytucyjnych na podległym terenie.
- 24 godzinna dostępność do diagnostyki dotyczącej badań przesiewowych oraz oznaczeń aktywności czynnika VIII i IX oraz leczenia wszystkich skaz krwotocznych.
- 24 godzinny dyżur konsultacyjny dla lokalnych centrów leczenia skaz krwotocznych.
- Tworzenie edukacyjnych programów dla lekarzy.
- 24 godzinny dostęp do bazy diagnostycznej.
- Zapewnienie konsultacji medycznych w zakresie zabezpieczenia osłony hemostatycznej dla pacjentów z hemofilią, którzy zostaną poddani zabiegom chirurgicznym, stomatologicznym i fizjoterapii.
- Dostęp do opieki psychologicznej.

2) Zakres zadań i świadczeń realizowanych przez lokalne centra leczenia hemofilii obejmuje:

- Wstępna kwalifikacja pacjentów do udziału w modułach pierwotnej i wtórnej profilaktyki krwawień w ramach programu poprzez dokonanie odpowiedniego wpisu wymaganych danych pacjenta we wniosku o zakwalifikowanie w aplikacji komputerowej obsługującej rejestr chorych na hemofilię, w oparciu o dane pozyskiwane z rejestru pacjentów oraz w oparciu o informacje pozyskane od opiekunów chorych i w oparciu o wyniki badań chorych.
- 24 godzinna dostępność do diagnostyki i leczenia hemofilii.
- 24 godzinny dyżur konsultacyjny dla lokalnych świadczeniodawców.
- Zapewnienie konsultacji medycznej w zakresie zabezpieczenia osłony hemostatycznej dla pacjentów z hemofilią, którzy zostaną poddani zabiegom chirurgicznym, stomatologicznym i fizjoterapii.
- Realizacja monitorowania leczenia pacjenta zgodnie z opisem programu.
- Bieżące przekazywanie do rejestru pacjentów wyników badań chorych.
- Nawiązanie współpracy z lekarzami pierwszego kontaktu chorych i pielęgniarkami szkolnymi w szkołach do których uczęszczają.
- Przeprowadzanie szkoleń dla pacjentów oraz ich rodzin przy okazji ich wizyt w centrum .
- Dostęp do opieki psychologicznej.

4. Opis działania leku:

Koncentraty czynników krzepnięcia VIII i IX - leczenie ma charakter substytucyjny.

5. Schemat dawkowania leków w programie

1. Pierwotna profilaktyka krwawień:

1.1 czynnik VIII:

dzieci do ukończenia 2 r. życia – 25 - 40 jednostek/ kg m.c. 2 razy w tygodniu,
dzieci powyżej 2 r. życia. – 25-40 j/kg m.c. 2 - 3 razy tygodniowo z zastrzeżeniem że
podawanie 2 razy tygodniowo dotyczy dzieci dotychczas leczonych 2 razy
tygodniowo z dobrym efektem;

1.2 czynnik IX: 25 -50 jednostek/ kg m.c. 2 razy w tygodniu.

2. Wtórna profilaktyka krwawień:

2.1 czynnik VIII:

dzieci do ukończenia 2 r. życia – 25 - 40 jednostek/ kg m.c. 2 razy w tygodniu,
dzieci powyżej 2 r. życia. – 25 – 40 jednostek/ kg m.c. 3 razy w tygodniu;

2.2 czynnik IX: 25 -50 jednostek / kg m.c. 2 razy w tygodniu.

3. U dzieci, u których konieczne jest założenie centralnego dostępu żylnego,

zapewnienie czynnika VIII lub IX do zabiegu, według schematu:

3.1 Pierwsza doba: 40 do 70 jednostek/ kg m.c. co 8 godzin

3.2 Druga do piątej doby: 30 do 50 jednostek/ kg m.c. co 12 godzin

3.3 Szósta doba jednorazowo: 30 do 50 jednostek/ kg m.c.

3.4 Dziesiąta doba (zdjęcie szwów) jednorazowo: 30 do 50 jednostek/ kg m.c.

Dawkowanie koncentratów czynnika krzepnięcia u pacjentów, u których stwierdzono utrzymywanie się inhibitora w mianie poniżej 5 B.U., oraz nieskuteczność leczenia w dotychczasowej dawce, może zostać ustalone indywidualnie przez Zespół Koordynujący

6. Badania diagnostyczne wykonywane w ramach programu

. W ramach kwalifikacji świadczeniobiorcy do udziału w programie, na podstawie decyzji lekarza lokalnego lub regionalnego centrum leczenia hemofilii, wykonuje się następujące badania:

1.1 Badania przesiewowe:

- Czas krwawienia (metodą Copley'a).
- Badanie aktywności płytek krwi na aparacie PFA-100.
- Czas częściowej tromboplastyny po aktywacji (aPTT).
- Czas protrombinowy (PT).
- Czas trombinowy (TT).

1.2 Wykonanie testu korekcji osoczem prawidłowym.

1.3 Ocena aktywności czynników krzepnięcia I, VIII i IX, von Willebranda (vWFRCo), XI, XII.

1.4 Antygen czynnika von Willebranda (vWFAg).

1.5 Ocena miana inhibitora czynnika VIII i IX (test Bethesda w modyfikacji Nijmegen).

1.6 Wykonanie badań wirusologicznych (w tym HCV PCR, HBV PCR).

1.7 Morfologia krwi.

1.8 W związku z realizacją modułów programu – inne niż wymienione badania będą wykonane na podstawie indywidualnych decyzji Zespołu Koordynującego, regionalne centra leczenia hemofilii będą zobligowane do zapewnienia do nich dostępu.

2. Monitorowanie leczenia

2.1 Ocena skuteczności leczenia:

W zależności od oceny klinicznej należy wykonać:

- RTG stawów - nie częściej niż raz w roku.
- USG stawów - nie rzadziej niż raz w roku.
- NMR w razie trudności diagnostycznych w ocenie stawów.

2.2 W ramach monitorowania leczenia obowiązkowe jest prowadzenie rejestru

krwawień dla danego pacjenta oraz rejestracja danych wymaganych w programie do prowadzenia rejestru dla każdego pacjenta.

2.3 Na podstawie decyzji lekarza lokalnego lub regionalnego centrum leczenia hemofilii możliwe jest w ramach monitorowania leczenia wykonanie następujących badań:

Badania przesiewowe średnio co 3 miesiące:

- czas częściowej tromboplastyny po aktywacji (aPTT),
- czas protrombinowy (PT)
- Ocena aktywności czynników krzepnięcia VIII i IX – 2 razy w roku oraz w zależności od sytuacji klinicznej powyższe badanie należy wykonać w razie braku skuteczności czynnika w dotychczasowej dawce oraz w innych uzasadnionych sytuacjach (np. przed zabiegami i procedurami inwazyjnymi lub po zmianie produktu leczniczego koncentratu czynnika krzepnięcia na inny).

Oznaczanie inhibitora:

- do 150 przetoczeń, co 3 miesiące, lub po każdym 10 przetoczeniach,
- powyżej 150 przetoczeń co 6 do 12 miesięcy.
- w momencie zmiany produktu leczniczego koncentratu czynnika krzepnięcia na inny.
- w przypadku stwierdzenia braku skuteczności czynnika w dotychczasowej dawce – nie rzadziej niż w momencie stwierdzenia braku skuteczności czynnika w dotychczasowej dawce, potem po 30 dniach.

W przypadku nie wykrycia inhibitora kolejne jego oznaczenia powinny być wykonywane zgodnie z powyższym opisem.

W przypadku wykrycia inhibitora, kolejne jego oznaczenia powinny być wykonywane co 3 miesiące (możliwa jest zmiana częstotliwości oznaczania inhibitora na podstawie decyzji lekarza regionalnego centrum leczenia hemofilii).

- Aminotransferaza alaninowa (AlAT) co najmniej raz w roku.
- Aminotransferaza asparaginianowa (AspAT) co najmniej raz w roku.
- Obecność przeciwciał anti-HBs.
- Obecność antygenu HBS (w przypadku braku miana zabezpieczającego przeciwciał anti-HBS), u dodatnich przeciwciała anti-HBc i anti HBe, DNA HBV.
- Przeciwciała anti-HCV (raz w roku), u dodatnich RNA HCV.

Przeciwciała anti-HIV (w uzasadnionych przypadkach), u dodatnich RNA HIV.

- USG naczyń w okolicy dościa żylnego nie rzadziej niż raz w roku.

- Badanie ogólne moczu.

Monitorowanie programu:

Na monitorowanie programu składa się:

a) monitorowanie leczenia

W celu przeprowadzenia kwalifikacji pacjenta do udziału w programie i monitorowania leczenia świadczeniodawca jest zobowiązany wykonać w wyznaczonych terminach badania, których lista i harmonogram wykonania zawiera załącznik nr 1 do programu.

Dane dotyczące monitorowania leczenia należy gromadzić w dokumentacji pacjenta i każdorazowo przedstawiać na żądanie kontrolerom NFZ.

b) przekazywanie do NFZ zakresu informacji sprawozdawczo-rozliczeniowych ujętych w załączniku nr 4 do umowy.

c) Wymagania wobec świadczeniodawców udzielających świadczeń w ramach programu terapeutycznego, ujęto w załączniku nr 3 do Zarządzenia.

¹ Przyjęto, że odpowiedzialność za finansowanie pełnych kosztów leczenia nowo powstałego inhibitora (krążący antykoagulant) ponosi podmiot odpowiedzialny (w rozumieniu Ustawy Prawo Farmaceutyczne), którego koncentrat czynnika krzepnięcia został zastosowany jako ostatni przed wykryciem inhibitora. Natomiast odpowiedzialność za finansowanie pełnych kosztów leczenia zakażeń (WZW, vCJD, HIV) spowodowanych zastosowaniem koncentratów czynników krzepnięcia poniesie podmiot odpowiedzialny (w rozumieniu Ustawy Prawo Farmaceutyczne), w przypadku, gdy zostanie udowodnione, że jego koncentrat czynnika krzepnięcia był źródłem zakaźnego patogenu, który spowodował zakażenie. Wymóg zachowania przedmiotowej zasady odpowiedzialności zostanie zapisany w specyfikacji przetargowej i zostanie zagwarantowany w umowie z podmiotami odpowiedzialnymi (w rozumieniu Ustawy Prawo Farmaceutyczne).