

PROGRAMUL NAȚIONAL DE TRATAMENT AL HEMOFILIEI ȘI TALASEMIEI

Activități:

1. asigurarea, în spital și în ambulatoriu, prin farmaciile cu circuit închis, a medicamentelor specifice pentru prevenția și tratamentul accidentelor hemoragice ale bolnavilor cu hemofilie congenitală (hemofilia A și B), boala von Willebrand) și hemofilie dobândită
2. asigurarea, în spital și în ambulatoriu, prin farmaciile cu circuit închis, a tratamentului cu chelatori de fier pentru bolnavii cu talasemie.

Criterii de eligibilitate:

1) hemofilia congenitală:

a) bolnavi cu hemofilie, congenitală fără inhibitori:

a.1) pentru tratamentul sau substituția profilactică continuă:

- bolnavi cu hemofilie congenitală A și B fără inhibitori cu vârsta 1 - 18 ani și cu vârsta peste 18 ani la care s-a început deja tratamentul profilactic din perioada copilăriei, cu formă congenitală severă de boală (deficit congenital de F VIII sau F IX \leq 1% sau 1 - 2% cu fenotip sever);

a.2) pentru tratamentul sau substituția profilactică intermitentă/de scurtă durată:

- bolnavi cu hemofilie congenitală fără inhibitori indiferent de vârstă:

- pe perioada curelor de recuperare locomotorie fizio-kinetoterapeutică, perioada stabilită fiind bine documentată;
- în caz de articulații țintă (> 4 sângerări într-o articulație într-o perioadă de 6 luni) bine documentat;
- în caz de efort fizic intensiv (călătorie, ortostatism prelungit, vacanță/concediu) pe o perioadă care să nu depășească anual 20 de săptămâni.
- prevenirea accidentelor hemoragice cu localizare cu potențial risc vital bine documentat;
- bolnavi la care s-a efectuat protezare articulară

a.3) pentru tratamentul "on demand" (curativ) al accidentelor hemoragice:

- bolnavi cu hemofilie congenitală fără inhibitori, cu episod hemoragic, indiferent de vârstă și grad de severitate

b) bolnavi cu hemofilie congenitală cu inhibitori:

b.1) pentru profilaxia secundară regulată pe termen lung:

- bolnavii cu hemofilie congenitală cu inhibitori cu vârsta 1-18 ani în următoarele cazuri:

- prezența unor inhibitori persistenți, cu titru mare asociați cu un tratament nereușit de inducere a toleranței imune (ITI), sau
- bolnavi care urmează protocolul ITI până se obține toleranța satisfăcătoare (titru inhibitori < 0,6 UB, recovery F VIII / IX > 66%, T $\frac{1}{2}$ F VIII / FIX > 6 ore)
- din motive obiective, nu se poate efectua tratamentul de inducere a toleranței imune (ITI).

b.2) pentru profilaxia secundară pe termen scurt/intermitentă:

- bolnavii cu hemofilie congenitală cu inhibitori indiferent de vârstă:

- pe perioada curelor de recuperare locomotorie fizio-kinetoterapeutică, perioada stabilită fiind bine documentată;
- în caz de articulații țintă (> 4 sângerări într-o articulație într-o perioadă de 6 luni) bine documentat;
- în caz de efort fizic intensiv (călătorie, ortostatism prelungit, vacanță/concediu) pe o perioadă care să nu depășească anual 20 de săptămâni.
- prevenirea accidentelor hemoragice cu localizare cu potențial risc vital bine documentat;
- bolnavi la care s-a efectuat protezare articulară.

b.3) pentru tratamentul de oprire a sângerărilor:

- bolnavi cu hemofilie congenitală cu inhibitori, cu episod hemoragic, indiferent de vârstă și grad de severitate

c) bolnavi cu hemofilie congenitală cu și fără inhibitori, pentru tratamentul de substituție în cazul intervențiilor chirurgicale și ortopedice:

- bolnavi, indiferent de vârstă, cu hemofilie congenitală cu și fără inhibitori care necesită intervenții chirurgicale sau ortopedice.

2) bolnavi cu boala von Willebrand

a) pentru tratamentul profilactic de lungă durată: pacienții cu formă severă de boală, cu vârsta sub 18 ani și cei peste 18 ani care au beneficiat anterior de profilaxie

b) pentru tratamentul profilactic de scurtă durată: înainte, intra- și post-intervenții sângerânde (ortopedice, chirurgicale, stomatologice), în perioada fiziokinetoterapiei recuperatorii, la femeile gravide pentru menținerea unor nivele plasmatiche de FVIII / FvW de > 50 % atât antepartum, cât și post-partum cel puțin 7-10 zile.

c) pentru tratamentul "on demand":

- episoade usoare de hemoragie care nu au răspuns la tratamentul cu DDAVP, indiferent de tipul bolii von Willebrand și de vârstă

- episoade moderate sau severe de hemoragie, indiferent de tipul bolii von Willebrand și de vârstă.

3) hemofilia dobândită clinic manifestă:

- în cazul hemoragiilor la bolnavi fără antecedente personale (și familiale) care dezvoltă autoanticorpi (anticorpi inhibitori) împotriva propriilor factori de coagulare endogeni, având ca rezultat reducerea semnificativă a activității factorului respectiv și consecutiv alterarea coagulării.

4) talasemie majoră:

- bolnavi cu talasemie care la initierea tratamentului chelator de fier au vârsta de cel puțin 2 ani și nivelul feritinei serice egal sau mai mare de 1000 ng/mL;
- bolnavi cu talasemie care, după inițierea tratamentului chelator de fier, prezintă hemocromatoză secundară post-transfuzională, cu un nivel al feritinei serice care poate să fie mai mare sau mai mic de 1000 ng/mL.

Indicatori de evaluare:

1) indicatori fizici:

- a. număr de bolnavi cu hemofilie congenitală fără inhibitori/boală von Willebrand cu substituție profilactică continuă: 200
- b. număr de bolnavi cu hemofilie congenitală fără inhibitori/boală von Willebrand cu substituție profilactică intermitentă/de scurtă durată: 250
- c. număr de bolnavi cu hemofilie congenitală fără inhibitori/boală von Willebrand cu tratament „on demand”: 752
- d. număr de bolnavi cu vârsta 1-18 ani cu hemofilie congenitală cu inhibitori cu titru mare cu profilaxie secundară pe termen lung: 10
- e. număr de bolnavi cu hemofilie congenitală cu inhibitori cu profilaxie secundară pe termen scurt/intermitentă: 20
- f. număr de bolnavi cu hemofilie congenitală cu inhibitori cu tratament de oprire a sângerărilor: 43
- g. număr de bolnavi cu hemofilie congenitală cu și fără inhibitori/boală von Willebrand, pentru tratamentul de substituție în cazul intervențiilor chirurgicale și ortopedice: 50
- h. număr de bolnavi cu hemofilie dobândită simptomatică cu tratament de substituție: 20
- i. i) număr de bolnavi cu talasemie: 200;

2) indicatori de eficiență:

- a. cost mediu/bolnav cu hemofilie congenitală fără inhibitori/boală von Willebrand cu substituție profilactică continuă/an: 240.266,30 lei
- b. cost mediu/bolnav cu hemofilie congenitală fără inhibitori/boală von Willebrand cu substituție profilactică intermitentă/de scurtă durată /an: 166.110 lei
- c. cost mediu/bolnav cu hemofilie congenitală fără inhibitori/boală von Willebrand cu tratament „on demand”/an: 63.280 lei
- d. cost mediu/bolnav cu hemofilie congenitală cu inhibitori cu profilaxie secundară pe termen lung/an: 1.458.000 lei
- e. cost mediu/bolnav cu hemofilie congenitală cu inhibitori cu profilaxie secundară pe termen scurt/intermitentă/an: 787.500 lei
- f. cost mediu/bolnav cu hemofilie congenitală cu inhibitori cu tratament de oprire a sângerărilor/an: 787.500 lei
- g. cost mediu/bolnav cu hemofilie congenitală cu/fără inhibitori/boală von Willebrand, pentru tratamentul de substituție în cazul intervențiilor chirurgicale și ortopedice/an: 315.000 lei
- h. cost mediu/bolnav cu hemofilie dobândită cu tratament de substituție/an: 313.600 lei;
- i. cost mediu/bolnav cu talasemie /an: 51.000 lei.

Costurile medii reprezintă costurile medii/bolnav/an estimate la nivel național, costurile medii pentru fiecare bolnav fiind în concordanță cu schema terapeutică stabilită conform prevederilor protocolului terapeutic al hemofiliei A și B și al bolii von Willebrand aprobat prin Ordinul ministrului sănătății și al președintelui Casei Naționale de Asigurări de Sănătate nr. 1301/500/2008 pentru aprobarea protoalelor terapeutice privind prescrierea medicamentelor aferente denumirilor comune internaționale prevăzute în Lista cuprinzând denumirile comune internaționale corespunzătoare medicamentelor de care beneficiază asigurații, cu sau fără

contribuție personală, pe bază de prescripție medicală, în sistemul de asigurări sociale de sănătate, aprobată prin Hotărârea Guvernului nr. 720/2008, cu modificările și completările ulterioare.

Natura cheltuielilor programului:

- cheltuieli pentru medicamente specifice.

Unități care derulează programul:

1) Tratamentul bolnavilor care nu necesită intervenții chirurgicale:

- Institutul Național de Hematologie Transfuzională "Prof. Dr. C.T. Nicolau" București;
- Clinica de Hematologie Fundeni, Clinica de Pediatrie Fundeni București;
- Institutul pentru Ocrotirea Mamei și Copilului "Prof. Dr. Alfred Rusescu" București;
- Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Louis Țurcanu" Timișoara;
- Spitalul Clinic Colțea bucurești;
- Centrul Medical de Evaluare și Recuperare pentru Copii și Tineri "Cristian Șerban" Buziaș;
- unități sanitare cu secții sau compartimente de pediatrie și hematologie;
- unități sanitare cu secții sau compartimente de medicină internă pentru județele unde nu există unități sanitare cu secții sau compartimente de hematologie
- unități sanitare aparținând ministerelor cu rețea sanitară proprie;

2. Tratamentul bolnavilor care necesită intervenții chirurgicale:

- Institutul Clinic Fundeni;
- Institutul Național de Hematologie Transfuzională "Prof. Dr. C.T. Nicolau" București;
- Spitalul Clinic Județean de Urgență Timișoara
- Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Louis Țurcanu" Timișoara;
- Spitalul Clinic Județean Craiova;
- Spitalul Clinic Județean de Urgență Târgu Mureș;
- Institutul Oncologic "Prof. Dr. I. Chiricuță" Cluj-Napoca;
- Spitalul Clinic Județean de Urgență "Sf. Spiridon" Iași;
- Spitalul Clinic de Urgențe pentru Copii "Sfânta Maria" Iași;

Notă: unitățile sanitare nominalizate la punctul 2 asigură medicamentele specifice necesare realizării intervențiilor chirurgicale pentru bolnavii cu hemofilie și în unitățile sanitare cu secții sau compartimente de chirurgie/ortopedie care nu sunt nominalizate la acest punct.