

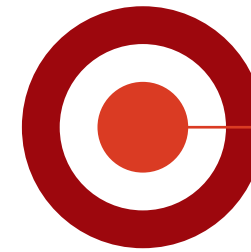


HEMOFILIA

Analiza systemów zarządzania i gospodarowania czynnikami krzepnięcia w Europie



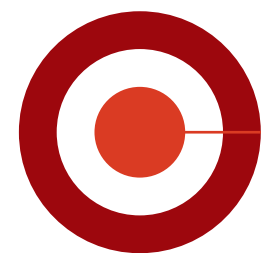
razem
zmieniamy
życie
z hemofilią



Spis treści

1. Opis problemu – kluczowe problemy w opiece nad chorymi na hemofilię	9
2. Zasady organizacji opieki nad chorymi na hemofilię w Europie	13
3. Organizacja opieki nad chorymi na hemofilię w Polsce	27
4. Opieka nad chorymi na hemofilię w wybranych krajach europejskich – stan faktyczny	31
4.1. Szwecja	32
4.2. Finlandia	34
4.3. Irlandia	36
4.4. Wielka Brytania	38
4.5. Francja	40
4.6. Niemcy	42
4.7. Włochy	44
4.8. Belgia	46
4.9. Słowacja	48
4.10. Słowenia	50
4.11. Węgry	52
4.12. Dania	54
4.13. Holandia	56
4.14. Czechy	58
4.15. Austria	60
4.16. Hiszpania	62
4.17. Litwa	64
4.18. Portugalia	66
4.19. Grecja	68
4.20. Chorwacja	70
4.21. Bułgaria	72
4.22. Łotwa	74
4.23. Rumunia	76
4.24. Estonia	78
4.25. Cypr	80
4.26. Luksemburg	82
4.27. Malta	83
5. Podsumowanie	85
6. Piśmiennictwo	95





Wstęp

Hemofilia jest chorobą sierocą, która wymaga leczenia przez całe życie. Dzięki postępom medycyny leczenie to może być bardzo skuteczne – w krajach, w których opieka nad chorymi na hemofilię jest dobrze zorganizowana, czas życia chorych przedłużył się z 11 lat w roku 1920, 23 lat w roku 1950, do podobnego jak w ogólnej populacji mężczyzn obecnie. Zadaniem osób opiekujących się tą grupą chorych jest stworzenie warunków umożliwiających zapobieganie krwawieniom, artropatii hemofilowej, leczenie powikłań wynikających z procesu starzenia się, a także zapewnienie pacjentom dobrej zależności od zdrowia jakości życia.

W 2009 r. Parlament Europejski zatwierdził 10 zasad opieki nad chorymi na hemofilię – „European Principles of Haemophilia Care”, które powinny obowiązywać w krajach Unii Europejskiej (UE). W opracowaniu pt. „Analiza systemów zarządzania i gospodarowania czynnikami krzepnięcia w Europie” zapoznaję się Państwo z informacjami, w jaki sposób jest zorganizowana opieka nad chorymi na hemofilię w 28 krajach UE i 10 krajach do niej nienależących. Dane zostały zaczerpnięte z wielu opracowań przygotowanych przez World Federation of Hemophilia, dokumentów uzyskanych z poszczególnych krajów oraz publikacji naukowych. Wyłania się z niej obraz bardzo zróżnicowany – od Albanii, Bośni i Hercegowiny lub Ukrainy, gdzie średnie roczne zużycie czynnika VIII/1 mieszkańca (miernik jakości leczenia chorych na hemofilię) nie przekracza 1 j.m., do Szwecji, gdzie wynosi on 10,54 j.m. Polska mieści się w środku tej skali z rocznym zużyciem czynnika VIII 4,76 j.m. Uzyskanie takiego wskaźnika świadczy o dużym postępie w leczeniu hemofilii w naszym Kraju w ostatniej dekadzie – w roku 2006 wynosił on 1,7 j.m. „Kamieniem milowym” było wprowadzenie w 2008 r. programu „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”, duże znaczenie miała także realizacja „Narodowego Programu Leczenia Hemofilii i Pokrewnych Skaz Krwotocznych na lata 2012-2018”. Trzeba jednak podkreślić, że na Węgrzech, które uzyskują zbliżony do Polski dochód narodowy przypadający na 1 mieszkańca, wskaźnik ten wynosi 6,35 j.m.

System opieki nad chorymi na hemofilię w Polsce wymaga jeszcze wielu usprawnień, przede wszystkim zorganizowania referencyjnych ośrodków leczenia hemofilii, które umożliwią zapewnienie kompleksowej, wielospecjalistycznej opieki naszym pacjentom. Jest to w pełni uzasadnione nie tylko z powodu lepszej jakości opieki, ale także ze względów ekonomicznych – redukuje koszty bezpośrednie i pośrednie. Wydaje się, że dobrym docelowym modelem organizacji opieki nad chorymi na hemofilię może być system irlandzki, który zapewnia pacjentom z hemofilią leczenie w ośrodkach kompleksowej opieki i ośrodkach regionalnych, dostęp do koncentratów rekombinowanych czynników krzepnięcia z dostawą domową, profilaktykę krwawień w pełnym zakresie i możliwość stosowania optymalnych form leczenia.

Zachęcam do lektury i poznania bardzo ciekawych danych o sytuacji chorych na hemofilię w Polsce i innych krajach europejskich.

prof. dr hab. n. med. Krystyna Zawilska



razem
zmieniamy
życie
z hemofilią

European Principles of Haemophilia Care

W 2008 roku lekarze z 19 krajów europejskich, pielęgniarki oraz przedstawiciele organizacji chorych na hemofilię, wezwali europejskich i krajowych decydentów w zakresie opieki zdrowotnej do podejmowania zdecydowanych działań mających na celu zapewnienie osobom chorym na hemofilię dostępu do bezpiecznych zabiegów i optymalnej opieki w całej Europie. Dokument sygnowany przez Europejskie Konsorcjum Chorych na Hemofilię i Światową Federację Chorych na Hemofilię, został przyjęty przez Parlament Europejski 27 stycznia 2009 roku.

Zgodnie z wytycznymi europejskimi w zakresie opieki chorych na hemofilię, **jedynie zużycie czynnika krzepnięcia na poziomie 5-7 j.m.** może zapewnić pełen zakres leczenia.

Zaleca się stosowanie wyłącznie bezpiecznych i efektywnych czynników substytucyjnych.



5-7

jednostek czynnika krzepnięcia

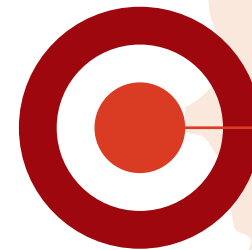
Do lat 60. XX wieku, chory na hemofilię **miał szansę dożyć najwyżej 20. roku życia**. Terapie substytucyjne niedoborowymi czynnikami i stały postęp w zakresie optymalizacji opieki nad chorymi na hemofilię, pozwoliły w wielu krajach na istotne wydłużenie przewidywanej długości życia.

Do lat 60. XX wieku

Obecnie

Odpowiednio leczony, chory na hemofilię, nawet dotknięty jej ciężką postacią, **ma szansę prowadzić normalny tryb życia** z zachowaniem pełnej aktywności zawodowej, bez konieczności korzystania ze świadczeń przysługujących inwalidom.

POLSKA



SKAZA KRWOTOCZNA

60%

HEMOFILIA
(Hemofilia A: 86%, Hemofilia B: 14%)

31%

CHOROBA VON WILLEBRANDA

9%

INNE SKAZY KRWOTOCZNE



LICZBA OSÓB Z ROZPOZNANĄ SKAZĄ KRWOTOCZNĄ

4406 osób **0,01%** populacji

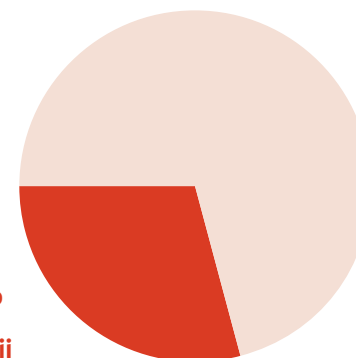


ŚREDNIE ROCZNE ZUŻYCIE CZYNNIKÓW KRZEPNIĘCIA NA 1 MIESZKAŃCA

Zużycie czynnika VIII
4,7 j.m.

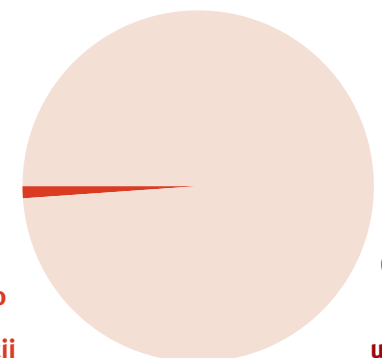
Zużycie czynnika IX
0,5 j.m.

29% czynnika uzyskanego metodą rekombinacji genetycznej



71% czynnika uzyskanego z osocza

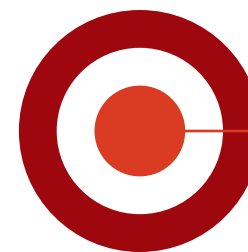
1% czynnika uzyskanego metodą rekombinacji genetycznej



99% czynnika uzyskanego z osocza

Rozdział 1

Opis problemu – kluczowe problemy w opiece nad chorymi na hemofilię.



Kluczowe problemy w opiece nad chorymi na hemofilię.

Hemofilia jest złożonym problemem zdrowotnym, a nie tylko stanem niedoboru pojedynczego czynnika krzepnięcia¹. Dane z wielu krajów dowodzą, że przewidywany okres życia chorych na hemofilię jest porównywalny z okresem życia wyliczonym dla ogólnej populacji. Uzyskanie takiego stanu rzeczy wymaga jednak zastosowania kompleksowej, wielospecjalistycznej opieki w oparciu, przede wszystkim, o odpowiednio szybki dostęp do bezpiecznej terapii substytucyjnej².

na przesunięcie chorych na hemofilię z grupy inwalidów do tej części społeczeństwa, która aktywnie uczestniczy w życiu kraju. Dzięki kompleksowej opiece, chorzy na hemofilię cieszą się lepszym zdrowiem fizycznym i psychofizycznym, a jakość ich życia ulega istotnej poprawie^{3,4}. W Irlandii, gdzie wszyscy chorzy na hemofilię otrzymują czynniki rekombinowane, a wszystkie dzieci i młodzież mają pełny dostęp do profilaktycznego podawania czynników, praktycznie wyeliminowano problem inwalidztwa wśród chorych na hemofilię⁵.

Przewidywany okres życia chorych na hemofilię jest porównywalny z okresem życia wyliczonym dla ogólnej populacji. Uzyskanie takiego stanu rzeczy wymaga jednak zastosowania kompleksowej, wielospecjalistycznej opieki w oparciu, przede wszystkim, o odpowiednio szybki dostęp do bezpiecznej terapii substytucyjnej.

Jest to związane ze znacznymi nakładami finansowymi, ale jednocześnie daje szansę

Leczenie hemofilii polega przede wszystkim na substytucji niedoborowego czynnika.



Leczenie substytucyjne koncentratami czynników krzepnięcia jest leczeniem wieloletnim, a terapia raz rozpoczęta, nie powinna być przerwana.

Koncentraty czynników krzepnięcia, uzyskiwanych z ludzkiego osocza lub metodą inżynierii genetycznej, podawane są w dożylnych wstrzyknięciach. Specyfika leczenia chorych na hemofilię i inne wrodzone skazy krwotoczne za pomocą koncentratów czynników krzepnięcia wymaga szybkiego i stałego do nich dostępu. Leczenie substytucyjne koncentratami czynników krzepnięcia jest leczeniem wieloletnim, a terapia raz rozpoczęta, nie powinna być przerwana. Kolejny problem w leczeniu chorych 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.

Szybkie podanie koncentratu niedoborowego czynnika krzepnięcia ma decydujące znaczenie dla życia i zdrowia chorego.

Bardzo często, szybkie podanie koncentratu niedoborowego czynnika krzepnięcia ma decydujące znaczenie dla życia i zdrowia chorego⁶. Niezbędna jest 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. Wyzwaniem w leczeniu chorych na hemofilię są wysokie koszty koncentratów czynników krzepnięcia. Stanowią one około 90% ogólnych kosztów leczenia tej grupy pacjentów. Koszt ten wzrasta kilkakrotnie w przypadku

hemofilii powikłanej obecnością inhibitora (alloprzeciwciał przeciw niedoborowemu czynnikowi)^{1,5,7}.

Na podstawie „WFH Global Survey 2012”, prezentującego dane ze 109 krajów, w 2012 roku na świecie żyło 274 066 osób ze zdiagnozowaną skazą krwotoczną. Stanowili oni 0,004% populacji zamieszkującej kulę ziemską. U 172 373 osób (63%) rozpoznano hemofilię (u 82% hemofilię A i u 16% hemofilię B), a u 66 144 osób (24%) chorobę von Willebranda. U pozostałych 35 549 chorych rozpoznano inne skazy krwotoczne. Na podstawie tego samego dokumentu, średnie zużycie czynnika VIII na jednego mieszkańca na rok (na podstawie danych z 67 krajów) wynosi 2,6 j.m., natomiast czynnika IX – 0,39 j.m.⁸.

Częstość występowania hemofilii w Polsce oceniono na 1 : 12 300 mieszkańców. Zgodnie z dostępnymi danymi, chorzy na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne stanowią w Polsce grupę ok. 5000 osób. W rejestrze chorych na hemofilię, który prowadzony jest od 1991 roku przez Instytut Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie, do lipca 2011 r. zarejestrowano 2605 chorych na hemofilię. W Polsce hemofilia A występuje 6-krotnie częściej niż hemofilia B. Największym wyzwaniem terapeutycznym są przypadki ciężkiej hemofilii, które stanowią 53,7% przypadków hemofilii A i 48,07% przypadków hemofilii B⁹. Ze względu na dużą częstość krwawień, tę grupę chorych cechuje konieczność licznych konsultacji lekarskich i hospitalizacji oraz wysokie koszty leczenia i rehabilitacji. Należy podkreślić, że u osoby z wrodzoną skazą krwotoczną żaden zabieg chirurgiczny lub inwazyjny zabieg diagnostyczny, nie może być bezpiecznie przeprowadzony, bez odpowiedniej substytucji niedoborowego czynnika krzepnięcia krwi^{1,6}.

Jak wskazano powyżej, 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 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 krzepnięcia⁹.

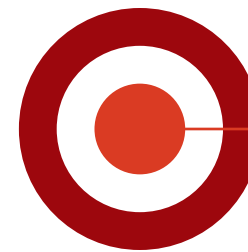
Zgodnie z zaleceniami Światowej Organizacji Zdrowia (WHO) minimum niezbędne dla ratowania życia to 2 j.m./mieszkańca/rok¹. W Polsce wskaźnik ten wyniósł w 2010 roku 4,7 j.m. przy zaopatrzeniu chorych w koncentraty czynników krzepnięcia w ramach dwóch programów, tj. „Narodowego Programu Leczenia Hemofilii na lata 2005-2011” kontynuowanego jako „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018”, finansowanego z budżetu ministra właściwego do spraw zdrowia oraz terapeutycznego programu zdrowotnego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci

z hemofilią A i B”, finansowanego z budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia. 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 programów⁹.

Zgodnie z zaleceniami WHO i Światowej Federacji Chorych na Hemofilię (WFH), 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^{1,9}.

Rozdział 2

Zasady organizacji opieki nad chorymi na hemofilię w Europie.



Zasady organizacji opieki nad chorymi na hemofilię w Europie.

W 2008 roku opublikowano dokument „European Principles of Haemophilia Care”, opracowany przez grupę roboczą utworzoną przez lekarzy z 19 krajów europejskich, pielęgniarki oraz przedstawicieli organizacji chorych na hemofilię¹⁰.

Autorzy dokumentu wzywają europejskich i krajowych decydentów w zakresie opieki zdrowotnej do podejmowania zdecydowanych działań, mających na celu zapewnienie osobom chorym na hemofilię dostępu do bezpiecznych zabiegów i optymalnej opieki w całej Europie. Dokument prezentuje 10 podstawowych zasad uznanych za podstawowe elementy opieki nad chorymi na hemofilię, które powinny być wdrożone w każdym kraju europejskim. Dokument został sygnowany przez Europejskie Konsorcjum Chorych na Hemofilię (EHC, organizacja skupiająca narodowe stowarzyszenia chorych na hemofilię z 44 krajów europejskich, w tym ze wszystkich krajów członkowskich Unii Europejskiej) oraz przez Światową Federację Chorych na Hemofilię (WFH, międzynarodowa organizacja non-profit, tworząca globalną sieć organizacji chorych na hemofilię ze 122 krajów, mająca oficjalne uznanie Światowej Organizacji Zdrowia)¹.

W dniu 27 stycznia 2009 roku omawiany dokument został przyjęty przez Parlament Europejski.

Poniżej przedstawiono opis dziesięciu przyjętych wytycznych (zasad).

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

Pierwszą zasadą powinno być funkcjonowanie centralnej organizacji działającej na rzecz opieki nad chorymi na hemofilię i koordynującej pracę ośrodków lokalnych¹⁰.

Na podstawie danych zebranych w 2012 roku, w 18 krajach Europy działa Narodowa Rada ds. Hemofilii lub grupa koordynująca, w pracach której uczestniczą przedstawiciele lekarzy z ośrodków leczenia hemofilii, organizacji chorych na hemofilię oraz Ministra Zdrowia. 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, natomiast w pozostałych 6 krajach (Belgii, Holandii, Hiszpanii, na Litwie, w Niemczech i w Turcji) są to grupy nieformalne^{3,5}.



Narodowa Rada ds. Hemofilii

Formalne uczestnictwo w pracach (12 krajów):

- Albania
- Czechy
- Finlandia
- Francja
- Grecja
- Irlandia
- Polska
- Serbia
- Słowacja
- Słowenia
- Wielka Brytania
- Włochy

Nieformalne uczestnictwo w pracach (6 krajów):

- Belgia
- Holandia
- Hiszpania
- Litwa
- Niemcy
- Turcja

2. Krajowe rejestry chorych na hemofilię.

W każdym kraju powinien być prowadzony rejestr chorych na hemofilię, administrowany przez centralną organizację. Dokładna i rzetelna diagnoza, a następnie utworzenie krajowego rejestru stanowi podstawę, dla właściwych organów, do planowania całego systemu opieki nad chorymi¹⁰.

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, Szwecja, Ukraina i Węgry. Szwecja, po przeprowadzeniu ostatnio analizy w ramach Health Technology Assessment, dołączyła do krajów prowadzących narodowy rejestr chorych na hemofilię. Zarządzanie omawianym rejestrem w 6 krajach leży w gestii narodowych organizacji centralnych, w 4 krajach włączony w ten proces jest rząd, w 11 krajach uczestniczą w nim lekarze, w 4 krajach organizacje akademickie, a w 6 krajach organizacje chorych na hemofilię^{3,5,7}.

3. Ośrodki opieki kompleksowej i ośrodki leczenia hemofilii.

Hemofilia jest chorobą, której powikłania powinny być leczone przez specjalistów z różnych dziedzin medycyny. Chorzy na hemofilię muszą mieć dostęp do opieki, realizowanej zgodnie z krajowymi wytycznymi przez wielodyscyplinarny zespół profesjonalistów. Dlatego też stworzenie ośrodków opieki kompleksowej umożliwia właściwe postępowanie lecznicze w przypadku hemofilii. Ośrodki powinny oferować niezbędne metody diagnozy i leczenia¹⁰.

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



Zarządzanie rejestrem chorych na hemofilię

ORGANIZACJA CENTRALNA

6 KRAJÓW

RZĄD

4 KRAJE

LEKARZE

11 KRAJÓW

ORGANIZACJA AKADEMICKA

4 KRAJE

ORGANIZACJA PACJENTÓW

6 KRAJÓW



Brak rejestru chorych na hemofilię

- Albania
- Belgia
- Dania
- Finlandia
- Holandia
- Macedonia
- Portugalia
- Szwecja
- Ukraina
- Węgry



Skład zespołu realizującego kompleksową opiekę

DYREKTOR MEDYCZNY

(hematolog lub lekarz z doświadczeniem w zakresie hemostazy)

SPECJALIŚCI ZAJMUJĄCY SIĘ ZAPOBIEGANIEM I LECZENIEM POWIKŁAŃ CHOROBY

(fizjoterapeuta, psycholog, ortopeda, reumatolog)

PIELĘGNIARKI

DIAGNOSTA LABORATORYJNY

PRACOWNIK SOCJALNY



Ośrodki

OŚRODKI KOMPLEKSOWEJ OPIEKI

24 KRAJE

OŚRODKI LECZENIA HEMOFILII

33 KRAJE

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 zawodowy¹¹.

Podstawą dobrze funkcjonującego ośrodka jest doświadczenie w zakresie leczenia chorych na hemofilię oraz łatwa dostępność dla pacjentów. W ośrodku niezbędna jest możliwość korzystania z laboratorium koagulologicznego oraz dostęp do czynników krzepnięcia, a w miarę potrzeby także innych leków hemostatycznych. Zgodnie z założeniami, ośrodki kompleksowej opieki muszą zapewnić hospitalizację lub możliwość konsultacji, opiekę ambulatoryjną nad pacjentami i ich rodzinami, inicjowanie i prowadzenie szkoleń oraz nadzór nad leczeniem domowym czynnikami krzepnięcia, edukację chorych i wszystkich innych osób związanych z chorymi na hemofilię, zbieranie danych dotyczących poszczególnych chorych oraz prowadzenie badań podstawowych i badań klinicznych¹².

W 24 krajach Europy działają ośrodki opieki kompleksowej (comprehensive care centres – CCC's). W 33 krajach funkcjonują ośrodki leczenia hemofilii (haemophilia treatment centres – HTC's)^{3,5}.

Opieka nad chorymi na hemofilię w całym kraju powinna być zharmonizowana. Stąd w każdym kraju powinny być opracowane i wdrożone krajowe protokoły leczenia hemofilii. W pracach nad ich tworzeniem powinni uczestniczyć profesjonaliści. Protokoły mogą ujednolicić system opieki nad chorymi, ale też pozwalają na prowadzenie nadzoru nad zlecanymi produktami leczniczymi¹⁰.

4. Równorzędna współpraca w zakresie świadczenia opieki dla chorych 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 w ramach sformalizowanych mechanizmów takich jak Krajowa Grupa Koordynacyjna ds. Hemofilii¹⁰.

Znaczącą rolę w podejmowaniu decyzji w odniesieniu do zagadnień związanych z opieką nad chorymi na hemofilię w krajach europejskich odgrywają: Minister Zdrowia, narodowe organizacje chorych na hemofilię i lekarze. W większości krajów w podejmowaniu decyzji w omawianym

zakresie uczestniczą przedstawiciele wszystkich wymienionych podmiotów^{3,5,7}.

W procesie decyzyjnym w zakresie wyboru produktów leczniczych do leczenia chorych na hemofilię, w większości krajów europejskich uczestniczy Minister Zdrowia, a w zaledwie kilku biorą udział regionalne organizacje rządowe. Ciekawym jest fakt, że w Szwecji w tym zakresie dotychczas działały regionalne organizacje rządowe, a obecnie – Minister Zdrowia. W 11 krajach odbywa się to za pośrednictwem szpitali. W 6 krajach (Irlandia, Polska, Rosja, Serbia, Słowacja i Wielka Brytania) uczestniczą w tym procesie narodowe organizacje chorych na hemofilię, w 16 krajach – lekarze, a w 7 krajach (Białoruś, Finlandia, Irlandia, Serbia, Słowacja, Wielka Brytania i Włochy) – narodowe komitety ds. zamówień publicznych. W przypadku Irlandii, organizacja chorych na hemofilię jest w pełni włączona w omawiany proces decyzyjny, gdyż 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^{3,5}.

5. Bezpieczne i skuteczne koncentraty czynników krzepnięcia w optymalnych dawkach.

Kluczowym dla sukcesu w leczeniu chorych na hemofilię jest zapewnienie dostępu do bezpiecznego leczenia suplementacyjnego niedoborowymi czynnikami. 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 choremu zaledwie przeżyć. Zużycie w zakresie 1-3 j.m. pozwala choremu uzyskać funkcjonalną niezależność. Zużycie 3-5 j.m. zagwarantuje profilaktykę artropatii, a dopiero zużycie na poziomie 5-7 j.m. może zapewnić pełen zakres leczenia, w tym profilaktycznego, które umożliwia zachowanie pełnej aktywności życiowej^{5,10}.

Każdy kraj powinien opracować swój własny system finansowania, gwarantujący stały dostęp chorych do omawianego leczenia substytucyjnego^{10,11}.

Analiza danych z 2011 i 2012 wskazuje, że w Europie wartość tego miernika waha się od 0,40 j.m. w Albanii do 10,54 j.m. w Szwecji. W 5 krajach (Rumunia, Bośnia i Hercegowina, Mołdawia i Ukraina) deklarowano zużycie czynnika VIII poniżej 1 j.m. na mieszkańca na rok, a w kolejnych 6 krajach (Białoruś, Łotwa, Macedonia, Serbia i Turcja) – poniżej 2 j.m., co stanowi poniżej powszechnie przyjętego, dopuszczalnego minimum zużycia. Zużycie czynnika IX mieści się w zakresie od 0,016 j.m. na mieszkańca na rok (Albania) do 2,66 j.m. (Irlandia). Tak duże zużycie czynnika IX w Irlandii wynika z faktu, że Irlandia należy do krajów o najwyższej częstotliwości występowania niedoboru tego czynnika krzepnięcia. W 2011 roku zużycie czynnika VIII na mieszkańca na rok w krajach członkowskich to 5,4 j.m, w porównaniu z wartością 1,5 j.m. na mieszkańca na rok w krajach spoza Unii Europejskiej (UE)^{5,8,13}.



Zakup czynników krzepnięcia krwi odbywa się z udziałem Ministra Zdrowia lub organizacji rządowej oraz:


**MINISTER ZDROWIA
LUB ORGANIZACJA
RZĄDOWA**

+

**ORGANIZACJI
CHORYCH
NA HEMOFILIĘ**

6 KRAJÓW

- Irlandia
- Polska
- Rosja
- Serbia
- Słowacja
- Wielka Brytania

LEKARZY

16 KRAJÓW

**NARODOWYCH
KOMITETÓW
DS. ZAMÓWIEŃ**

7 KRAJÓW

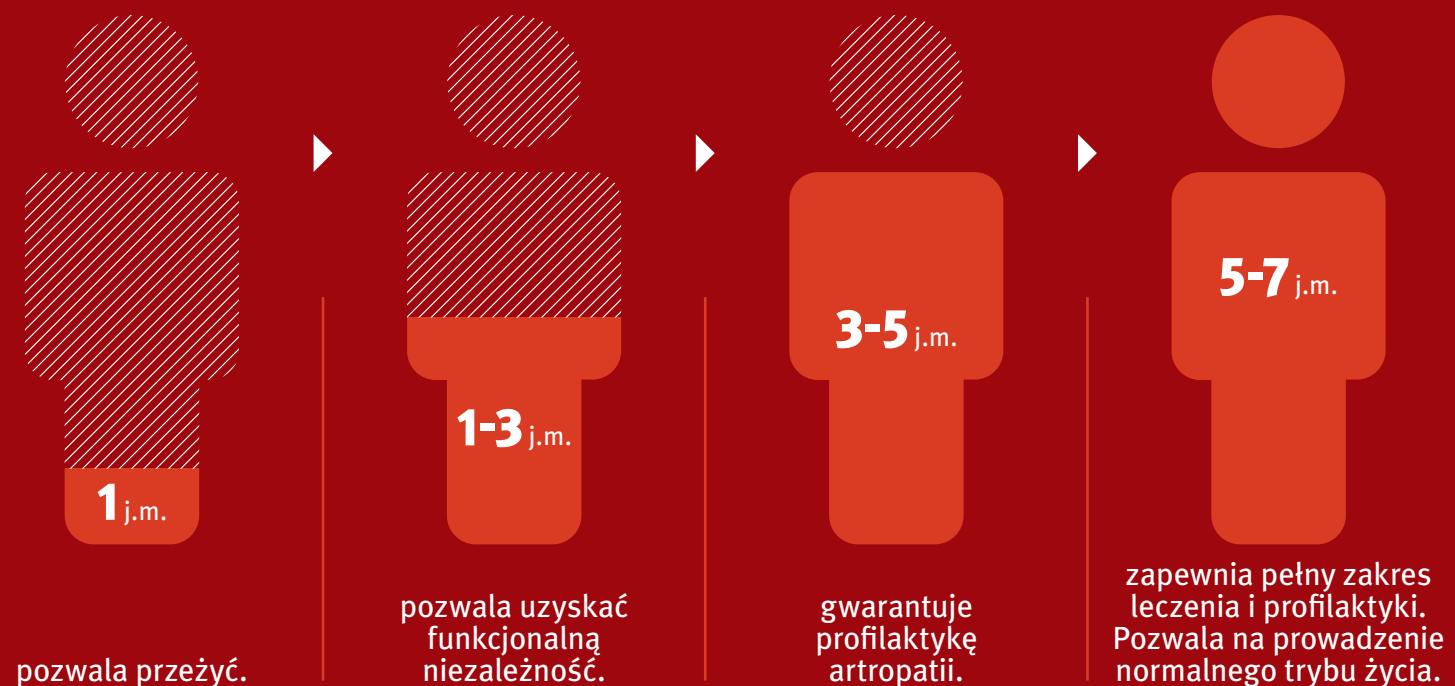
- Białoruś
- Finlandia
- Irlandia
- Serbia
- Słowacja
- Wielka Brytania
- Włochy



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



Dla osoby chorej na hemofilię zużycie czynnika krzepnięcia na poziomie:



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

U chorych na hemofilię, krytyczny dla skuteczności zastosowanego leczenia, jest czas podania czynnika niedoborowego. Pomysł leczenia domowego zrodził się w latach 70-tych. Wówczas mowa była o 1 dawce dostępnej w domu do natychmiastowego podania, tak aby umożliwić dotarcie do ośrodka, w którym chory z krwawieniem otrzyma właściwą pomoc. Leczenie domowe to szansa na wcześniej wdrożone leczenie. Jest to także istotny element programów, mających na celu zapobieganie krwawieniom – programów profilaktyki¹⁰.

Leczenie domowe uznane jest za najbardziej efektywny sposób leczenia hemofilii. Jest to sposób na praktyczne wyeliminowanie choroby z życia pacjenta. Warunki niezbędne dla prawidłowego funkcjonowania leczenia domowego to:

- ścisła współpraca pomiędzy pacjentem a lekarzem,
- odpowiednia edukacja w zakresie podawania leku,
- nauka dawkowania dla zwiększenia efektywności leczenia,
- zrozumienie mechanizmu działania czynnika krzepnięcia,
- zrozumienie, że czynnik nie usuwa bólu, którego źródłem nie jest krwawienie.

W każdym kraju, osobom chorym na hemofilię trzeba umożliwić prowadzenie leczenia w domu oraz zorganizować dostawę koncentratów czynników krzepnięcia do domu, co pozwoli na natychmiastowe wdrożenie skutecznej terapii. Zmniejszy to ilość wizyt w szpitalu, zapobiegnie krótko- i długookresowej niesprawności oraz umożliwi prowadzenie przez dzieci i dorosłych z hemofilią w miarę normalnego życia¹¹.



Leczenie w warunkach domowych

LECZENIE W WARUNKACH DOMOWYCH

32 KRAJE

DOSTAWY DOMOWE

13 KRAJÓW



Leczenie profilaktyczne

WSZYSTYCH CHOROZY NA HEMOFILIĘ

18 KRAJÓW

NIEKTÓRZY CHOROZY NA HEMOFILIĘ

12 KRAJÓW

TYLKO DZIECI

4 KRAJE

(Grecja, Litwa, Macedonia, Polska)



W Polsce

TYLKO DLA DZIECI, które uprzednio nie były leczone czynnikami osoczipochodnymi



Dostępność terapii w warunkach domowych dla:

75-100% CHOROZY NA HEMOFILIĘ

19 KRAJÓW

50-75% CHOROZY NA HEMOFILIĘ

5 KRAJÓW

10-50% CHOROZY NA HEMOFILIĘ

5 KRAJÓW



Dostępność profilaktyki w Europie dla:

75-100% CHOROZY NA HEMOFILIĘ

18 KRAJÓW

50-75% CHOROZY NA HEMOFILIĘ

6 KRAJÓW

1-25% CHOROZY NA HEMOFILIĘ

7 KRAJÓW

BRAK DOSTĘPNOŚCI

7 KRAJÓW

Na podstawie danych z 2011 roku, leczenie w warunkach domowych jest dostępne w 32 krajach Europy, a w 13 krajach leki są dostarczane bezpośrednio do chorych do domu. 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^{5,13}.

7. Leczenie profilaktyczne.

Osoby z hemofilią powinny mieć dostęp do postępowania profilaktycznego, które zapobiega rozwojowi przewlekłej artropatii lub zmniejsza jej nasilenie¹⁰.

Dostępne analizy wskazują, że stosowanie programów profilaktycznych wpływa na redukcję zarówno kosztów pośrednich, jak i bezpośrednich związanych z hemofilią, jak też istotnie poprawia jakość życia chorych na hemofilię^{9,7,11}.

Wdrożenie postępowania profilaktycznego sprawiło, że przewidywana długość życia chorych na hemofilię osiągnęła wartość porównywalną do przewidywanej długości życia dla ludzi bez hemofilii. Ponieważ programy te wiążą się z istotnymi nakładami finansowymi, prowadzone są badania oceniające skuteczność zastosowania małych dawek czy podania pojedynczego^{16,15}.

Postępowanie profilaktyczne jest dostępne teoretycznie dla wszystkich chorych na hemofilię w 18 krajach, dla niektórych chorych na hemofilię w 12 krajach i w 4 krajach (Grecja, Litwa, Macedonia, Polska) jest dostępne tylko dla dzieci⁹.

W Polsce profilaktyka za pomocą czynników rekombinowanych dostępna jest jedynie dla dzieci, które uprzednio nie były leczone czynnikami osoczipochodnymi (obecnie jest to grupa licząca 43 ± 5 chorych). Prawie we wszystkich krajach UE stosowana jest profilaktyka u dzieci z ciężką postacią hemofilii, poczynając od 2-3 r.ż. Postępowanie to zwykle ulega zakończeniu ok. 18 r.ż. Profilaktyka jest możliwa w krajach, w których koszty leczenia pokrywane są z pieniędzy publicznych. Koszty profilaktyki związane są w 96% z kosztami koncentratów niedoborowych czynników krzepnięcia.

W 18 krajach 75-100% dzieci chorych na hemofilię ma dostęp do profilaktyki niedoborowymi czynnikami krzepnięcia, w 6 krajach 50-75% dzieci z hemofilią może otrzymywać czynniki krzepnięcia profilaktycznie, a w 7 krajach – 1-25% dzieci. W Szwecji 76-100% dorosłych chorych na hemofilię może przyjmować czynniki profilaktyczne. W 10 krajach 26-50% dorosłych chorych na hemofilię ma dostęp do profilaktyki. W 7 krajach dorośli chorzy na hemofilię nie mają możliwości stosowania czynników w ramach profilaktyki^{3,5,7}.

8. Świadczenia specjalistyczne i pomoc doraźna.

Opieka nad chorym na hemofilię wymaga koordynacji działań wielu dostawców usług medycznych. W sytuacjach krytycznych chorym na hemofilię należy zapewnić natychmiastowy dostęp do leczenia oraz specjalistycznej opieki medycznej, za pośrednictwem szpitalnych oddziałów ratunkowych oraz lekarzy specjalistów¹⁰.



Leczenie indukujące immunotolerancję



DLA WIĘKSZOŚCI CHORYCH

16 KRAJÓW



DLA NIEKTÓRYCH CHORYCH

4 KRAJE



NIEDOSTĘPNE

2 KRAJE



W większości krajów Unii Europejskiej chorzy z inhibitorem otoczeni są szczególną opieką

9. Postępowanie w przypadku obecności inhibitorów.

U części chorych na hemofilię dochodzi do wytworzenia inhibitora czynnika krzepnięcia, który inaktywuje przetaczane w ramach leczenia substytucyjnego, egzogenne czynniki krzepnięcia. Osoby z inhibitorem muszą mieć zapewniony dostęp do optymalnych metod leczenia, w tym do leczenia indukującego tolerancję immunologiczną oraz do leczenia krwawień za pomocą leków omijających inhibitor. Leczenie to musi być prowadzone przez klinicystów dysponujących odpowiednią wiedzą i doświadczeniem, w szpitalach z odpowiednim zapleczem klinicznym i laboratoryjnym¹⁰. W licznych i ciągle modyfikowanych programach wywoływania tolerancji immunologicznej, chorzy z inhibitorem przetaczają sobie codziennie ogromne dawki czynnika VIII (8000-16000 j.m. na dobę)⁶.

Leczenie indukujące immunotolerancję (ITT, Immune-Tolerance Therapy) jest dostępne dla większości chorych z 16 krajów i dla niektórych chorych w 4 krajach. W 2 krajach leczenie dla chorych, u których występuje inhibitor czynnika krzepnięcia, jest niedostępne. W większości krajów UE chorzy z inhibitorem otoczeni są szczególną opieką⁵.

10. Kształcenie lekarzy i badania naukowe.

Wysoka jakość opieki nad chorymi na hemofilię zależy w istotny sposób od poziomu wykształcenia lekarzy prowadzących leczenie. Konieczne jest prowadzenie dalszych badań naukowych nad hemofilią, z przyjęciem za priorytetowe:

- badań nad preparatami czynników krzepnięcia 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,
- badań nad terapią genową^{10,11}.

POLSKA



LICZBA OSÓB Z ROZPOZNANĄ
SKAZĄ KRWOTOCZNĄ

4406 osób **0,01%** populacji

SKAZA KRWOTOCZNA

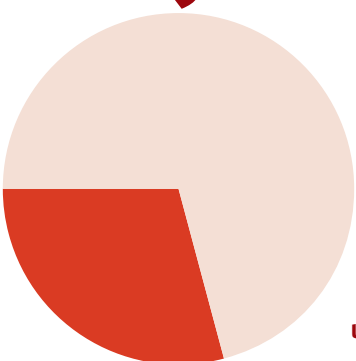


ŚREDNIE ROCZNE ZUŻYCIĘ CZYNNIKÓW KRZEPNIĘCIA NA 1 MIESZKAŃCA

Zużycie czynnika VIII

4,7 j.m.

29%
czynnika
uzyskanego
metodą
rekombinacji
genetycznej

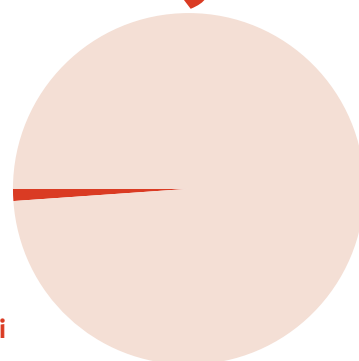


71%
czynnika
uzyskanego
z osocza

Zużycie czynnika IX

0,5 j.m.

1%
czynnika
uzyskanego
metodą
rekombinacji
genetycznej



99%
czynnika
uzyskanego
z osocza

PROGRAMY DLA CHORYCH NA HEMOFILIĘ W POLSCE

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

finansowany z budżetu
Ministra Zdrowia



Zaopatrzenie chorych
na hemofilię w Polsce,
w koncentraty czynników
krzepnięcia odbywa się w
ramach dwóch programów.

Zapobieganie
krwawieniom
u dzieci
z hemofilią A i B.

finansowany w ramach
Narodowego Funduszu Zdrowia



17 OŚRODKÓW

GWARANTUJĄCYCH DOSTATECZNE ZAOPATRZENIE
POTRZEB CHORYCH NA HEMOFILIĘ



76-100%

CHORYCH MA DOSTĘP DO LECZENIA
W WARUNKACH DOMOWYCH



76-100%

CHORYCH MA DOSTĘP DO LECZENIA
INDUKUJĄCEGO IMMUNOTOLERANCJĘ



NA PROFILAKTYCZNE STOSOWANIE CZYNNIKÓW
KRZEPNIĘCIA MAJĄ SZANSĘ WSZYSTKIE DZIECI
DO 18 ROKU ŻYCIA ORAZ 26-50% CHORYCH DOROSŁYCH



WARTOŚĆ WSKAŹNIKA ZUŻYCIA KONCENTRATU CZYNNIKA KRZEPNIĘCIA VIII NA 1 MIESZKAŃCA

4,7
j.m.

2012

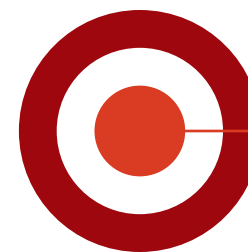
Docelowa wartość wskaźnika zużycia
koncentratu czynnika krzepnięcia VIII to około
6,0 j.m., planowana do osiągnięcia w roku 2018

6,0
j.m.

2018

Rozdział 3

Organizacja opieki nad chorymi na hemofilię w Polsce.



razem
zmieniamy
życie
z hemofilią

Organizacja opieki nad chorymi na hemofilię w Polsce.

Na podstawie „WFH Global Survey 2012”, w Polsce w 2012 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 4406 osób. Stanowili oni 0,01% wszystkich mieszkańców naszego kraju. W omawianej populacji u 2638 osób rozpoznano hemofilię, u 1387 – chorobę von Willebranda, a u pozostałych 381 chorych – inną skazę krwotoczną. Spośród osób z hemofilią u 2261 osób rozpoznano hemofilię A, a u 377 – hemofilię B. U 150 osób z hemofilią A i u 4 z hemofilią B stwierdzono obecność inhibitora⁸.

czynnika VIII uzyskano z osocza. Pozostałą ilość otrzymano metodą rekombinacji genetycznej. Zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca Polski na rok w 2012 roku wynosiło 0,543 j.m. 99% uzyskano z osocza, a pozostały 1% otrzymano metodą rekombinacji genetycznej⁸.

Od 1991 roku w Instytucie Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie prowadzony jest komputerowy rejestr chorych na hemofilię i inne skazy krwotoczne. Postać ciężka występuje u 53,7%

W Polsce w 2012 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 4406 osób. Stanowili oni 0,01% wszystkich mieszkańców naszego kraju. W omawianej populacji u 2638 osób rozpoznano hemofilię.

W 2012 roku w Polsce wykorzystano w sumie 183 162 900 j.m. czynnika VIII. Średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Polski na rok w 2012 roku wynosiło 4,768 j.m. 71% całkowitej ilości wykorzystanego

chorych na hemofilię A i 48,07% chorych na hemofilię B. Zaopatrzenie chorych na hemofilię w Polsce w koncentraty czynników krzepnięcia odbywa się w ramach dwóch programów, tj. „Narodowego

Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018” oraz terapeutycznego programu zdrowotnego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”.

W interesie chorych na hemofilię w Polsce występuje Polskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię.
www.hemofilia.org.pl

Pierwszy jest finansowany z budżetu Ministerstwa Zdrowia, natomiast drugi finansowany jest w ramach Narodowego Funduszu Zdrowia. Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne stanowi kontynuację „Narodowego Programu Leczenia Hemofilii na lata 2005-2011” i przewiduje funkcjonowanie ośrodków kompleksowej opieki medycznej na dwóch poziomach: referencyjnym i wojewódzkim. Obecnie działa 17 ośrodków gwarantujących dostateczne zaopatrzenie potrzeb chorych na hemofilię w Polsce. Wszystkie ośrodki powinny być dostępne dla chorych na hemofilię 24 godziny na dobę. Aktualnie tylko dwa ośrodki referencyjne w Warszawie gwarantują opiekę na optymalnym poziomie. Na poziomie wojewódzkim mają działać koordynatorzy ds. leczenia hemofilii (osobno dla dzieci i dla dorosłych) oraz koordynatorzy ds. dystrybucji koncentratów czynników krzepnięcia. Sposób prowadzenia terapii substytucyjnej koncentratami czynników krzepnięcia oparty jest na „Polskich zaleceniach postępowania we wrodzonych skazach krwotocznych na tle niedoboru czynników krzepnięcia” opracowanych przez lekarzy zrzeszonych w Grupie Roboczej ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów⁹.

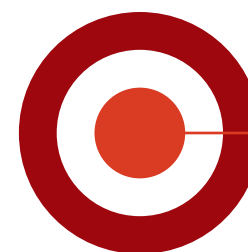
Szacuje się, że dostęp do leczenia w warunkach domowych ma 76-100% chorych. Na profilaktyczne stosowanie czynników krzepnięcia mają szansę wszystkie dzieci do 18 roku życia oraz 26-50% chorych dorosłych. Dostęp do leczenia indukującego immunotolerancję ma 76-100% chorych⁸.

Terapia substytucyjna u dzieci finansowana jest w ramach terapeutycznego programu zdrowotnego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”. Program umożliwia dostęp do pierwotnej profilaktyki krwawień u dzieci chorych na ciężką postać hemofilii A i B oraz do wtórnej profilaktyki krwawień u dzieci chorych na hemofilię A lub B po wystąpieniu wylewów do stawów. Ponadto program pokrywa leczenie indukujące tolerancję immunologiczną u wszystkich pacjentów z hemofilią powikłaną nowo powstałym krążącym inhibitorem. Dodatkowo program wprowadza zasadę 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 krzepnięcia. Kwalifikacji do terapii pierwotnej i wtórnej profilaktyki krwawień oraz leczenia hemofilii powikłanej nowo powstałym krążącym antykoagulantem dokonuje Zespół Koordynujący ds. kwalifikacji i weryfikacji leczenia w programie zapobiegania krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B powołany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia. W ramach programu organizowany jest bezpłatny dla pacjentów system dostaw domowych koncentratów czynników krzepnięcia wraz z niezbędnym dodatkowym sprzętem jednorazowym oraz środkami dezynfekującymi¹⁶.

W interesie chorych na hemofilię w Polsce występuje Polskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię. (www.hemofilia.org.pl)

Rozdział 4

Opieka nad chorymi na hemofilię w wybranych krajach europejskich – stan faktyczny.



WYDATKI NA ZDROWIE

9% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

2820 OSÓB
0,03% POPULACJI

OBCIĄŻENIE HIV

105 ZAKAŻONYCH

OBCIĄŻENIE HCV

430 ZAKAŻONYCH

POWIKŁANIE INHIBITOREM

21 CHORYCH Z HEMOFILIĄ A
4 CHORYCH Z HEMOFILIĄ B

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 10,54 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 84%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 16%

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 1,792 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 56%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 44%

Szwecja

W Szwecji w 2011 roku 9% krajowego produktu brutto przeznaczone zostało na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Na podstawie „WFH Global Survey 2012”, w Szwecji w 2012 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 2820 osób. Stanowili oni 0,03% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 1014 osób rozpoznano hemofilię, u 1474 – chorobę von Willebranda, a u pozostałych 332 chorych – inną skazę krwotoczną. W Szwecji 105 chorych na hemofilię zostało zakażonych HIV i 430 osób – HCV. W 2012 roku u 21 chorych na hemofilię A i u 4 chorych na hemofilię B, wykryto inhibitory niedoborowych czynników^{8,20}.

W 2012 roku w Szwecji wykorzystano w sumie 95 970 000 j.m. czynnika VIII. Średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Szwecji na rok, w 2012 roku wynosiło 10,54 j.m. 84% całkowitej ilości wykorzystanego czynnika VIII uzyskano metodą rekombinacji genetycznej. Pozostałą ilość otrzymano z osocza. Zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca Szwecji na rok, w 2012 roku wynosiło 1,792 j.m. 56% uzyskano metodą rekombinacji, a pozostałe 44% otrzymano z osocza^{5,8}.

Omawiając model szwedzki, należy zaznaczyć, że Narodowy System Opieki Zdrowotnej w tym kraju ogólnie jest na wysokim poziomie. Każdy obywatel ma możliwość uzyskania zintegrowanej

informacji z różnych rejestrów. Rejestr ewidencyjny ludności w Szwecji zawiera personalne dane od 1968 roku. Rejestr pacjentów hospitalizowanych zawiera dane dotyczące pobytu w szpitalu od 1987 roku, a rejestr pacjentów ambulatoryjnych istnieje od 2001 roku. Oba rejestry wchodzą w skład krajowego rejestru pacjentów. Rejestr przyczyn zgonu zawiera dane od 1961 roku i pozwala uzyskać informacje o dacie i przyczynie zgonu. Medyczny Rejestr Narodzin jest prowadzony od 1973 roku, w tym informacje osobno na temat noworodków i ciężarnych. Trzy centra leczenia hemofilii (w Göteborgu, Malmö i Sztokholmie) prowadzą lokalne bazy danych na temat chorych na hemofilię. W 2012 podjęto inicjatywę utworzenia Krajowego Rejestru Chorych na Hemofilię^{22,23}.

Należy podkreślić, iż to Szwecja była pionierem w leczeniu chorych na hemofilię. Pierwsze koncentraty niedoborowych czynników były dostępne w tym kraju już w latach 50-tych ubiegłego stulecia. Jakość terapii ulegała stopniowej poprawie przez lata, aż do obecnej sytuacji gwarantującej profilaktyczne podawanie czynników niedoborowych u wszystkich chorych z ciężką postacią choroby. Oczekiwana długość życia chorych z hemofilią dramatycznie uległa zwiększeniu z mediany wieku 10-15 lat sto lat temu do praktycznie normalnego dla noworodków obecnie urodzonych^{20,21}.

Interesy chorych na hemofilię aktywnie chronione są przez Szwedzkie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię (Förbundet Blödarsjuka i Sverige, www.fbis.se). W Szwecji chorzy na hemofilię mają dostęp do wszystkich sposobów leczenia hemofilii. Kompleksowe podejście realizowane jest w trzech ośrodkach leczenia hemofilii. Praktycznie wszyscy chorzy mogą prowadzić leczenie w warunkach domowych. Raz lub dwa razy do roku zalecana jest kontrola w ośrodku leczenia hemofilii dla wszystkich chorych z ciężką postacią choroby. Leczenie profilaktyczne stosowane jest u wszystkich dzieci i dorosłych z ciężką postacią choroby. Chorzy, u których stwierdzono obecność inhibitorów niedoborowych czynników krzepnięcia, mają swobodny dostęp do leczenia indukującego tolerancję^{5,20,21}.

WYDATKI NA ZDROWIE

9% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

3494 OSÓB
0,07% POPULACJI

OBCIĄŻENIE HIV

0 ZAKAŻONYCH

OBCIĄŻENIE HCV

OK. 50% ZAKAŻONYCH, KTÓRZY OTRZYMYWALI
KONCENTRATY CZYNNIKÓW POCHODZENIA
OSOCZOWEGO PRZED 1990 ROKIEM

POWIKŁANIE INHIBITOREM

BRAK DANYCH

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 10,244 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 87%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 13%

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 1,315 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 87%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 13%

Finlandia

W Finlandii w 2011 roku 9% krajowego produktu brutto przeznaczone zostało na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Na podstawie „WFH Global Survey 2012”, w Finlandii w 2012 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 3494 osób. Stanowili oni 0,07% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 436 osób rozpoznano hemofilię, u 3016 – chorobę von Willebranda, a u pozostałych 42 chorych – inną skazę krwotoczną. Chorzy na hemofilię A stanowią 78% wszystkich chorych na hemofilię. O ile zakażenia HIV nie są problemem dla chorych na hemofilię w Finlandii, to ok. 50% chorych

na hemofilię, którzy otrzymywali koncentraty czynników pochodzenia osocznego przed 1990 rokiem zostało, zakażonych HCV^{8,20}.

W 2012 roku w Finlandii wykorzystano w sumie 53 914 050 j.m. czynnika VIII. Średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Finlandii na rok, w 2012 roku wynosiło 10,244 j.m. 87% całkowitej ilości wykorzystanego czynnika VIII uzyskano metodą rekombinacji genetycznej. Pozostałą ilość otrzymano z osocza. Zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca Finlandii na rok, w 2012 roku wynosiło 1,315 j.m. 87% uzyskano metodą rekombinacji, natomiast pozostałe 13% to preparaty osoczo pochodne^{5,8}.

W Finlandii koszt leczenia koncentratami czynników krzepnięcia jest refundowany przez ubezpieczenie zdrowotne. W odpowiednio potwierdzonym przez lekarza wskazaniu, obowiązuje specjalna 100% refundacja. (www.shyry.org)

Opieka nad chorymi na hemofilię jest realizowana przez specjalistów w uniwersyteckich lub centralnych szpitalach. Nie jest prowadzony krajowy rejestr chorych na hemofilię. Chociaż pięć uniwersyteckich szpitali w Finlandii prowadzi wysokiej jakości leczenie i opiekę nad chorymi na hemofilię, jednak znaczne odległości jakie mają do pokonania chorzy, są istotnym ograniczeniem w dostępie do właściwej opieki, zwłaszcza przy współistniejącym ograniczeniu sprawności. (Suomen Hemofiliayhdistys ry, www.hemofilia.fi)^{24,25,26}.

Po zdiagnozowaniu hemofilii u dziecka, leczenie w Finlandii zostaje rozpoczęte w jednym z uniwersyteckich szpitalnych oddziałów pediatrycznych. W oddziałach tych dzieci z hemofilią są monitorowane co cztery do sześciu miesięcy aż do ukończenia 16-18 r.ż. U dzieci z ciężką postacią choroby, już w pierwszym roku życia, rozpoczynane jest leczenie profilaktyczne. Począwszy od 16-18 r.ż. opiekę kompleksową przejmują oddziały hematologiczne dla dorosłych. Kontrole prowadzone są raz w roku. Dodatkowo ponad 50% chorych na hemofilię w Finlandii pozostaje na leczeniu domowym. Większość dzieci i młodych chorych jest na leczeniu profilaktycznym, natomiast starsi chorzy pozostają na leczeniu „na żądanie”^{5,8,20,24,25}.

WYDATKI NA ZDROWIE

9% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

2904 OSÓB
0,06% POPULACJI

OBCIĄŻENIE HIV

BRAK DANYCH

OBCIĄŻENIE HCV

BRAK DANYCH

POWIKŁANIE INHIBITOREM

6 CHORYCH Z HEMOFILIĄ A

2 CHORYCH Z HEMOFILIĄ B

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 7,79 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 95%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 5%

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 2,51 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 100%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 0%

Irlandia

W Irlandii w 2011 roku 9% krajowego produktu brutto przeznaczone zostało na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Na podstawie „WFH Global Survey 2012”, w Irlandii w 2012 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 2904 osób. Stanowili oni 0,06% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 775 osób rozpoznano hemofilię, u 629 – chorobę von Willebranda, a u pozostałych 1500 chorych – inną skazę krwotoczną. W 2012 roku u 6 chorych na hemofilię A i u 2 chorych na hemofilię B, wykryto inhibitory niedoborowych czynników. W populacji irlandzkich chorych na hemofilię są zakażeni HIV i HVC^{8,20}.

W 2012 roku w Irlandii wykorzystano w sumie 36 805 250 j.m. czynnika VIII. Średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Irlandii na rok, w 2012 roku wynosiło 7,79 j.m. 95% całkowitej ilości wykorzystanego czynnika VIII uzyskano metodą rekombinacji genetycznej. Pozostałą ilość otrzymano z osocza. Zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca Irlandii na rok, w 2012 roku wynosiło 2,51 j.m. Wszyscy chorzy na hemofilię typu B w ramach terapii suplementacyjnej otrzymują koncentraty czynników rekombinowanych^{5,8}. Jest to wynik konsensusu między lekarzami prowadzącymi leczenie hemofilii i Irlandzkim Stowarzyszeniem Chorych na Hemofilię Irish Haemophilia Society, a częściowo wynikający z faktu dużej liczby przypadków zakażeń HIV i HCV za pośrednictwem produktów

pochodzenia osoczonego w przeszłości. Co roku w Irlandii organizowany jest krajowy przetarg na zakup koncentratów czynnika krzepnięcia. Przewodniczącym komisji przetargowej jest główny hematolog w kraju, który dba przede wszystkim o interesy chorych. W wyborze produktów istotne są, poza ceną, wysoka jakość i bezpieczeństwo wybieranych preparatów. W ramach Irlandzkiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię działa The Haemophilia Product Selection & Monitoring Advisory Board (HPSMAB). Jest to organ, którego zadaniem jest doradzanie Ministrowi Zdrowia w zakresie wyboru konkretnego produktu koncentratów czynników niedoborowych, a także udział w pracach Krajowej Komisji Przetargowej. (www.hemofilia.ie)^{8,20,27}.

W całym kraju funkcjonuje doskonale zorganizowany system leczenia. National Centre for Hereditary Coagulation Disorders (NCHCD) w Dublinie prowadzi krajowy rejestr chorych na hemofilię. Jest to jednocześnie ośrodek zapewniający kompleksową i wielospecjalistyczną opiekę dla chorych na hemofilię. Wdrożono specjalnie opracowane Narodowe Programy Leczenia. Istnieją też odpowiednie uregulowania prawne specyfikujące działania w zakresie opieki w hemofilii. W Republice Irlandii chorzy na hemofilię mają pełny dostęp do optymalnych form leczenia. Wszystkie dzieci podlegają leczeniu profilaktycznemu. Chorzy dorośli otrzymują leczenie „na żądanie”. 26-50% dorosłych otrzymuje leczenie profilaktyczne. W Republice Irlandii kompleksowe leczenie dla chorych na hemofilię jest realizowane w:

- dwóch ośrodkach kompleksowego leczenia chorych na hemofilię w Dublinie, (jeden dla dorosłych, drugi – dla dzieci; oba razem tworzą krajowy ośrodek),
- jednym ośrodku leczenia hemofilii w Cork,
- dwóch oddziałach regionalnych leczenia hemofilii. (www.hemofilia.ie)²⁰.

Zarówno ośrodki leczenia hemofilii, jak też jednostki regionalne obsługiwane są przez wyszkolone pielęgniarki i hematologów konsultantów, a także profesjonalistów z innych dziedzin, takich jak stomatolodzy, psychoterapeuci, pracownicy socjalni, fizjoterapeuci i ortopedzi. Leczenie czynnikami niedoborowymi dostępne jest również w stanach nagłych w szpitalach lokalnych. Wszyscy chorzy mogą być leczeni w warunkach domowych. Raz w miesiącu odpowiedni pracownik ośrodka telefonicznie ustala z chorym zapotrzebowanie na najbliższy miesiąc, następnie preparat jest dostarczany do domu chorego. W przypadku obecności inhibitorów wszyscy chorzy mają dostęp do leczenia indukującego tolerancję immunologiczną. (www.hemofilia.ie)^{7,8,20,27}.

WYDATKI NA ZDROWIE

9% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

24794 OSÓB
0,04% POPULACJI

OBCIĄŻENIE HIV

7% ZAKAŻONYCH

OBCIĄŻENIE HCV

46% ZAKAŻONYCH

POWIKŁANIE INHIBITOREM

225 CHORYCH Z HEMOFILIĄ A
10 CHORYCH Z HEMOFILIĄ B

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 7,584 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 89%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 11%

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 1,301 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 89%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 11%

Wielka Brytania

W Wielkiej Brytanii w 2011 roku 9% krajowego produktu brutto przeznaczone zostało na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Na podstawie „WFH Global Survey 2012”, w Wielkiej Brytanii w 2012 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 24794 osób. Stanowili oni 0,04% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 6742 osób rozpoznano hemofilię, u 9697 – chorobę von Willebranda, a u pozostałych 8355 chorych – inną skazę krwotoczną. W 2012 roku u 225 chorych na hemofilię A i u 10 chorych na hemofilię B, wykryto inhibitory niedoborowych czynników. Ok. 7% brytyjskiej populacji chorych na hemofilię jest zakażonych HIV, a 46% – HCV^{8,20}.

W 2012 roku w Wielkiej Brytanii wykorzystano w sumie 478 121 230 j.m. czynnika VIII. Średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Wielkiej Brytanii na rok, w 2012 roku wynosiło 7,584 j.m. 89% całkowitej ilości wykorzystanego czynnika VIII uzyskano metodą rekombinacji genetycznej. Pozostałą ilość otrzymano z osocza. Zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca Wielkiej Brytanii na rok, w 2012 roku wynosiło 1,301 j.m. 89% całkowitej ilości wykorzystanego czynnika VIII uzyskano metodą rekombinacji genetycznej. Pozostałą ilość otrzymano z osocza. Wynika to z faktu, że tysiące osób z hemofilią uległo zakażeniu HIV i HCV w przeszłości w wyniku stosowania produktów pochodzenia osoczwowego^{5,8}.

Zapotrzebowanie na czynniki krzepnięcia w Anglii, Walii i Północnej Irlandii są realizowane na podstawie regionalnych przetargów administrowanych krajowo. Szkocja ma niezależny kontrakt. Wszystkie kontrakty są renegotjowane co dwa lata²⁰.

W Wielkiej Brytanii opieka na chorymi na hemofilię jest zharmonizowana i kompleksowa. Działalność w tym zakresie koordynuje Organizacja Lekarzy z Ośrodków Leczenia Hemofilii w Wielkiej Brytanii – The United Kingdom Haemophilia Centre Doctors' Organisation (UKHCD; www.ukhcdo.org). Jest to organizacja (charytatywna) skupiająca lekarzy, którzy pracują w ośrodkach leczenia hemofilii w Anglii, Szkocji, Północnej Irlandii i Walii. Powstała w 1968 roku w celu poprawy jakości opieki nad chorymi na hemofilię. Zajmuje się leczeniem chorych na hemofilię, epidemiologią zaburzeń krzepnięcia, planowaniem w zakresie systemu opieki zdrowotnej chorych na hemofilię, edukacją personelu medycznego, ujednolicaniem sposobu postępowania u osób z zaburzeniami krwawienia i tworzeniem standardów postępowania w tym zakresie. Bardzo aktywnie współpracuje z Brytyjskim Stowarzyszeniem Chorych na Hemofilię (The Haemophilia Society, www.hemofilia.org.uk). UKHCD od 1978 roku prowadzi Krajowy Rejestr Chorych na Hemofilię (National Haemophilia Database). Jest to elektroniczna baza danych na temat chorych z zaburzeniami krwawienia z obszaru całej Wielkiej Brytanii. (www.ukhcdo.org)^{20,28}.

Polityka postępowania z chorymi na hemofilię w Wielkiej Brytanii jest kompleksowa i jednolita. UKHCD opracowuje i wdraża standardy postępowania realizowane w ramach opieki nad chorymi na hemofilię. Wszyscy chorzy w Wielkiej Brytanii mają dostęp do profesjonalnej opieki realizowanej w 27 ośrodkach leczenia hemofilii, z których dwa mają status ośrodków opieki kompleksowej. Ponadto w tym zakresie działają mniejsze lokalne ośrodki leczenia hemofilii w szpitalach na terenie kraju. Chorzy w Wielkiej Brytanii otrzymują czynniki niedoborowe zarówno w formie leczenia „na żądanie”, jak też w trybie leczenia profilaktycznego. Regularne leczenie profilaktyczne jest dostępne dla wszystkich dzieci i dorosłych z ciężką postacią hemofilii. Jednak większość dorosłych chorych na hemofilię uzyskuje leczenie „na żądanie”. Chorzy mogą prowadzić leczenie w warunkach domowych, w ramach, którego mają zagwarantowaną dostawę czynników krzepnięcia do domu. (www.ukhcdo.org)^{5,8,20,28}.

WYDATKI NA ZDROWIE

12% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

7944 OSÓB
0,01% POPULACJI

OBCIĄŻENIE HIV

10% ZAKAŻONYCH

OBCIĄŻENIE HCV

40% ZAKAŻONYCH

POWIKŁANIE INHIBITOREM

115 CHORYCH Z HEMOFILIĄ A
3 CHORYCH Z HEMOFILIĄ B

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 7,06 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 86%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 14%

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 0,882 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 51%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 49%

Francja

We Francji w 2011 roku 12% krajowego produktu brutto przeznaczone zostało na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Na podstawie „WFH Global Survey 2012”, we Francji, w 2012 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 7944 osób. Stanowili oni 0,01% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 6035 osób rozpoznano hemofilię, u 1496 – chorobę von Willebranda, a u pozostałych 413 chorych – inną skazę krwotoczną. W 2012 roku u 115 chorych na hemofilię A i u 3 chorych na hemofilię B, wykryto inhibitory niedoborowych czynników. Ponad 10% francuskiej populacji

chorych na hemofilię (ponad 378 osób) jest zakażonych HIV i 40% (ponad 1385 osób) chorych jest zakażonych HCV^{8,20}.

W 2012 roku we Francji wykorzystano w sumie 463 346 750 j.m. czynnika VIII. Średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Francji na rok, w 2012 roku wynosiło 7,06 j.m. 86% całkowitej ilości wykorzystanego czynnika VIII uzyskano metodą rekombinacji genetycznej. Pozostałą ilość otrzymano z osocza. Zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca Francji na rok, w 2012 roku wynosiło 0,882 j.m. 51% otrzymano z osocza, pozostałe 49% uzyskano metodą rekombinacji^{5,8}.

W interesie chorych na hemofilię we Francji występuje Francuskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię (Association Française des Hémophiles ofiile, www.afh.asso.fr), które bardzo aktywnie współpracuje zwłaszcza ze środowiskiem medycznym.

We Francji prowadzony jest krajowy rejestr chorych na hemofilię i działa organizacja, która na szczeblu ogólnokrajowym koordynuje opiekę nad chorymi na hemofilię. Funkcjonuje także krajowy program postępowania z chorymi na hemofilię. Chorzy na hemofilię mają dostęp do wszystkich form leczenia tej choroby. Kompleksowa opieka jest realizowana przez specjalistów w 43 ośrodkach leczenia hemofilii. Ponadto, w sytuacjach nagłych chorzy mają także dostęp do opieki w lokalnych szpitalach, gdzie leczenie odbywa się w kooperacji z odpowiednim ośrodkiem leczenia hemofilii.

Prawie wszyscy (76-100%) chorzy mogą prowadzić leczenie w warunkach domowych. Jest to możliwe po odpowiednim kompleksowym przeszkoleniu w ośrodku leczenia hemofilii. Leczenie profilaktyczne rozpoczynane jest u dzieci poniżej trzeciego roku życia lub jako wtórna profilaktyka jest włączane w ciągu sześciu miesięcy po drugim krwawieniu. Lekarze we Francji, w tym zakresie, bazują na rekomendacjach the COMETH (Medical Coordination for the Study and Treatment of the Constitutional Hemorrhagic Diseases). Szacuje się, że profilaktyka we Francji jest realizowana u 75-100% dzieci i 26-50% dorosłych chorych na hemofilię. Blisko połowa chorych, u których stwierdzono obecność inhibitorów czynników niedoborowych, ma możliwość zastosowania leczenia indukującego tolerancję immunologiczną. (www.francecoag.org) (www.afh.asso.fr)^{3,5,8,20}.

WYDATKI NA ZDROWIE

11% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

9110 OSÓB
0,01% POPULACJIOBCIĄŻENIE HIV
10% ZAKAŻONYCHOBCIĄŻENIE HCV
35% ZAKAŻONYCH

POWIKŁANIE INHIBITOREM

90 CHORYCH Z HEMOFILIĄ A
15 CHORYCH Z HEMOFILIĄ B

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 6,959 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 56%
CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 44%

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 1,009 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 61%
CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 39%

Niemcy

W Niemczech w 2011 roku 11% krajowego produktu brutto przeznaczone zostało na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Na podstawie „WFH Global Survey 2012”, w Niemczech, w 2012 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 9110 osób. Stanowili oni 0,01% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 4660 osób rozpoznano hemofilię, a u 4450 chorych z chorobą von Willebranda. W 2012 roku u 90 chorych na hemofilię A i u 15 chorych na hemofilię B, wykryto inhibitory niedoborowych czynników. Blisko 10% niemieckiej populacji chorych na hemofilię jest zakażonych HIV, a ok. 3000 chorych uległo zakażeniu HCV w związku ze

stosowaniem preparatów pochodzenia osoczonego^{8,20}. Stąd jednym z zasadniczych celów działania Niemieckiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię (Deutsche Hämoophiliegesellschaft, www.deutsche-haemophiliegesellschaft.de) jest dopilnowanie finansowej rekompensaty dla chorych z wirusowym zapaleniem wątroby typu C.

W 2012 roku w Niemczech wykorzystano w sumie 565 800 000 j.m. czynnika VIII. Średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Niemiec na rok, w 2012 roku wynosiło 6,959 j.m. 56% całkowitej ilości wykorzystanego czynnika VIII uzyskano metodą rekombinacji genetycznej. Pozostałą

ilość otrzymano z osocza. Zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca Niemiec na rok, w 2012 roku wynosiło 1,009 j.m. 61% uzyskano z osocza, natomiast pozostałe 39% otrzymano metodą rekombinacji genetycznej^{5,8}.

W Niemczech na podstawie decyzji Ministra Zdrowia w Instytucie im. Paula-Ehrlicha utworzono narodowy rejestr chorych na hemofilię (Deutsches Hämoophileregister, DHR). Jest to profesjonalna elektroniczna baza danych zbierająca informacje z obszaru całego kraju. DHR jest nadzorowany przez odpowiedni komitet, w pracach którego uczestniczą między innymi przedstawiciele Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię, towarzystwa naukowego oraz pracownicy Instytutu.

Chorzy na hemofilię mają dostęp do wszystkich form leczenia hemofilii. Opieka kompleksowa jest realizowana w Niemczech w 72 ośrodkach leczenia hemofilii. Działają one w schemacie trzypoziomowym: 17 jako ośrodki opieki kompleksowej, 24 jako ośrodki leczenia hemofilii i 31 mniejszych ośrodków określanych mianem regionalnych. Praca ośrodków jest koordynowana przez Radę Konsultacyjną, działającą z ramienia Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię. Ponadto chorzy mają dostęp do odpowiednio wyszkolonych lekarzy pierwszego kontaktu. 76-100% chorych może prowadzić leczenie w warunkach domowych. 76-100% dzieci otrzymuje profilaktykę, a tylko 51-75% dorosłych. Dostęp do leczenia indukującego tolerancję ma 76-100% chorych^{8,20,27,29,30}.

WYDATKI NA ZDROWIE

10% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

8567 OSÓB
0,01% POPULACJI

OBCIĄŻENIE HIV

266 ZAKAŻONYCH

OBCIĄŻENIE HCV

1501 ZAKAŻONYCH

POWIKŁANIE INHIBITOREM

417 CHORYCH Z HEMOFILIĄ A
8 CHORYCH Z HEMOFILIĄ B

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 6,813 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 78%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 22%

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 0,852 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 77%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 23%

Włochy

We Włoszech w 2011 roku 10% krajowego produktu brutto zostało przeznaczone na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Na podstawie „WFH Global Survey 2012”, we Włoszech w 2012 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 8567 osób. Stanowili oni 0,01% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 4529 osób rozpoznano hemofilię (83% hemofilię A, a 17% – hemofilię B), u 2233 – chorobę von Willebranda, a u pozostałych 1805 chorych – inną skazę krwotoczną. W 2012 roku u 417 chorych na hemofilię A i u 8 chorych na hemofilię B, wykryto inhibitory niedoborowych czynników. Wśród chorych na hemofilię we Włoszech, w związku ze stosowaniem

czynników krzepnięcia pochodzenia osocznego, 266 osób jest zakażonych HIV, a 1501 chorych – zakażonych HCV^{8,20}.

W 2012 roku we Włoszech wykorzystano w sumie 417 389 250 j.m. czynnika VIII. Średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Włoch na rok, w 2012 roku wynosiło 6,813 j.m. 78% całkowitej ilości wykorzystanego czynnika VIII uzyskano metodą rekombinacji genetycznej. Pozostałą ilość otrzymano z osocza. Zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca Włoch na rok, w 2012 roku wyniosła 0,852 j.m. 77% stanowiły koncentraty czynnika uzyskanego metodą rekombinacji, a pozostałe 23% – czynnika pochodzenia osocznego^{5,8}.

Koszt leczenia chorych na hemofilię jest w całości pokrywany na poziomie regionalnym z funduszy przeznaczonych na utrzymanie państwowej służby zdrowia (z funduszy samorządowych). We Włoszech prowadzony jest Krajowy Rejestr chorych na hemofilię. Pierwsze działania w tym zakresie podjął w 1999 roku Minister Zdrowia. Począwszy od 2003 roku inicjatywę w tym zakresie przejęło Stowarzyszenie Ośrodków Leczenia Hemofilii (L'Associazione Italiana Centri Emofilia, AICE) i rozpoczęło nowy program zajmujący się tworzeniem Włoskiego Krajowego Rejestru Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne. AICE powołało panel ekspertów, który steruje rejestrem. Specjalne oprogramowanie umożliwia współpracę w tym zakresie wszystkich akredytowanych przez AICE ośrodków leczenia hemofilii. Dwa razy do roku krajowy rejestr jest uzupełniany o dane z innych ośrodków. Do części danych ma również dostęp Minister Zdrowia. Poza rejestrem krajowym prowadzone są rejestry regionalne. AICE jest organizacją non-profit, koordynującą opiekę nad chorymi na hemofilię we Włoszech. Zrzesza profesjonalistów i współpracuje ze wszystkimi organami zainteresowanymi opieką nad chorymi na hemofilię we Włoszech, zarówno na poziomie państwowym, jak i regionalnym. Celem jej działalności jest, między innymi, ujednolicenie standardów opieki. Z jego inicjatywy w listopadzie 2004 roku powstał Włoski Standard Rozpoznawania i Leczenia chorych z niedoborami czynników krzepnięcia. (www.aiceonline.org)

AICE bardzo aktywnie współpracuje z Federacją Stowarzyszeń Chorych na Hemofilię (Federazione delle Associazioni Emofilici ONLUS, www.fedemo.it). Jest to organizacja społeczna, prawnie ustanowiona w 1996 roku, z siedzibą w Rzymie, która skupia 33 lokalne stowarzyszenia chorych na hemofilię, działające na terytorium Włoch. Powstała w celu informowania, edukowania, wspierania i koordynowania wszystkich działań mających na celu poprawę jakości opieki klinicznej chorych na hemofilię we Włoszech. Dostępność i jakość opieki nad chorymi na hemofilię we Włoszech jest zróżnicowana. Bazuje na 52 ośrodkach leczenia hemofilii, działających w warunkach szpitala, jednak tylko w niektórych działają zespoły wielospecjalistyczne. Analiza poziomu opieki w stanach nagłych dla

chorych na hemofilię w 2011 roku dowodzi, że tylko 36% włoskich regionów ma ustalone specyficzne protokoły postępowania, 68% ma utworzone jednostki pomocy doraźnej z natychmiastowym dostępem do koncentratów niedoborowych czynników, 58% regionów ma lekarzy wyszkolonych w zakresie opieki nad chorymi na hemofilię dostępnych 24 godziny na dobę, a 42% ma 24 godzinny dostęp do laboratorium, które jest w stanie oznaczyć poziomy inhibitorów czynników krzepnięcia^{3,8,20,31}.

Dążąc do ujednolicenia systemu opieki nad chorymi na hemofilię i rozwiązania ważnego problemu szkolenia personelu medycznego w tym zakresie w 2009 roku AICE wraz z Komitetem utworzonym przy The National Blood Centre, złożonym z lekarzy, pacjentów, ekspertów, przedstawicieli 21 regionów i Ministra Zdrowia, opracował projekt dobrowolnej akredytacji. Celem tego projektu jest przygotowanie nowego (poprzedni z 2008 roku) wysoce profesjonalnego standardu oraz stała poprawa jakości opieki chorych na hemofilię. Projekt składał się z dwóch dokumentów. W pierwszym przedstawiono założenia regionalnej polityki w zakresie opieki nad chorymi na hemofilię (monitorowanie i audyt ośrodka, wielospecjalistyczne podejście do opieki klinicznej, protokoły postępowania w stanach nagłych, leczenie domowe i jego monitorowanie, rejestr chorych, dostępność czynników i sposób ich zamawiania, rekrutacja i szkolenia pracowników służby zdrowia). Drugi dokument dotyczy procesu akredytacji ośrodków leczenia hemofilii i wymienia 23 wymogi organizacyjne dla 1 poziomu referencyjności i 4 dla poziomu 2. W 2012 roku projekt został przedstawiony do akceptacji Ministra Zdrowia. Spośród 52 ośrodków, dotychczas, 21 przeszło audyt i uzyskało akredytację. (www.aiceonline.org)³².

We Włoszech dostępność do leczenia domowego ma 76-100% chorych. Pierwotna profilaktyka jest dostępna tylko dla dzieci z ciężką hemofilią, podczas gdy u chorych dorosłych stosowana jest krótkotrwała profilaktyka. Stąd szacuje się, że leczenie profilaktyczne otrzymuje 51-75% dzieci i 26-50% dorosłych chorych na hemofilię. Wszyscy, u których stwierdzono obecność inhibitorów czynników niedoborowych mają dostęp do leczenia indukującego tolerancję immunologiczną^{5,8}.

WYDATKI NA ZDROWIE

11% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

2982 OSÓB
0,03% POPULACJI

OBciążENIE HIV

40 ZAKAŻONYCH LEczONYCH PRZED 1990 ROKIEM

OBciążENIE HCV

97% ZAKAŻONYCH LEczONYCH PRZED 1990 ROKIEM

POWIKłANIE INHIBITOREM

BRAK DANYCH

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 6,706 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 93%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 7%

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: BRAK DANYCH

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: BRAK DANYCH

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: BRAK DANYCH

Belgia

W Belgii w 2011 roku 11% krajowego produktu brutto zostało przeznaczone na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Na podstawie „WFH Global Survey 2012”, w Belgii w 2012 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 2982 osób. Stanowili oni 0,03% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 1020 osób rozpoznano hemofilię, u 1612 – chorobę von Willebranda, a u pozostałych 350 chorych – inną skazę krwotoczną. Według danych z 2011 roku 83% chorych na hemofilię, stanowili chorzy z hemofilią A, a ponad 17% – chorzy z hemofilią B. W latach 80-tych, w Belgii w związku ze stosowaniem koncentratów czynników pochodzenia osoczkowego,

blisko 40 osób chorych na hemofilię uległo zakażeniu HIV. W tym samym czasie 97% chorych leczonych przed 1990 rokiem zostało zakażonych HCV^{13,20}.

W 2012 roku w Belgii wykorzystano w sumie 70 000 000 j.m. czynnika VIII. Średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Belgii na rok, w 2012 roku wynosiło 6,706 j.m. 93% całkowitej ilości wykorzystanego czynnika VIII uzyskano metodą rekombinacji genetycznej. Pozostałą ilość otrzymano z osocza^{5,8}.

Brak aktualnych danych na temat zużycia czynnika IX. Ostatnie opublikowane, pochodzą z 2005 roku i wskazują, że średnie zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca na rok,

w 2005 roku wynosiło 0,33 j.m.³³. Leczenie indukujące immunotolerancję jest stosowane u wszystkich chorych ze stwierdzoną obecnością inhibitorów^{5,8,13}.

System opieki zdrowotnej w Belgii jest na wysokim poziomie i jest finansowany ze składek na obowiązkowe ubezpieczenie oraz prywatne ubezpieczenia zdrowotne. Narodowy Instytut Ubezpieczeń Zdrowotnych (Institut National d'Assurance Maladie Invalidite, INAMI) jest instytucją federalną, która organizuje, zarządza i nadzoruje funkcjonowanie obowiązkowego ubezpieczenia w Belgii. Instytucja podlega Ministrowi Spraw Społecznych. Budżet państwa gwarantuje wypłaty z funduszy ubezpieczeń zdrowotnych. Chorzy na hemofilię w Belgii mają refundowany dostęp do czynników krzepnięcia i do leczenia zakażeń HIV/HCV. Belgijski system opieki zdrowotnej (INAMI) refunduje 70-95% wizyt lekarskich i stomatologicznych oraz 75-85% leków przeciwbólowych stosowanych przez chorych na hemofilię^{5,8,13,20}.

W Belgii nie jest prowadzony Krajowy Rejestr Chorych na Hemofilię. Statystyka chorych na hemofilię w Belgii prowadzona jest przez Belgijskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię (Association de Hémophilie Hemophilievereniging). Stowarzyszenie współpracując z rządem i INAMI, bardzo aktywnie zabiega o poprawę jakości życia chorych na hemofilię. Stowarzyszenie, między innymi, prowadzi i finansuje projekt „be-Coaq”. W ramach projektu, od 2012 roku chorzy na hemofilię otrzymują elektroniczną kartę chorego na hemofilię, która za zgodą chorego umożliwia dostęp do jego danych na temat choroby i sposobu jej leczenia, a także ułatwia kontakt z lekarzem. (www.ahrh.be)

Leczenie chorych na hemofilię w Belgii nie jest skoordynowane. W praktyce nie ma narodowego programu leczenia chorych na hemofilię, który harmonizowałby postępowanie z tymi chorymi. W 2007 roku, co prawda, opracowano dokument, który szczegółowo opisuje zasady opieki nad chorymi na hemofilię, ale praktycznie nie został on dotychczas wdrożony. W siedmiu miastach Belgii działa 11 ośrodków leczenia hemofilii, ale żaden nie ma statusu ośrodka krajowego tym samym koordynującego pracę innych. Nie ma też ośrodka referencyjnego z umową z IMA. W Saint-Luc University Hospital działa wielospecjalistyczny zespół opiekujący się 220 chorymi na hemofilię. Z kolei w Luven jest jeden uznany przez WFH za Międzynarodowe Centrum Szkoleniowe. Jednak ten ośrodek nie jest finansowany specjalnie dla tego typu działalności. Tylko w niektórych szpitalach działają zespoły wielospecjalistyczne. Praktycznie każdy lekarz w Belgii może prowadzić leczenie chorego na hemofilię. W Belgii kompleksowe leczenie chorych na hemofilię jest dostępne dla około połowy chorych. Niestety część chorych nie ma dostępu do wymienionych ośrodków, tym samym do właściwej opieki. Ponieważ nie wdrożono żadnego standardu postępowania z chorymi na hemofilię, leczenie prowadzone jest indywidualnie i może być zlecane przez praktycznie każdego lekarza. Szacuje się, że dostęp do leczenia domowego ma 76-100% chorych na hemofilię. Leczenie profilaktyczne jest obecnie standardem dla dzieci. Z kolei 51-75% populacji dorosłych chorych na hemofilię ma dostęp do profilaktyki^{5,8,13,34,35}.

WYDATKI NA ZDROWIE

9% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

2059 OSÓB
0,04% POPULACJI

OBciążENIE HIV

0 ZAKAŻONYCH

OBciążENIE HCV

30% ZAKAŻONYCH

POWIKłANIE INHIBITOREM

5 CHORYCH Z HEMOFILIĄ A
0 CHORYCH Z HEMOFILIĄ B

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 6,566 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 4%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 96%

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 0,401 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 0%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 100%

Słowacja

W Słowacji w 2011 roku 9% krajowego produktu brutto zostało przeznaczone na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Na podstawie „WFH Global Survey 2012”, w Słowacji w 2012 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 2059 osób. Stanowili oni 0,04% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 577 osób rozpoznano hemofilię, u 570 – chorobę von Willebranda, a u pozostałych 912 chorych – inną skazę krwotoczną. W 2012 roku u 5 chorych na hemofilię A wykryto inhibitory niedoborowego czynnika. Nie stwierdzono żadnego przypadku reakcji immunologicznej u chorych na hemofilię B. U chorych na hemofilię w Słowacji dotychczas nie

stwierdzono zakażenia HIV, ale wirusowe zapalenie wątroby typu C w 2004 roku było udziałem 30% chorych na hemofilię. W 2012 roku było 140 chorych zakażonych HCV^{5,8}.

W 2012 roku w Słowacji wykorzystano w sumie 36 000 000 j.m. czynnika VIII. Średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Słowacji na rok, w 2012 roku wynosiło 6,566 j.m. 4% całkowitej ilości wykorzystanego czynnika VIII uzyskano metodą rekombinacji genetycznej. Pozostałą ilość otrzymano z osocza. Zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca Słowacji na rok, w 2012 roku wyniosło 0,401 j.m. Wszyscy chorzy otrzymali koncentraty czynnika pochodzenia osoczowego^{5,8}.

Koszty leczenia hemofilii w całości pokrywa Powszechny Zakład Ubezpieczeń Zdrowotnych. W Słowacji jest pięć firm zajmujących się ubezpieczeniem zdrowotnym, tzn. zbieraniem składek i refundacją. Powszechny Zakład Ubezpieczeń Zdrowotnych obejmuje większość populacji i ma gwarancję skarbu państwa²⁰.

Opiekę nad chorymi na hemofilię na Słowacji koordynuje Krajowe Centrum Leczenia Chorych na Hemofilię we współpracy ze Słowackim Stowarzyszeniem Chorych na Hemofilię (Slovenské Hemofilické Združenie, www.shz.sk). Aktywność ta realizowana jest w oparciu o Słowacki Narodowy Program Leczenia Hemofilii (Narodné Standardné Postupy pre Liečbu Hemofilie v Slovenskej Republike) sygnowany przez Ministra Zdrowia³⁶.

Krajowe Centrum Leczenia Hemofilii zostało utworzone w 1974 roku w Bratysławie. Centrum zapewnia kompleksową opiekę dla dużej części chorych na hemofilię w Słowacji, a także jest odpowiedzialne za prowadzenie Krajowego Rejestru chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne. Od 1992 roku rejestr prowadzony jest w formie elektronicznej. Kompleksowa opieka nad chorymi na hemofilię na poziomie regionalnym jest realizowana przez trzy ośrodki leczenia zaburzeń hemostazy i zakrzepicy. Ponadto leczenie chorych jest prowadzone przez 39 mniejszych ośrodków leczenia hemofilii, które są częścią regionalnych oddziałów hematologii i transfuzjologii. Zapewniają one postępowanie diagnostyczne, regularne leczenie koncentratami czynników i podstawową opiekę chorych na hemofilię.

W 1992 roku na Słowacji wprowadzono leczenie domowe. Obecnie szacuje się, że 76-100% chorych na hemofilię, a ok. 90% chorych na ciężką postać hemofilii ma dostęp do leczenia domowego. Profilaktyka jest obecnie uznana jako leczenie pierwszego rzutu u wszystkich chorych na ciężką postać hemofilii. Stąd 90% dzieci po 2 r.ż., z ciężką postacią hemofilii, nie generujących inhibitorów oraz 33% dorosłych z taką postacią choroby, otrzymuje leczenie profilaktyczne. Pozostali chorzy stosują leczenie „na żądanie”. Leczenie indukujące immunotolerancję jest stosowane u wszystkich chorych z nowym rozpoznaniem obecności inhibitorów^{8,20,36}.

WYDATKI NA ZDROWIE

9% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

466 OSÓB
0,02% POPULACJI

OBciążENIE HIV

4% ZAKAŻONYCH

OBciążENIE HCV

70% ZAKAŻONYCH

POWIKłANIE INHIBITOREM

2 CHORYCH Z HEMOFILIĄ A
0 CHORYCH Z HEMOFILIĄ B

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 6,521 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 78%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 22%

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 0,359 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 0%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 100%

Słowenia

W Słowenii w 2011 roku 9% krajowego produktu brutto zostało przeznaczone na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Na podstawie „WFH Global Survey 2012”, w Słowenii, w 2012 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 466 osób. Stanowili oni 0,02% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 204 osób rozpoznano hemofilię, u 162 – chorobę von Willebranda, a u pozostałych 100 chorych – inną skazę krwotoczną. W 2011 roku zarejestrowano 203 osoby chore na hemofilię, z czego u 182 rozpoznano hemofilię A (u 82 osób postać ciężką), a u 21 osób hemofilię B (u 6 osób postać ciężką). W 2012 roku u 2 chorych na hemofilię A wykryto inhibitory

niedoborowego czynnika. Spośród chorych na hemofilię w Słowenii 4% zostało zakażonych HIV, a 70% chorych z ciężką hemofilią zostało zakażonych HCV. W 2012 roku zarejestrowano 7 chorych na hemofilię zakażonych HIV i 89 zakażonych HCV. Chorzy otrzymują rentę rekompensacyjną za zakażenie w wyniku stosowania do 1990 roku preparatów osoczo pochodnych^{8,20}.

W 2012 roku w Słowenii wykorzystano w sumie 13 019 650 j.m. czynnika VIII. Średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Słowenii na rok, w 2012 roku wynosiło 6,521 j.m. 78% całkowitej ilości wykorzystanego czynnika VIII uzyskano metodą rekombinacji genetycznej. Pozostałą ilość otrzymano z osocza. Średnie zużycie czynnika IX

na 1 mieszkańca Słowenii na rok, w 2012 roku wyniosło 0,359 j.m. Wszyscy chorzy otrzymali koncentraty czynników pochodzenia osocznego^{5,8}.

Leczenie chorych na hemofilię pokrywa obowiązkowe ubezpieczenie zdrowotne, które jest udzielane przez Instytut Ubezpieczeń Zdrowotnych Słowenii. W Słowenii opieka nad chorymi na hemofilię jest realizowana w oparciu o skoordynowaną działalność Krajowego Centrum Leczenia Hemofilii oraz Słoweńskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię (Društvo Hemofilikov Slovenije). Od 1980 roku aktywnie działa ono na rzecz poprawy jakości opieki chorych na hemofilię. (www.drustvo-hemofilikov.si)²⁷.

Krajowe Centrum koordynuje zaopatrzenie dla osób chorych na hemofilię w całym kraju. Od 1967 roku (a od roku 1998 roku – w wersji elektronicznej) prowadzi Krajowy Rejestr Chorych na Hemofilię i zapewnia kompleksową ewidencję wszystkich terapii zastępczych w kraju: w szpitalach, klinikach i stosowanych w ramach terapii domowych. W ten sposób w pełni zagwarantowana jest możliwość zidentyfikowania produktów, co zapewnia bezpieczeństwo stosowanego leczenia. (www.drustvo-hemofilikov.si)^{20,27}.

W Słowenii kompleksowa opieka nad chorymi na hemofilię jest realizowana w ramach jednego Krajowego Centrum Leczenia Hemofilii w Ljublianie, które oferuje regularną opiekę nad wszystkimi chorymi na hemofilię (dwie podjednostki zajmujące się leczeniem odpowiednio dorosłych i dzieci). Ponadto w ramach centrum działa Słoweńskie Centrum Transfuzjologii, klinika chirurgii urazowej, klinika chorób zakaźnych oraz klinika stomatologiczna. Pod nadzorem Krajowego Centrum realizowana jest opieka nad chorymi na hemofilię w lokalnych ośrodkach opieki zdrowotnej i regionalnych szpitalach, gdzie pracują odpowiednio przeszkoleni lekarze i pielęgniarki. W 1986 roku wdrożono możliwość leczenia domowego. Obecnie w Słowenii 10-50% chorych na hemofilię, a 80% chorych z ciężką postacią choroby ma dostęp do terapii prowadzonej w warunkach domowych^{20,27}.

Od 1984 roku chorzy mogą stosować leczenie profilaktyczne. Początkowo była to terapia krótkoterminowa, a od 1991 roku, istnieje możliwość stosowania długoterminowej profilaktyki. Regularna profilaktyka jest stosowana u wszystkich dzieci z ciężką postacią choroby i u niektórych dzieci z postacią umiarkowaną oraz u niektórych chorych dorosłych z ciężką postacią choroby. Krótkotrwała profilaktyka jest zawsze stosowana u dorosłych w przypadku konieczności przeprowadzenia zabiegu chirurgicznego i w okresie rehabilitacji. Szacuje się, że 26-50% chorych na hemofilię w Słowenii ma dostęp do leczenia profilaktycznego. Rekombinowane czynniki są stosowane w leczeniu wszystkich dzieci, natomiast u dorosłych, czynnik rekombinowany jest stosowany u seronegatywnych chorych (niezakażonych HIV, HCV lub HBV) na hemofilię. Wszyscy chorzy, u których stwierdzono obecność inhibitora czynnika niedoborowego, mają możliwość zastosowania terapii indukującej tolerancję^{5,8,20,27}.

WYDATKI NA ZDROWIE

8% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

2692 OSÓB
0,03% POPULACJI

OBCIĄŻENIE HIV

32 ZAKAŻONYCH

OBCIĄŻENIE HCV

390 ZAKAŻONYCH

POWIKŁANIE INHIBITOREM

36 CHORYCH Z HEMOFILIĄ A
1 CHORY Z HEMOFILIĄ B

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 6,358 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 40%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 60%

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 0,491 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 0%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 100%

Węgry

Na Węgrzech w 2011 roku 8% krajowego produktu brutto zostało przeznaczone na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Na podstawie „WFH Global Survey 2010”, na Węgrzech w 2010 populacja chorych z zaburzeniami krzepnięcia liczyła 2692 chorych. Stanowili oni 0,03% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 999 osób rozpoznano hemofilię (u 792 hemofilię A, a u 207 – hemofilię B), u 1318 osób chorobę von Willebranda, a u 375 inną skazę krwotoczną. W 2010 roku 32 chorych na hemofilię było zakażonych HIV, a 390 – HCV. Od 1987 roku nie zarejestrowano żadnych nowych przypadków zakażenia tymi wirusami. W 2000 roku chorzy zakażeni HIV w wyniku stosowania

preparatów pochodzenia osoczowego otrzymali rekompensatę. W 2010 roku u 36 chorych na hemofilię A i u 1 chorego na hemofilię B stwierdzono obecność inhibitorów czynników niedoborowych^{20,37}.

W 2011 roku na Węgrzech wykorzystano w sumie 63 400 000 j.m. czynnika VIII. Średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Węgier na rok, w 2011 roku wynosiło 6,358 j.m. 40% całkowitej ilości wykorzystanego czynnika VIII uzyskano metodą rekombinacji genetycznej. Pozostałą ilość otrzymano z osocza. Zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca Węgier na rok, w 2011 roku wyniosło 0,491 j.m. W 100% przypadków podano koncentrat czynnika pochodzenia osoczowego^{13,27}.

Leczenie hemofilii, zarówno w zakresie opieki zdrowotnej, jak i kosztu koncentratów czynników krzepnięcia, na Węgrzech jest finansowane przez Narodowy Fundusz Ubezpieczeń Społecznych. Narodowy Fundusz Ubezpieczeń Społecznych raz w roku dokonuje zakupu leków na drodze zamówień publicznych. W komisji przetargowej obecny jest, jako obserwator, przedstawiciel Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię^{20,38}.

Na Węgrzech działa Węgierskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię (Magyar Hemofília Egyesület). Jest to organizacja non-profit o zasięgu ogólnokrajowym, która powstała w 1990 w celu ochrony i reprezentowania interesów chorych na hemofilię. Zadaniem Stowarzyszenia jest działanie na rzecz ustanowienia ogólnokrajowych i nowoczesnych standardów leczenia chorych na hemofilię oraz reprezentowania ich w rozwiązywaniu problemów zdrowotnych, prawnych i socjalnych. Prowadzi bardzo intensywną działalność edukacyjną. (www.mhe.hu)

Ważną rolę w leczeniu hemofilii na Węgrzech odgrywa Ministerstwo Zdrowia, z inicjatywy którego wprowadzono w 2009 roku protokół leczenia hemofilii^{20,38}.

Oficjalnie na Węgrzech nie jest prowadzony krajowy rejestr chorych na hemofilię, jednak lekarze prowadzą ewidencję chorych ze skazami krwotocznymi^{5,27}.

Opieka nad chorymi na hemofilię w opisywanym systemie, jest realizowana przez sieć regionalnych ośrodków leczenia hemofilii. Sieć tę nadzoruje Państwowa Stacja Krwiodawstwa. Leczeniem hemofilii zajmuje się 19 ośrodków, żaden nie ma statusu ośrodka opieki kompleksowej. Leczenie domowe dostępne jest od 1998 roku i obecnie 51-75% chorych otrzymuje koncentraty czynników krzepnięcia w warunkach domowych. Koncentraty nie są dostarczane do domu chorego. Szacuje się, że 76-100% dzieci z ciężką postacią hemofilii i 26-50% dorosłych z ciężką postacią choroby ma dostęp do profilaktyki. Wszyscy chorzy z wykrytymi inhibitorami niedoborowych czynników, mają dostęp do leczenia indukującego tolerancję immunologiczną^{5,13,27,38}.

WYDATKI NA ZDROWIE

11% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

905 OSÓB
0,02% POPULACJI

OBCIĄŻENIE HIV

10% ZAKAŻONYCH

OBCIĄŻENIE HCV

30% ZAKAŻONYCH

POWIKŁANIE INHIBITOREM

BRAK DANYCH

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 6,17 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 100%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 0%

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 1,01 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 100%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 0%

Dania

W Danii w 2011 roku 11% krajowego produktu brutto zostało przeznaczone na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Na podstawie „WFH Global Survey 2012”, w Danii, w 2011 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 905 osób. Stanowili oni 0,02% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 477 osób rozpoznano hemofilię, u 341 – chorobę von Willebranda, a u pozostałych 87 chorych – inną skazę krwotoczną. U 384 chorych rozpoznano hemofilię A, a u 91 osób hemofilię B. 10% duńskiej populacji chorych na hemofilię jest zakażonych HIV, a 30% – HCV^{8,20}.

Na podstawie danych uzyskanych w 2012 roku, średnie zużycie czynnika VIII na mieszkańca Danii na rok wyniosło 6,17 j.m. W Danii stosowane są koncentraty zawierające wyłącznie czynniki rekombinowane^{5,8}. Brak aktualnych danych na temat zużycia czynnika IX w Danii. Ostatnie opublikowane dane pochodzą z 2005 roku i wskazują, że średnie zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca na rok, w 2005 roku wynosiło 1,01 j.m.³³.

W Danii dostępne są wszystkie formy leczenia hemofilii. Opracowano także ogólnokrajowe wytyczne postępowania z tą grupą chorych. Arvebiologisk Institut

w Kopenhadze, jeszcze w latach 60-tych rozpoczął gromadzenie danych na temat chorych z zaburzeniami krwawienia. Duńskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię (Danmarks Bloderforening) aktywnie pracuje na rzecz poprawy jakości życia chorych na hemofilię. Wspólnie z pracownikami ośrodka leczenia hemofilii, Stowarzyszenie opracowało formularz za pośrednictwem, którego drogą elektroniczną chory może złożyć zamówienie na niedoborowy czynnik. (www.bloderforeningen.dk)

Opieka nad chorymi realizowana jest w dwóch wyspecjalizowanych ośrodkach leczenia hemofilii w Skejby i Kopenhadze. Wizyty w ośrodkach realizowane są raz na pół roku. W opiece nad chorymi uczestniczą także mniejsze ośrodki opieki medycznej i szpitale w całym kraju. 51-75% chorych na hemofilię w Danii może prowadzić leczenie w warunkach domowych. 76-100% dzieci ma dostęp do leczenia profilaktycznego, a 26-50% dorosłych korzysta z leczenia profilaktycznego. Wszyscy chorzy, u których stwierdzono obecność inhibitorów ma możliwość skorzystania z leczenia indukującego tolerancję^{5,7,8,20,39}.

WYDATKI NA ZDROWIE

12% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

3756 OSÓB
0,02% POPULACJI

OBCIĄŻENIE HIV

156 ZAKAŻONYCH

OBCIĄŻENIE HCV

1000 ZAKAŻONYCH

POWIKŁANIE INHIBITOREM

BRAK DANYCH

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 5,450 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 60%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 40%

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 0,612 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: BRAK DANYCH

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: BRAK DANYCH

Holandia

W Holandii w 2011 roku 12% krajowego produktu brutto przeznaczone zostało na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Na podstawie „WFH Global Survey 2012”, w Holandii w 2012 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 3756 osób. Stanowili oni 0,02% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 1210 osób rozpoznano hemofilię (u 1026 – hemofilię A, a u 184 – hemofilię B), u 2500 – chorobę von Willebranda, a u pozostałych 46 chorych – inną skazę krwotoczną⁸.

Dane dotyczące występowania zakażeń HIV i HCV wśród chorych na hemofilię w Holandii są ograniczone. Ostatnie opublikowane pochodzą z 2006 roku. Na podstawie „WFH Global Survey 2006” w Holandii w 2006 roku 156 chorych na hemofilię było zakażonych HIV i 1000 osób – HCV. Nie wiadomo czy jest prowadzona diagnostyka w kierunku obecności inhibitorów niedoborowych czynników, ani jakiego odsetka populacji chorych na hemofilię ten problem dotyczy^{20,40}.

Oficjalne dane dotyczące zużycia czynnika VIII w Holandii są bardzo ograniczone.

Ostatnie opublikowane pochodzą z 2005 roku i wskazują, że średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Holandii na rok, w 2005 roku wynosiło 5,450 j.m. 60% wykorzystanej ilości czynnika VII uzyskano metodą rekombinacji, natomiast pozostałą ilość otrzymano z osocza. Średnie zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca Holandii na rok, w 2005 roku wynosiło 0,612 j.m.^{40,41}.

Do 2012 roku opieka nad chorymi w Holandii była realizowana w ramach ustawy z roku 1997, o specjalnych procedurach medycznych (Wet op bijzondere medische verrichtingen). Na jej mocy utworzono ośrodki leczenia hemofilii, ustanowiono skład zespołów kompleksowej opieki nad chorymi na hemofilię oraz określono sposób zlecenia czynników krzepnięcia. Od 2013 roku Minister Zdrowia usunął hemofilię z grupy chorób w przypadku, których obowiązują specjalne procedury i choroba podlega powszechnemu ubezpieczeniu zdrowotnemu. W praktyce oznacza to ograniczenie wydatków na leczenie chorych na hemofilię. Przykładowo leczenie czynnikami krzepnięcia będzie rozliczane z zaplanowanego budżetu szpitala, a nie jak dotychczas na podstawie zużycia przedstawionego na koniec roku^{42,43}.

W interesie chorych na hemofilię aktywnie działa, założone w 1971 roku, Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię (De Nederlandse Vereniging van Hemofilie-Patiënten). W związku ze zmianą schematu finansowania leczenia hemofilii, stowarzyszenie podjęło inicjatywę utworzenia w 2013 roku krajowego rejestru chorych na hemofilię i inne skazy krwotoczne. W Holandii nie jest prowadzony krajowy rejestr chorych na hemofilię. (www.nvhp.nl)⁵.

Opieka nad chorymi na hemofilię jest realizowana w sumie w 13 ośrodkach leczenia hemofilii. Żaden nie ma statusu ośrodka kompleksowego leczenia hemofilii^{5,20}.

Leczenie w warunkach domowych wprowadzono w Holandii w 1973 roku. Obecnie tę formę terapii prowadzi 76-100% chorych na hemofilię. Chorzy zamawiają lek telefonicznie lub drogą elektroniczną i odbierają go w najbliższej aptece. Leczenie profilaktyczne otrzymuje 75-100% dzieci i 50-75% dorosłych z ciężką postacią hemofilii. W przypadku stwierdzenia obecności inhibitorów czynników niedoborowych wszyscy chorzy mają szansę na leczenie indukujące immunotolerancję^{3,5,7,20}.

WYDATKI NA ZDROWIE

7% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

1558 OSÓB
0,01% POPULACJI

OBciążENIE HIV

2 ZAKAŻONYCH

OBciążENIE HCV

183 ZAKAŻONYCH

POWIKłANIE INHIBITOREM

13 CHORYCH Z HEMOFILIĄ A
2 CHORYCH Z HEMOFILIĄ B

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 5,038 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 36%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 64%

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 0,528 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 14%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 86%

Czechy

W Republice Czech w 2011 roku 7% krajowego produktu brutto przeznaczone zostało na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Na podstawie „WFH Global Survey 2012”, w Czechach w 2012 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 1558 osób. Stanowili oni 0,01% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 1031 osób rozpoznano hemofilię (u 898 osób – hemofilię A, a u 133 – hemofilię B), u 478 – chorobę von Willebranda, a u pozostałych 49 chorych – inną skazę krwotoczną. W 2012 roku w Republice Czech 183 chorych na hemofilię było zakażonych HCV, a 2

osoby – HIV. U 13 chorych na hemofilię A i u 2 chorych na hemofilię B, wykryto inhibitory niedoborowych czynników^{5,8,20}.

W 2012 roku w Republice Czeskiej wykorzystano w sumie 51 276 608 j.m. czynnika VIII. Średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Czech na rok, w 2012 roku wynosiło 5,038 j.m. 64% całkowitej ilości wykorzystanego czynnika VIII otrzymano z osocza, natomiast pozostałe 36% uzyskano metodą rekombinacji genetycznej. Zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca Czech na rok, w 2012 roku wynosiło 0,528 j.m. 86% uzyskano z osocza, natomiast pozostałe 14% otrzymano metodą rekombinacji^{5,8}.

W Republice Czech powszechne ubezpieczenie zdrowotne pokrywa koszt czynników krzepnięcia, stosowanych zarówno w leczeniu domowym, jak i w ramach hospitalizacji. Na rzecz chorych na hemofilię w Republice Czech, od 1990 roku aktywnie działa Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię (Český Svaz Hemofiliku). Stowarzyszenie jest finansowane częściowo przez Ministerstwo Zdrowia, a częściowo przez firmy farmaceutyczne. Już w 1985 roku Minister Zdrowia implementował Krajowy Standard Postępowania z Chorymi na Hemofilię. W Republice Czech działa Český Národní Hemofilický Program (ČNHP) – ogólnokrajowa organizacja mająca na celu stałe podnoszenie jakości opieki nad chorymi na hemofilię. W swoich szeregach skupia ona przede wszystkim grono ekspertów zajmujących się leczeniem chorych na hemofilię. Organizacja koordynuje pracę sieci ośrodków leczenia hemofilii w całym kraju. Zajmuje się między innymi akredytacją ośrodków leczenia hemofilii. Tylko na podstawie akredytacji Narodowego Programu, ośrodki otrzymują pieniądze na leczenie chorych na hemofilię z Ministerstwa Zdrowia. Organizacja w 2012 roku opracowała standardy opieki nad chorymi na hemofilię oraz wytyczne diagnostyki i leczenia hemofilii. ČNHP prowadzi Krajowy Rejestr Chorych na hemofilię. Każdy zarejestrowany ma kartę umożliwiającą dostęp, w razie potrzeby, do informacji o jego leczeniu w każdym miejscu na świecie. Za pośrednictwem tej karty może też złożyć zapotrzebowanie na koncentrat czynników.^{20,44,45} (www.hemofilici.cz)

Opieka chorych na hemofilię w Czechach oparta jest na modelu scentralizowanym. Działają dwa ośrodki kompleksowego leczenia przez wielospecjalistyczny zespół lekarzy. Ośrodki te koordynują działalność ośmiu ośrodków leczenia hemofilii. Z kolei ośrodki regionalne nadzorują leczenie substytucyjne koncentratami czynników niedoborowych u poszczególnych chorych. Leczenie domowe w Republice Czech jest dostępne na mocy decyzji Ministra Zdrowia od 1992 roku. Szacuje się, że dostęp do leczenia domowego w Republice Czech ma obecnie 76-100% chorych na hemofilię. Leczenie w warunkach domowych w pełni objęte jest ubezpieczeniem zdrowotnym. Odbyna się pod nadzorem wyszkolonych pielęgniarek i lekarzy. Szczególną rolę odgrywają pielęgniarki. Chory ma 24-godzinny dostęp do bezpłatnej infolinii. Lek dostępny jest w odpowiednich aptekach. Na profilaktykę ma szansę 76-100% dzieci i 1-25% dorosłych z ciężką postacią choroby. U dzieci profilaktyka pierwotna wdrażana jest od 2 r.ż. Dorośli chorzy na hemofilię leczeni są metodą „na żądanie”. W przypadku stwierdzenia inhibitorów czynników niedoborowych wszyscy chorzy otrzymują leczenie indukujące immunotolerancję^{3,5,7,27,44,45}.

WYDATKI NA ZDROWIE

11% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

717 OSÓB
0,009% POPULACJI

OBCIĄŻENIE HIV

49 ZAKAŻONYCH

OBCIĄŻENIE HCV

140 ZAKAŻONYCH

POWIKŁANIE INHIBITOREM

26 CHORYCH Z HEMOFILIĄ A
2 CHORYCH Z HEMOFILIĄ B

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 3,750 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: BRAK DANYCH
CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: BRAK DANYCH

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 0,229 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: BRAK DANYCH
CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: BRAK DANYCH

Austria

W Austrii w 2011 roku 11% krajowego produktu brutto przeznaczone zostało na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Na podstawie „WFH Global Survey 2011”, w Austrii w 2011 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 717 osób. Stanowili oni 0,009% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 717 osób rozpoznano hemofilię (u 546 osób – hemofilię A, a u 99 – hemofilię B), u 37 – chorobę von Willebranda, a u pozostałych 35 chorych – inną skazę krwotoczną. W 2011 roku w Austrii 140 chorych na hemofilię było zakażonych HCV,

a 49 osób – HIV. U 26 chorych na hemofilię A i u 2 chorych na hemofilię B, wykryto inhibitory niedoborowych czynników^{7,13}.

Oficjalne dane dotyczące zużycia czynnika VIII w Austrii są bardzo ograniczone. Ostatnie opublikowane dane pochodzą z 2005 roku i wskazują, że średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Austrii na rok, w 2005 roku wynosiło 3,750 j.m. Stosowano koncentraty zarówno czynników uzyskanych z osocza, jak i otrzymywanych metodą rekombinacji genetycznej. Średnie zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca Austrii na rok, w 2005 roku wynosiło 0,229 j.m.^{20,33,40,41}.

Koszty stosowania czynników niedoborowych w terapii suplementacyjnej pokrywają kasy chorych. Odbywa się to pod szczególnym nadzorem przedstawicieli powszechnego ubezpieczenia zdrowotnego²⁰.

Pierwszy ośrodek leczenia hemofilii stworzono w Wiedniu w 1952 roku. Obecnie opieka nad chorymi w Austrii jest realizowana w 11 ośrodkach leczenia hemofilii. Żaden nie ma statusu ośrodka kompleksowego leczenia chorych na hemofilię. Tylko trzy ośrodki utworzono przy klinikach, pozostałe stanowią regionalne szpitale. Na rzecz chorych na hemofilię od 1966 roku działa Austriackie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię (Österreichische Haemophilie Gesellschaft). W ramach stowarzyszenia działa komitet naukowy. W Wiedniu w ramach ośrodka leczenia hemofilii lekarze prowadzą Krajowy Rejestr Chorych na Hemofilię. Gromadzą i analizują dane dotyczące chorych z wrodzonymi skazami krwotocznymi. Należy podkreślić, że rejestr powstał z inicjatywy stowarzyszeń chorych. W 1989 roku Stowarzyszenie utworzyło fundusz wsparcia dla ludzi chorych na hemofilię zakażonych HIV. (www.bluter.at)^{20,46}.

Dostęp do leczenia w warunkach domowych w Austrii ma 76-100% chorych na hemofilię. 51-75% dzieci i 1-25% dorosłych z ciężką postacią hemofilii korzysta z profilaktyki. Wszyscy chorzy, u których zidentyfikowano inhibitory czynników niedoborowych mają szansę na zastosowanie leczenia indukującego immunotolerancję^{5,7,20,40}.

WYDATKI NA ZDROWIE

9% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

2874 OSÓB
0,006% POPULACJI

OBCIĄŻENIE HIV

470 ZAKAŻONYCH

OBCIĄŻENIE HCV

1014 ZAKAŻONYCH

POWIKŁANIE INHIBITOREM

76 CHORYCH Z HEMOFILIĄ A
6 CHORYCH Z HEMOFILIĄ B

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 4,67 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 62%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 38%

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 0,616 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 50%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 50%

Hiszpania

W Hiszpanii w 2011 roku 9% krajowego produktu brutto przeznaczone zostało na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Na podstawie „WFH Global Survey 2011”, w Hiszpanii w 2011 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 2874 osób. Stanowili oni 0,006% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 1679 osób rozpoznano hemofilię (u 1679 osób – hemofilię A, a u 277 – hemofilię B), u 710 – chorobę von Willebranda, a u pozostałych 211 chorych – inną skazę krwotoczną. W 2011 roku w Hiszpanii 1014 chorych na hemofilię było zakażonych HCV, a 470 osób – HIV.

U 76 chorych na hemofilię A i u 6 chorych na hemofilię B, wykryto inhibitory niedoborowych czynników^{5,13}.

W 2011 roku w Hiszpanii wykorzystano w sumie 214 773 669 j.m. czynnika VIII. Średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Hiszpanii na rok, w 2011 roku wynosiło 4,67 j.m. 62% całkowitej ilości wykorzystanego czynnika VIII uzyskano metodą rekombinacji genetycznej, natomiast pozostałe 38% otrzymano z osocza^{5,13}. Zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca Hiszpanii na rok, w 2009 roku wynosiło 0,616 j.m. 50% uzyskano z osocza, natomiast pozostałą ilość otrzymano metodą rekombinacji^{20,47}.

Opiekę nad chorymi w Hiszpanii finansuje państwo. Obowiązuje scentralizowany zakup zabiegów związanych z hemofilią. Zakup koncentratów niedoborowych czynników krzepnięcia realizowany jest przez Ministerstwo Zdrowia^{48,49}.

W interesie chorych na hemofilię w Hiszpanii działa bardzo aktywnie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię (Federación Española de Hemofilia – FedHemo). Na rzecz chorych na hemofilię oraz chorych z innymi wrodzonymi skazami krwotocznymi, działa także fundacja – Real Fundación Victoria Eugenia (RFVE). W jej ramach działa Komitet Naukowy zrzeszający specjalistów z różnych dziedzin dotyczących chorych z wrodzonymi skazami krwotocznymi. (www.hemofilia.com)^{48,50}.

W Hiszpanii obowiązują, wydane w 2012 roku przez Ministerstwo Zdrowia, krajowe wytyczne leczenia hemofilii – Hemofilia Guía Terapéutica. Wytyczne zostały przygotowane przez grupę ekspertów ds. hemofilii.

W 2008 roku Sociedad Española de Trombosis y Hemostasis (SETH) utworzyła Urzędowy Rejestr Wrodzonych Koagulopatii w Hiszpanii. W jego ramach stworzono Krajowy Rejestr Chorych na Hemofilię. Rejestr w wersji elektronicznej obejmuje dane epidemiologiczne, dane kliniczne oraz dane ośrodka, w którym prowadzone jest leczenie zarejestrowanego chorego na hemofilię. Opieka nad chorymi realizowana jest w 54 ośrodkach leczenia hemofilii. Leczenie domowe dostępne jest od 1982 roku na mocy decyzji Ministra Zdrowia. Obecnie 76-100% chorych na hemofilię w Hiszpanii, po odpowiednim 3-6 miesięcznym przeszkoleniu, ma szansę na prowadzenie leczenia w warunkach domowych. Od 10 r.ż. dzieci mogą samodzielnie sobie podawać koncentraty niedoborowych czynników. Dostęp do profilaktyki ma zagwarantowane 76-100% dzieci i 1-25% dorosłych z ciężką postacią choroby. W przypadku stwierdzenia obecności inhibitorów czynników niedoborowych, 76-100% chorych ma szansę na leczenie indukujące tolerancję immunologiczną^{5,7,13,20,49,50,51}.

WYDATKI NA ZDROWIE

7% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

485 OSÓB
0,01% POPULACJI

OBCIĄŻENIE HIV

0 ZAKAŻONYCH

OBCIĄŻENIE HCV

BRAK DANYCH

POWIKŁANIE INHIBITOREM

5 CHORYCH Z HEMOFILIĄ A
0 CHORYCH Z HEMOFILIĄ B

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 4,419 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 53%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 47%

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 0,611 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 0%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 100%

Litwa

Na Litwie w 2011 roku 7% krajowego produktu brutto przeznaczone zostało na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Na podstawie „WFH Global Survey 2012”, w Republice Litewskiej w 2012 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 485 osób. Stanowili oni 0,01% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 166 osób rozpoznano hemofilię (u 146 osób – hemofilię A, a u 20 – hemofilię B), u 302 – chorobę von Willebranda, a u pozostałych 17 chorych – inną skazę krwotoczną. W 2012 roku w Republice Litewskiej nikt z chorych na hemofilię nie był zakażony HIV. Brak aktualnych danych odnośnie osób chorych na hemofilię zakażonych HCV. W 2006

roku szacowano, że ok. 60% populacji chorych na hemofilię było zakażonych HCV. U 5 chorych na hemofilię A wykryto inhibitory niedoborowych czynników. Nie stwierdzono inhibitorów u osób chorych na hemofilię B^{5,7,20}.

W 2012 roku w Republice Litewskiej wykorzystano w sumie 15 580 000 j.m. czynnika VIII. Średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Litwy na rok, w 2012 roku wynosiło 4,419 j.m. 53% całkowitej ilości wykorzystanego czynnika VIII uzyskano metodą rekombinacji genetycznej, natomiast pozostałe 47% otrzymano z osocza. Zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca Litwy na rok, w 2012 roku wynosiło 0,611 j.m. Zawsze był to koncentrat czynnika osoczopochodnego^{5,8}.

O wyborze preparatu do leczenia chorych na hemofilię na Litwie decydują przedstawiciele Ministerstwa Zdrowia i lekarze²⁰.

Leczenie chorych na hemofilię jest realizowane jest w trzech ośrodkach leczenia hemofilii (dwa dla dorosłych i jeden dla dzieci). W żadnym nie jest prowadzone kompleksowe leczenie wielospecjalistyczne. Na rzecz chorych działa, założone w 1996 roku, Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię (Lietuvos Žmonių Serganciu Hemofilija Asociacija). Odgrywa ono wiodącą rolę w dążeniu do poprawy jakości życia chorych na hemofilię na Litwie. Oficjalnie na Litwie nie jest prowadzony krajowy rejestr chorych na hemofilię. Jednak stowarzyszenie gromadzi dane na temat chorych ze skazami krwotocznymi.

W ośrodku w Kłajpedzie specjaliści opracowali też wytyczne postępowania w przypadku hemofilii, z którymi zapoznał się Minister Zdrowia. Szacuje się, że 76-100% chorych na hemofilię ma dostęp do leczenia domowego. Koncentraty dystrybuowane są przez sieć aptek. Profilaktyka dotyczy 76-100% dzieci z ciężką postacią hemofilii. Natomiast nikt z dorosłych nie ma szansy na taką formę leczenia. Wszyscy dorośli leczeni są w trybie „na żądanie”. Leczenie indukujące immunotolerancję dotyczy 1-25% chorych, u których wykryto inhibitory niedoborowych czynników.^{5,8,20,27,52,53} (www.hemofilija.lt).

WYDATKI NA ZDROWIE

10% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

759 OSÓB
0,007% POPULACJI

OBCIĄŻENIE HIV

24% ZAKAŻONYCH

OBCIĄŻENIE HCV

BRAK DANYCH

POWIKŁANIE INHIBITOREM

BRAK DANYCH

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 3,433 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 63%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 37%

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 0,518 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 23%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 77%

Portugalia

W Portugalii w 2011 roku 10% krajowego produktu brutto przeznaczone zostało na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Na podstawie „WFH Global Survey 2012”, w Portugalii w 2012 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 759 osób. Stanowili oni 0,007% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 645 osób rozpoznano hemofilię (u 535 osób – hemofilię A, a u 110 – hemofilię B), u 49 – chorobę von Willebranda, a u pozostałych 65 chorych – inną skazę krwotoczną^{5,8}. Brak aktualnych danych na temat odsetka chorych na hemofilię zakażonych HIV lub HCV. W 2006 roku szacowano, że 24% populacji chorych na hemofilię w tym kraju (ok. 140 osób)

było zakażonych HIV, a jeszcze więcej osób – HCV^{20,40}.

Portugalskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię było w 1990 roku, inicjatorem starań o wypłacenie rekompensaty za zakażenia HIV wśród chorych na hemofilię. W 1995 roku rząd portugalski został zobligowany do wypłacenia odpowiedniej rekompensaty, wszystkim osobom zakażonym HIV w wyniku stosowania zakażonych preparatów osoczo pochodnych. Takiej rekompensaty nie przyznano chorym na hemofilię zakażonym HCV. Nie wiadomo czy jest prowadzona diagnostyka w kierunku obecności inhibitorów niedoborowych czynników, ani jakiego odsetka populacji chorych na hemofilię ten problem dotyczy²⁰.

W 2012 roku w Portugalii wykorzystano w sumie 37 012 250 j.m. czynnika VIII. Średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Portugalii na rok, w 2012 roku wynosiło 3,433 j.m. 63% całkowitej ilości wykorzystanego czynnika VIII uzyskano metodą rekombinacji genetycznej, natomiast pozostałe 37% otrzymano z osocza. Zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca Portugalii na rok, w 2012 roku wynosiło 0,518 j.m. 77% uzyskano z osocza, natomiast pozostałe 23% otrzymano metodą rekombinacji^{5,8}.

Na podstawie decyzji Ministra Zdrowia z 2003 roku leczenie chorych na hemofilię jest finansowane przez Narodowy Fundusz Zdrowia^{54,55}.

Na rzecz chorych na hemofilię w Portugalii działa Portugalskie Stowarzyszenie Chorych na hemofilię (Associação Portuguesa dos Hemofílicos). Stowarzyszenie uczestniczy w krajowych przetargach na zakup koncentratów niedoborowych czynników. Prowadzi też ewidencję chorych na hemofilię, jednak nie ma ona statusu krajowego rejestru chorych na hemofilię. (www.aphemofilia.pt)

W Portugalii opieka nad chorymi realizowana jest w 8 ośrodkach leczenia hemofilii oraz kilkunastu regionalnych ośrodkach mających możliwość udzielenia pierwszej pomocy chorym na hemofilię. Leczenie w warunkach domowych może prowadzić 51-75% chorych na hemofilię. Profilaktykę stosuje 51-75% dzieci i 1-25% dorosłych z ciężką postacią choroby. Dorośli korzystają przede wszystkim z leczenia „na żądanie”. Dostęp do leczenia indukującego immunotolerancję, w przypadku stwierdzenia obecności inhibitorów czynników niedoborowych, szacuje się na poziomie 26-50%^{5,7,8,20,54,55}.

WYDATKI NA ZDROWIE

9% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

1994 OSÓB
0,02% POPULACJI

OBCIĄŻENIE HIV

63 ZAKAŻONYCH

OBCIĄŻENIE HCV

305 ZAKAŻONYCH

POWIKŁANIE INHIBITOREM

20 CHORYCH Z HEMOFILIĄ A
3 CHORYCH Z HEMOFILIĄ B

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 3,243 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 94%
CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 6%

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 0,355 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 91%
CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 9%

Grecja

W Grecji w 2011 roku 9% krajowego produktu brutto przeznaczone zostało na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Na podstawie „WFH Global Survey 2012”, w Grecji w 2012 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 1994 osób. Stanowili oni 0,02% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 912 osób rozpoznano hemofilię (u 761 osób – hemofilię A, a u 151 – hemofilię B), u 836 – chorobę von Willebranda, a u pozostałych 246 chorych – inną skazę krwotoczną. W 2012 roku w Grecji 305 chorych na hemofilię było zakażonych HCV, a 63 osoby – HIV. U 20 chorych na hemofilię A i u 3 chorych na hemofilię B, wykryto inhibitory niedoborowych czynników^{5,8,20}.

W 2012 roku w Grecji wykorzystano w sumie 34 917 907 j.m. czynnika VIII. Średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Grecji na rok, w 2012 roku wynosiło 3,243 j.m. 94% całkowitej ilości wykorzystanego czynnika VIII uzyskano metodą rekombinacji genetycznej, natomiast pozostałe 6% otrzymano z osocza. Zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca Grecji na rok, w 2012 roku wynosiło 0,355 j.m. 91% uzyskano metodą rekombinacji genetycznej, natomiast pozostałe 9% otrzymano z osocza^{5,8}.

Koszty leczenia koncentratami czynników w Grecji pokrywa rząd. Ministerstwo Zdrowia w ramach krajowego planu działania w zakresie zdrowia publicznego opracowało program leczenia i finansowania chorób

rzadkich, do których zaliczana jest hemofilia i inne skazy krwotoczne^{20,56,57}.

W interesie chorych aktywnie działa Greckie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię, które zostało utworzone w 1964 roku w Atenach, głównie, z inicjatywy lekarzy prowadzących leczenie chorych na hemofilię. Zajmuje się między innymi wsparciem finansowym chorych na hemofilię. Leczenie w Grecji prowadzone jest w ramach pięciu ośrodków leczenia hemofilii (dwa w Salonikach i trzy w Atenach). W Atenach w LAIKO Hospital działa ośrodek kompleksowego leczenia chorych na hemofilię, który ma status krajowego ośrodka referencyjnego w zakresie terapii hemofilii i innych skaz krwotocznych. Lekarze z ośrodka prowadzą rejestr chorych ze skazami krwotocznymi w Grecji. Dane są gromadzone od 2007 roku, pochodzą z pięciu ośrodków i są aktualizowane co rok. (www.haemophiliasociety.gr)^{20,56,57}.

Dostęp do leczenia w warunkach domowych w Grecji ma 76-100% chorych na hemofilię. Z profilaktyki korzysta 76-100% dzieci i 26-50% dorosłych z ciężką postacią choroby. Dorośli stosują koncentraty „na żądanie”. W przypadku wykrycia inhibitorów czynników niedoborowych wszyscy chorzy mają dostęp do leczenia indukującego immunotolerancję^{5,7,8}.

WYDATKI NA ZDROWIE

8% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

898 OSÓB
0,02% POPULACJI

OBCIĄŻENIE HIV

6 ZAKAŻONYCH

OBCIĄŻENIE HCV

198 ZAKAŻONYCH

POWIKŁANIE INHIBITOREM

BRAK DANYCH

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 3,80 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: BRAK DANYCH
CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: BRAK DANYCH

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 0,250 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: BRAK DANYCH
CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: BRAK DANYCH

Chorwacja

W Chorwacji w 2011 roku 8% krajowego produktu brutto przeznaczone zostało na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Dane epidemiologiczne na temat występowania skaz krwotocznych w Chorwacji są ograniczone. Ostatnie opublikowane dane pochodzą z roku 2007. Na podstawie „WFH Global Survey 2007”, w Chorwacji w 2007 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 898 osób. Stanowili oni 0,02% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 477 osób rozpoznano hemofilię (u 385 osób – hemofilię A, a u 92 – hemofilię B), u 282 – chorobę von

Willebranda, a u pozostałych 139 chorych – inną skazę krwotoczną. W 2007 roku w Chorwacji, 198 chorych na hemofilię było zakażonych HCV, a 6 osób – HIV. Nie wiadomo czy jest prowadzona diagnostyka w kierunku obecności inhibitorów niedoborowych czynników, ani jakiego odsetka populacji chorych na hemofilię ten problem dotyczy^{5,58}.

Na podstawie danych uzyskanych w 2012 roku średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Chorwacji na rok, wynosiło 3,80 j.m. Stosowane są koncentraty zarówno czynników pochodzenia osoczkowego, jak i otrzymywane metoda rekombinacji genetycznej^{5,8}.

Dane na temat zużycia czynnika IX w Chorwacji są bardzo ograniczone. Ostatnie opublikowane dane wskazują, że średnie zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca na rok, w 2006 roku wynosiło 0,250 j.m.^{33,40}.

Leczenie czynnikami jest refundowane przez Chorwacki Instytut Ubezpieczenia Zdrowotnego. W interesie chorych na hemofilię działa Chorwackie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię⁵⁹.

W kraju działają dwa ośrodki leczenia hemofilii – w Splicie dla dzieci i w Zagrzebiu – Krajowe Centrum Leczenia Hemofilii, skoncentrowane przede wszystkim na terapii dorosłych. Leczenie w warunkach domowych w Chorwacji prowadzi 10-50% chorych na hemofilię. Profilaktyka jest dostępna dla 1-25% dzieci i 1-25% dorosłych z ciężką postacią choroby. Szacuje się, że 1-25% chorych z wykrytymi inhibitorami czynników niedoborowych ma szansę na leczenie indukujące immunotolerancję.

Nie jest prowadzony krajowy rejestr chorych na hemofilię. Ministerstwo Zdrowia Chorwacji, dążąc do dostosowania, do standardów unijnych, poziomu opieki nad chorymi z chorobami rzadkimi (do których należy hemofilia), przygotowało projekt Narodowego Programu Rzadkich Chorób na okres 2013-2018 (NACRT). Przyjęcie tego programu i jego realizacja ma istotnie zmienić w Chorwacji sytuację chorych na hemofilię i dostosować ją do europejskich standardów opieki^{5,59}.

WYDATKI NA ZDROWIE

7% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

741 OSÓB
0,01% POPULACJI

OBCIĄŻENIE HIV

10 ZAKAŻONYCH

OBCIĄŻENIE HCV

400 ZAKAŻONYCH

POWIKŁANIE INHIBITOREM

18 CHORYCH Z HEMOFILIĄ A
1 CHORY Z HEMOFILIĄ B

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 2,140 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 12%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 88%

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 0,13 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 0%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 100%

Bułgaria

W Bułgarii w 2011 roku 7% krajowego produktu brutto przeznaczone zostało na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Na podstawie „WFH Global Survey 2011”, w Bułgarii w 2011 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 741 osób. Stanowili oni 0,01% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 618 osób rozpoznano hemofilię (u 560 osób – hemofilię A, a u 68 – hemofilię B), u 90 – chorobę von Willebranda, a u pozostałych 33 chorych – inną skazę krwotoczną. W 2011 roku w Bułgarii 400 chorych na hemofilię było zakażonych HCV, a 10 osób – HIV. U 18 chorych na hemofilię A i u 1 chorego na hemofilię B, wykryto inhibitory niedoborowych czynników^{5,13}.

W 2011 roku w Bułgarii wykorzystano w sumie 16 000 000 j.m. czynników VIII. Średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Bułgarii na rok, w 2011 roku wynosiło 2,140 j.m. 88% całkowitej ilości wykorzystanego czynnika VIII otrzymano z osocza, natomiast pozostałe 12% uzyskano metodą rekombinacji genetycznej. Zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca Bułgarii na rok, w 2011 roku wynosiło 0,13 j.m. Wszyscy chorzy otrzymali koncentrat czynnika pochodzenia osocznego^{5,13,20}.

Ministerstwo Zdrowia wraz z Narodowym Funduszem Ubezpieczenia Zdrowotnego i Krajową Komisją Ekspertów dbają o zapewnienie odpowiedniego poziomu opieki nad chorymi na hemofilię w Bułgarii⁶⁰.

W 2011 r. wprowadzono scentralizowaną kontrolę finansowania dostawy produktów do substytucyjnego leczenia chorych na hemofilię. Raz w roku w Ministerstwie Zdrowia przeprowadzane mają być przetargi na czynniki krzepnięcia. Od marca 2011 roku Narodowy Fundusz Ubezpieczenia Zdrowotnego dostarcza czynniki krzepnięcia dla leczenia domowego, natomiast leczenie szpitalne stanów nagłych chorych na hemofilię finansowane jest przez Ministra Zdrowia. Kwestią otwartą pozostaje finansowanie podania czynników krzepnięcia w ramach planowej hospitalizacji. Przy Ministerstwie utworzono Krajową Komisję Ekspertów. W Bułgarii obowiązują standardy leczenia krwawień u chorych z wrodzonymi koagulopatiami. Duży nacisk kładziony jest na wszechstronną edukację chorych na hemofilię^{60,61,62}.

W interesie chorych na hemofilię w Bułgarii bardzo aktywnie działa Bułgarskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię (Българската Асоциация по Хемофилия). Jej przedstawiciele uczestniczą między innymi w pracach Krajowej Komisji Ekspertów przy Ministerstwie Zdrowia. (www.hemo-bg.org)

Opieka nad chorymi na hemofilię w Bułgarii jest realizowana w 10 ośrodkach leczenia hemofilii. Jednak dostęp do wielospecjalistycznej opieki dla chorych na hemofilię jest możliwy praktycznie tylko w krajowym ośrodku leczenia hemofilii w Sofii. Trwają prace nad rozpowszechnieniem dostępu do kompleksowej wielospecjalistycznej opieki nad chorymi na hemofilię w pozostałych regionach kraju^{5,27,63}.

W Bułgarii nie ma krajowego rejestru chorych na hemofilię. Dane o chorych na hemofilię gromadzone są przez lekarzy, w ramach rejestru wszystkich chorych z wrodzonymi skazami krwotocznymi. Leczenie domowe dotyczy 10-50% chorych na hemofilię. Koncentraty dostępne są w wybranych aptekach, nie są dostarczane do domu chorego. Profilaktyka jest dostępna dla 51-75% dzieci i 1-25% dorosłych chorych na ciężką postać hemofilii. Dorośli chorzy na hemofilię otrzymują głównie leczenie „na żądanie”. Preparaty czynników rekombinowanych w Bułgarii otrzymują dzieci, natomiast osoby po 18 r.ż., otrzymują koncentraty czynników pochodzenia osocznego^{5,27,60,63}.

Prowadzone są badania przesiewowe w kierunku obecności inhibitorów, jednak dostęp do leczenia indukującego tolerancję immunologiczną jest bardzo ograniczony. Zwykle jest sponsorowany. Warto wspomnieć o programach partnerskich z różnymi ośrodkami leczenia hemofilii w Europie, w ramach których szkoleni są różni specjaliści. Bułgarskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię aktywnie współpracuje z Holenderskim Stowarzyszeniem Chorych na Hemofilię^{27,62,63}.

WYDATKI NA ZDROWIE

6% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

253 OSÓB
0,01% POPULACJI

OBCIĄŻENIE HIV

BRAK DANYCH

OBCIĄŻENIE HCV

BRAK DANYCH

POWIKŁANIE INHIBITOREM

2 CHORYCH Z HEMOFILIĄ A

2 CHORYCH Z HEMOFILIĄ B

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 1,805 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 12%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 88%

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 0,163 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 0%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 100%

Łotwa

Na Łotwie w 2011 roku 6% krajowego produktu brutto przeznaczone zostało na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Na podstawie „WFH Global Survey 2012”, na Łotwie w 2012 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 253 osoby. Stanowili oni 0,01% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 145 osób rozpoznano hemofilię (u 121 osób – hemofilię A, a u 24 – hemofilię B), u 103 – chorobę von Willebranda, a u pozostałych 5 chorych – inną skazę krwotoczną. Brak aktualnych danych na temat odsetka chorych na hemofilię zakażonych HIV lub HCV.

Ostatnie opublikowane informacje pochodzą z 2004 roku i wskazują, że 56% populacji chorych na hemofilię było zakażonych HCV i nie było żadnego chorego na hemofilię zakażonego HIV. U 2 chorych na hemofilię A i u 2 chorych na hemofilię B, wykryto inhibitory niedoborowych czynników^{8,20}.

W 2012 roku na Łotwie wykorzystano w sumie 3 955 000 j.m. czynnika VIII. Średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Łotwy na rok, w 2012 roku wynosiło 1,805 j.m. 88% całkowitej ilości wykorzystanego czynnika VIII otrzymano z osocza, natomiast pozostałe 12% uzyskano metodą rekombinacji genetycznej. Zużycie czynnika

IX na 1 mieszkańca Łotwy na rok, w 2012 roku wynosiło 0,163 j.m. Wszyscy chorzy otrzymali koncentraty czynnika pochodzenia osocznego^{5,8}.

W interesie chorych na hemofilię działa aktywnie Łotewskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię (Latvijas Hemofilijas Beidriba). Na Łotwie obecnie nie jest prowadzony krajowy rejestr chorych na hemofilię. Leczenie w warunkach domowych jest dostępne od 2002 roku i obecnie, korzysta z tej formy leczenia, 76-100% chorych na hemofilię. Chorzy po odpowiednim przeszkoleniu, odbierają koncentraty czynników w aptekach i aplikują samodzielnie w domu.

Rząd kupuje najtańsze preparaty i nie zawsze gwarantuje ich dostępność w aptekach. Od 2012 roku wszystkie dzieci z ciężką postacią choroby do 18 r.ż., otrzymują koncentraty rekombinowanych czynników krzepnięcia. Dorośli korzystają wyłącznie z terapii „na żądanie” i otrzymują koncentraty czynników pochodzenia osocznego. W przypadku wykrycia inhibitorów czynników niedoborowych, wszyscy chorzy mają dostęp do leczenia indukującego immunotolerancję. Leczenie chorych na hemofilię na Łotwie jest realizowane w dwóch ośrodkach w Rydze (jeden dla dzieci i jeden dla dorosłych)^{5,8,20,27}.

WYDATKI NA ZDROWIE

6% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

1967 OSÓB
0,01% POPULACJI

OBCIĄŻENIE HIV

1 ZAKAŻONY

OBCIĄŻENIE HCV

943 ZAKAŻONYCH

POWIKŁANIE INHIBITOREM

102 CHORYCH Z HEMOFILIĄ A
3 CHORYCH Z HEMOFILIĄ B

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 0,519 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: 27%

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: 73%

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 0,23 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: BRAK DANYCH

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: BRAK DANYCH

Rumunia

W Rumunii w 2011 roku 6% krajowego produktu brutto przeznaczone zostało na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Na podstawie „WFH Global Survey 2011”, w Rumunii w 2011 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 1967 osób. Stanowili oni 0,01% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 1610 osób rozpoznano hemofilię (u 1415 chorych hemofilię A, a u 195 – hemofilię B), u 348 – chorobę von Willebranda, a u pozostałych 9 chorych – inną skazę krwotoczną. W 2011 roku w Rumunii była jedna osoba chora na hemofilię zakażona HIV i 943 osoby zakażone HCV. W Rumunii w 2011

roku u 102 chorych na hemofilię A i u 3 chorych na hemofilię B, wykryto inhibitory niedoborowych czynników^{13,20}.

W 2011 roku w Rumunii wykorzystano w sumie 11 099 345 j.m. czynnika VIII. Średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Rumunii na rok, w 2011 roku wynosiło 0,519 j.m. 73% całkowitej ilości wykorzystanego czynnika VIII otrzymano z osocza, natomiast pozostałe 27% uzyskano metodą rekombinacji genetycznej. (13) Brak aktualnych danych na temat zużycia czynnika IX. Ostatnie opublikowane dane pochodzą z 2006 roku i wskazują, że średnie zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca na rok, w 2006 roku wynosiło 0,23 j.m.^{20,33}.

Rumunia nie jest krajem, gdzie chorzy na hemofilię otrzymują opiekę na odpowiednim poziomie. Jest ona realizowana w 10 ośrodkach, w których chorzy na hemofilię mają szansę uzyskać pomoc doraźną^{27,64}.

Minister Zdrowia finansuje Krajowy Rejestr Chorych na Hemofilię, w realizacji którego uczestniczą także lekarze i stowarzyszenie chorych na hemofilię. Jednak dostęp do leczenia domowego ma nie więcej niż 10% populacji chorych na hemofilię. Leczeniem profilaktycznym są objęte zaledwie niektóre dzieci z ciężką postacią choroby, nie wspominając o dorosłych. Na odpowiednią terapię nie mają też szansy chorzy, u których stwierdzono obecność inhibitorów niedoborowych czynników. Ale czynione są ogromne starania mające na celu zmianę obecnej sytuacji. Szczególnie aktywne działania w tym zakresie podejmuje Rumuńskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię (Asociația Națională a Hemofilicilor din România). Stowarzyszenie wspólnie z Ministerstwem Zdrowia Rumunii i Europejskim Konsorcjum opracowało dokument „Hemofilia priorytet zdrowia publicznego w Rumunii”. Dokument został podpisany w październiku ubiegłego roku. Na jego mocy Minister Zdrowia zobowiązuje się do utworzenia komitetu, składającego się z przedstawicieli: Ministerstwa Zdrowia, Narodowej Kasy Ubezpieczenia Zdrowotnego, Komisji Hematologii przy Ministerstwie Zdrowia oraz Stowarzyszenia Chorych na hemofilię, zadaniem, którego będzie:

- kwartalna ocena sytuacji chorych na hemofilię w Rumunii i określanie sposobów rozwiązywania problemów w tym zakresie,
- włączenia hemofilii jako priorytetu narodowego w strategii krajowej polityki zdrowotnej w 2014 roku,
- opracowania podstaw prawnych dla tworzenia krajowego rejestru chorych na hemofilię oraz funkcjonowania ośrodków leczenia hemofilii,
- opracowania klinicznych wytycznych dotyczących leczenia domowego chorych na hemofilię w Rumunii. (www.hemofilic.ro)

Ministerstwo Zdrowia zakłada w latach 2013-2014 finansowanie i realizację 13 krajowych programów zdrowia publicznego, w tym „Krajowego Programu Bezpieczeństwa Hematologii i Transfuzjologii”. W ramach tego programu, dalszej poprawie może ulec bezpieczeństwo preparatów stosowanych w leczeniu chorych na hemofilię. Nadal w Rumunii stosowane są: osocze, krioprecypitaty i przede wszystkim koncentraty osoczo pochodne. Do rzadkości należy podawanie koncentratów czynników rekombinowanych. Jeżeli już, odbywa się to zwykle w oparciu o sponsorów (np. Save one life). Z budżetu Narodowej Kasy Ubezpieczenia Zdrowotnego finansowanych jest obecnie 14 krajowych programów zdrowotnych, w tym „Narodowy program leczenia hemofilii i talasemii”. W jego ramach ma działać zcentralizowana jednostka zamówień na zakup produktów i usług niezbędnych do realizacji tego programu. Program działa od 01.04.2013 roku. Do tego momentu leczenie hemofilii było finansowane w ramach „Narodowego programu leczenia chorób rzadkich”. W 2012 roku w/w program pozwolił na sfinansowanie leczenia 10 chorych na hemofilię^{65,66}.

WYDATKI NA ZDROWIE

6% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

75 OSÓB
0,005% POPULACJI

OBCIĄŻENIE HIV

0 ZAKAŻONYCH

OBCIĄŻENIE HCV

54% ZAKAŻONYCH

POWIKŁANIE INHIBITOREM

BRAK DANYCH

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 1,18 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: BRAK DANYCH
CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: BRAK DANYCH

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 0,079 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: BRAK DANYCH
CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: BRAK DANYCH

Estonia

W Estonii w 2011 roku 6% krajowego produktu brutto przeznaczone zostało na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Dane epidemiologiczne dotyczące występowania skaz krwotocznych w Estonii są bardzo ograniczone. Ostatnie opublikowane pochodzą z 2003 roku. Na podstawie „WFH Global Survey 2006”, w Estonii w 2003 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 75 osób. Stanowili oni 0,005% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 39 osób rozpoznano hemofilię (u 36 osób – hemofilię A, a u 3 – hemofilię B), u 33 – chorobę von Willebranda, a u pozostałych 3 chorych – inną skazę krwotoczną. W 2004 roku

w Estonii 54% chorych na hemofilię było zakażonych HCV. Nie stwierdzono żadnego przypadku zakażenia HIV wśród chorych na hemofilię. Nie wiadomo czy jest prowadzona diagnostyka w kierunku obecności inhibitorów niedoborowych czynników, ani jakiego odsetka populacji chorych na hemofilię ten problem dotyczy. Dane szacunkowe wskazują, że w 2013 roku w Estonii żyło około 100 chorych na hemofilię^{20,40,67}.

Brak aktualnych danych na temat zużycia koncentratów niedoborowych czynników krzepnięcia u chorych na hemofilię w Estonii. Ostatnie opublikowane dane pochodzą z 2002 roku. Średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Estonii na rok, w 2002 roku

wynosiło 1,18 j.m. Natomiast średnie zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca Estonii na rok, w 2003 roku wynosiło 0,079 j.m. Pierwsze oczyszczone preparaty koncentratów były dostępne w Estonii po 1994 roku. Obecnie zakup koncentratów czynników niedoborowych jest finansowany przez Narodowy Fundusz Zdrowia^{33,41,67}.

Leczenie chorych na hemofilię w Estonii jest realizowane w dwóch ośrodkach, które jednak nie mają statusu ośrodków leczenia hemofilii. Wszyscy chorzy mają dostęp do leczenia domowego „na żądanie”, wyłącznie preparatami uzyskiwanymi z osocza. Dystrybucją koncentratów zajmują się szpitale, a także od niedawna wydzielone apteki pozaszpitalne^{20,67}.

Decyzje dotyczące wyboru preparatów koncentratów czynników krzepnięcia, w Estonii, podejmowane są przez przedstawicieli Ministerstwa Zdrowia i Narodowego Funduszu Zdrowia. Stowarzyszenie chorych na hemofilię nie ma wpływu na postępowanie przetargowe⁶⁷.

W interesie chorych na hemofilię działa przede wszystkim Estońskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię (Eesti Hemofiiliühing), które zostało założone w 1992 roku. Od 2009 roku bardzo aktywnie działa ono, choć na razie bezskutecznie, na rzecz dostępu chorych na hemofilię do preparatów zawierających czynniki uzyskiwane metodą rekombinacji genetycznej. Działania stowarzyszenia wspiera Estoński Związek Hematologów. (www.hemofilia.ee)

Trwają rozmowy z Ministrem Zdrowia w sprawie projektu utworzenia krajowego rejestru chorych na hemofilię oraz właściwego ośrodka leczenia hemofilii⁶⁷.

WYDATKI NA ZDROWIE

7% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

120 OSÓB
0,01% POPULACJI

OBCIĄŻENIE HIV

2 ZAKAŻONYCH

OBCIĄŻENIE HCV

13 ZAKAŻONYCH

POWIKŁANIE INHIBITOREM

BRAK DANYCH

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: BRAK DANYCH
 CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: BRAK DANYCH
 CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: BRAK DANYCH

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: BRAK DANYCH
 CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: BRAK DANYCH
 CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: BRAK DANYCH

Cypr

Na Cyprze w 2011 roku 7% krajowego produktu brutto przeznaczone zostało na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Oficjalne dane na temat chorych na hemofilię na Cyprze są bardzo ograniczone. Na podstawie „WFH Global Survey 2006”, na Cyprze w 2004 roku populacja chorych z rozpoznaną skazą krwotoczną liczyła 120 osób. Stanowili oni 0,01% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 103 osób rozpoznano hemofilię (u 52 osób – hemofilię A, a u 61 – hemofilię B), u 12 – chorobę von Willebranda, a u pozostałych 5 chorych – inną skazę krwotoczną. W 2004 roku na Cyprze 13

chorych na hemofilię było zakażonych HCV, a 2 osoby – HIV. Nie wiadomo czy jest prowadzona diagnostyka w kierunku obecności inhibitorów niedoborowych czynników, ani jakiego odsetka populacji chorych na hemofilię ten problem dotyczy^{20,40}.

Brak oficjalnych danych na temat zużycia czynników niedoborowych w leczeniu hemofilii na Cyprze.

Nieoficjalnie szacuje się, że obecnie na Cyprze żyją 134 osoby z rozpoznanymi skazami krwotocznymi, spośród nich 117 ma hemofilię. Leczeniem tych chorych zajmuje się jeden ośrodek leczenia hemofilii

w Nikozji. Chorzy mają dostęp, przede wszystkim, do leczenia koncentratami czynników osoczopochodnych. Bardzo rzadko stosowane są preparaty z czynnikiem rekombinowanym. Generalnie obowiązuje schemat leczenia „na żądanie”. Do profilaktyki mają dostęp chorzy z ciężką postacią choroby. Leczenie w warunkach domowych mają szansę prowadzić, przede wszystkim dzieci²⁰.

W interesie chorych na hemofilię na Cyprze, działa stowarzyszenie Pan-Cyprian Organisation for Rehabilitation of Haemophilics. Ministerstwo Zdrowia Cypru traktuje hemofilię, jako chorobę rzadką. W 2012 roku rząd cypryjski przyjął „Narodowy Plan Postępowania w przypadku Chorób Rzadkich”. Przy Ministerstwie Zdrowia powstał Komitet, który ma się zająć wdrożeniem omawianego planu w życie, co za tym idzie poziom opieki nad chorymi na hemofilię na Cyprze może ulec korzystnym zmianom^{20,57}.

WYDATKI NA ZDROWIE

8% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

BRAK DANYCH

OBCIĄŻENIE HIV

BRAK DANYCH

OBCIĄŻENIE HCV

BRAK DANYCH

POWIKŁANIE INHIBITOREM

BRAK DANYCH

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: 7,415 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: BRAK DANYCH

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: BRAK DANYCH

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: 0,348 j.m.

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: BRAK DANYCH

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: BRAK DANYCH

Luksemburg

W Luksemburgu w 2011 roku 8% krajowego produktu brutto przeznaczone zostało na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Brak oficjalnych danych epidemiologicznych dotyczących występowania hemofilii w Luksemburgu.

Brak aktualnych oficjalnych danych na temat zużycia koncentratów czynników niedoborowych przez chorych na hemofilie w Luksemburgu. Ostatnie opublikowane pochodzą z 2002 roku. Średnie zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca Luksemburga na rok, w 2002 roku wynosiło 7,415 j.m. Średnie zużycie czynnika IX na 1 mieszkańca Luksemburga na rok, w 2002 roku wynosiło 0,348 j.m.^{33,41}.

W Luksemburgu hemofilia traktowana jest przede wszystkim jako rzadka choroba. Nie ma żadnego oddzielnego ośrodka leczenia hemofilii. W przypadku konieczności udzielenia pomocy chorym na hemofilie, Stowarzyszenie Chorych na Hemofilie w Luksemburgu (Association Luxembourgeoise des Hémophiles), radzi udać się do ośrodka leczenia hemofilii w Bonn. Leczeniem chorych na hemofilie zajmuje się też oddział hematologii Centre Hospitalier de Luxembourg. (www.alh.lu)

Nie ma krajowego rejestru chorych na hemofilie. Nie ma programu leczenia chorych na hemofilie⁶⁸.

WYDATKI NA ZDROWIE

9% PKB

LICZBA CHORYCH NA SKAZĘ KRWOTOCZNĄ

15 OSÓB
0,003% POPULACJI

OBCIĄŻENIE HIV

BRAK DANYCH

OBCIĄŻENIE HCV

BRAK DANYCH

POWIKŁANIE INHIBITOREM

BRAK DANYCH

ŚREDNIE ZUŻYCIE NA 1 MIESZKAŃCA

ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII: BRAK DANYCH

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: BRAK DANYCH

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: BRAK DANYCH

ZUŻYCIE CZYNNIKA IX: BRAK DANYCH

CZYNNIKA UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI GENETYCZNEJ: BRAK DANYCH

CZYNNIKA UZYSKANEGO Z OSOCZA: BRAK DANYCH

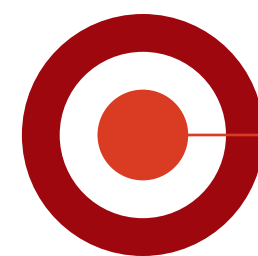
Malta

Na Malcie w 2011 roku 9% krajowego produktu brutto przeznaczone zostało na opiekę zdrowotną^{17,18,19}.

Dane epidemiologiczne dotyczące występowania skaz krwotocznych na Malcie są bardzo ograniczone. Ostatnie dane opublikowane pochodzą z roku 2003. Na podstawie „WFH Global Survey 2006”, na Malcie w 2003 roku populacja chorych z rozpoznaną hemofilią liczyła 15 osób. Brak danych na temat występowania innych skaz krwotocznych. Chorzy na hemofilie stanowili 0,003% wszystkich mieszkańców tego kraju. W omawianej populacji u 12 osób rozpoznano hemofilie A, a u 3 – hemofilie B. Brak danych na temat odsetka chorych na hemofilie zakażonych HIV lub HCV. Nie wiadomo też

czy jest prowadzona diagnostyka w kierunku obecności inhibitorów niedoborowych czynników, ani jakiego odsetka populacji chorych na hemofilie ten problem dotyczy⁴⁰.

Brak oficjalnych danych na temat zużycia koncentratów czynników niedoborowych na Malcie. Brak danych na temat programu leczenia hemofilii na Malcie. Malta nie ma stowarzyszenia chorych na hemofilie, nie ma krajowego rejestru chorych na hemofilie, a także nie ma oficjalnego ośrodka leczenia hemofilii na Malcie.



Rozdział 5

Podsumowanie



razem
zmieniamy
życie
z hemofilią

Podsumowanie

Hemofilia to nie tylko stan niedoboru określonego czynnika krzepnięcia, ale złożony problem zdrowotny¹. Do lat 60-tych ubiegłego stulecia chory na hemofilię miał szansę dożyć najwyżej 20 r.ż. Kolejne milowe kroki w terapii substytucyjnej niedoborowymi czynnikami oraz stały postęp w zakresie optymalizacji opieki nad chorymi na hemofilię, pozwoliły w wielu krajach na istotne wydłużenie przewidywanej długości życia. Dostępne dane wskazują, że odpowiednio leczony chory na hemofilię, nawet dotknięty jej ciężką postacią, ma szansę prowadzić normalny tryb życia z zachowaniem pełnej aktywności zawodowej, bez konieczności korzystania ze świadczeń przysługujących inwalidom^{2,3,4}.

Hemofilia należy do rzadkich chorób. Dotyczy ona, według danych z 2012 roku, niewiele ponad 172 000 chorych na świecie. Częstość jej występowania w populacji wynosi 1 : 10 000 przypadków. Brak dostępu do właściwego leczenia dla tej grupy chorych, to: przedwczesne zgony, inwalidztwo, absencja w szkołach lub miejscach pracy, częste hospitalizacje, czy wreszcie zwiększone ryzyko wirusowych zakażeń przenoszonych drogą preparatów

krwiopochodnych. Z kolei zakażenia przenoszone za pośrednictwem preparatów krwiopochodnych to kolejne choroby do leczenia (np.: zapalenie wątroby typu C czy typu B, AIDS), hospitalizacje z nimi związane, a w niektórych krajach koszty rekompensat wypłacanych przez rząd poszkodowanym. Dlatego problem hemofilii nie może być pominięty w polityce zdrowotnej żadnego kraju, w którym żyją ludzie z tą skazą krwotoczną^{3,5,7}.

Przedstawiony powyżej przegląd informacji na temat realizacji opieki nad chorymi na hemofilię w różnych krajach Europy, dowodzi, że nie jest to proste zadanie. Zarówno światowe wytyczne opracowane na podstawie doświadczeń zebranych przez działającą ponad 50 lat Światową Federację Chorych na Hemofilię, jak też, przyjęty przez Parlament Europejski, dokument „European Principles of Haemophilia Care”, to wskazanie dziesięciu, w dużej mierze pokrywających się, kluczowych elementów opieki nad chorymi na hemofilię^{10,11}. Jednak od sformułowania celu do jego realizacji pozostaje długa droga, ale nikt z realizujących tę politykę, nie ma wątpliwości w zasadność tych działań. Większość krajów UE, mimo

różnej kondycji ekonomicznej, podejmuje wyzwanie dostosowania się do europejskich zaleceń. Porównanie zużycia czynnika VIII na 1 mieszkańca na rok, w 2012 roku z danymi z roku 2009, pozwala zaobserwować, w większości krajów, sukcesywny wzrost zużycia o 1,4% (Niemcy) do 73% (Litwa)⁵.

Analizując poziom opieki nad chorymi na hemofilię w Europie nie można pominąć ogromnego wpływu w tym zakresie, stowarzyszeń zrzeszających samych zainteresowanych. Działalność tych organizacji przyczyniła się bardzo istotnie do zwiększenia bezpieczeństwa terapii czynnikami krzepnięcia. To stowarzyszenia chorych na hemofilię nie pozwoliły zapomnieć o doświadczeniach, głównie lat 80-tych i 90-tych, kiedy doszło do „epidemii” zakażeń HCV i HIV w wyniku stosowania zanieczyszczonych koncentratów niedoborowych czynników. Dzięki ich staraniom rządy w wielu krajach, zostały zobligowane do wypłacenia odszkodowań pokrzywdzonym chorym na hemofilię i ich rodzinom. Niektóre z nich utworzyły fundusze mające na celu wspieranie osób zakażonych w wyniku stosowania zakażonych preparatów pochodzenia osocznego. W wielu krajach, konieczność wypłacenia rekompensat, zmotywowała rząd do aktywnych działań w zakresie polityki zdrowotnej, dotyczącej chorych na hemofilię^{20,69}.

się pod nadzorem zarówno przedstawicieli stowarzyszenia chorych na hemofilię, jak i środowiska merytorycznego, tj. lekarzy prowadzących leczenie²⁷.

Irlandzki model opieki nad chorymi na hemofilię kładzie, w sposób szczególny, nacisk na cztery spośród dziesięciu europejskich zasad opieki nad tą grupą chorych:

- krajowy rejestr chorych na hemofilię,
- sieć ośrodków kompleksowej opieki nad chorymi na hemofilię oraz mniejsze ośrodki, w których odpowiednio przeszkoleni lekarze mogą zaopiekować się chorym na hemofilię,
- krajowe protokoły leczenia,
- zakup krajowy koncentratów niedoborowych czynników krzepnięcia.

Niewiele krajów deklarujących zużycie czynnika VIII na 1 mieszkańca na rok powyżej 5 j.m., nie ma rejestru. Dobrze prowadzony rejestr chorych na hemofilię jest punktem wyjścia do opracowania polityki zdrowotnej w tym zakresie. Rejestr dostarcza ważnych informacji na temat epidemiologii choroby, a co za tym idzie stanowi podstawę właściwego planowania sposobu

Dostępne dane wskazują, że odpowiednio leczony chory na hemofilię, nawet dotknięty jej ciężką postacią, ma szansę prowadzić normalny tryb życia z zachowaniem pełnej aktywności zawodowej.



Szczególnie dobrym przykładem efektów takich działań jest Irlandia, która jednocześnie wydaje się przykładem kraju spełniającego warunki optymalnej opieki nad chorymi na hemofilię. Praktycznie wszyscy chorzy otrzymują koncentraty czynników rekombinowanych. Mogą prowadzić leczenie w domu. W kraju istnieje sprawnie funkcjonujący system dostarczania czynników niedoborowych do domu chorego. Wszyscy chorzy z ciężką postacią, niezależnie od wieku, mają zagwarantowane leczenie profilaktyczne. Koncentraty czynników kupowane są w procesie zamówień publicznych, co odbywa

zaspokajania potrzeb w zakresie opieki nad chorymi. Pozwala także na kontrolowanie dystrybucji koncentratów niedoborowych czynników^{3,5}.

Utworzenie sieci ośrodków, w których realizowana jest kompleksowa, wielospecjalistyczna opieka nad chorymi to zasadnicza metoda postępowania z chorymi na hemofilię. Chorzy zgłaszają się do takiego ośrodka kilka razy do roku, a zespół specjalistów wspólnie monitoruje krytyczne elementy stanu zdrowia chorych na hemofilię. Zapewnienie kompleksowej opieki u chorych na hemofilię ma

udokumentowane znaczenie w profilaktyce powikłań choroby. Ośrodki powinny spełniać wyjściowo i utrzymywać na odpowiednim poziomie, kryteria gwarantujące wysoką jakość realizowanej w nich opieki. Chorzy muszą mieć też dostęp do pomocy w nagłych wypadkach. Istnieje możliwość przeszkolenia lekarzy pracujących w ośrodkach regionalnych, w zakresie udzielania „pierwszej pomocy” u chorych na hemofilię. Ważna jest bowiem, nie ilość ośrodków lecz ich organizacja gwarantująca objęcie zasięgiem możliwie wszystkich chorych w kraju, tak jak to jest w Szwecji czy we Włoszech^{3,5,12}.

Kolejny etap racjonalizacji opieki nad chorymi na hemofilię to wdrożenie krajowych protokołów leczenia, co pozwala zharmonizować i ujednolicić opiekę nad tymi chorymi w całym kraju. Protokoły leczenia powinny być przygotowane przez zespół ekspertów, doświadczonych w leczeniu chorych na hemofilię oraz zaakceptowane przez Ministra Zdrowia. Jednorodność sposobu postępowania w zakresie zlecenia niedoborowych czynników chroni przed nadużyciami.

Krajowy zakup koncentratów czynników niedoborowych, pod ścisłym nadzorem merytorycznym, jak widać na przykładzie Irlandii, wpłynął na zwiększenie dostępu do bezpiecznego leczenia. Poza Irlandią podobne doświadczenia ma Wielka Brytania, Dania, Szwecja, czy zbliżająca się do nich pod względem jakości opieki nad chorymi na hemofilię i dostępności czynników rekombinowanych, Słowenia.

Podstawą leczenia hemofilii jest długotrwała suplementacja niedoborowych czynników. Gwarantuje to profilaktykę krwawień, zmniejsza ryzyko uszkodzeń stawów (ale też innych narządów będących potencjalnym obszarem krwawień), ogranicza wskazania do zabiegów chirurgicznych i stopień niepełnosprawności. Profilaktyka krwawień w oparciu o zastosowanie koncentratów czynników krzepnięcia jest obecnie standardem w leczeniu chorych na hemofilię. Zwłaszcza w przypadku chorych z ciężką postacią choroby. Istnieją mocne dowody naukowe wskazujące, że wcześniej wdrożona profilaktyka może, nie tylko ograniczyć rozwój niepełnosprawności chorych na hemofilię, ale także zmniejszyć ryzyko wytworzenia inhibitora czynników niedoborowych, złagodzić przebieg

choroby (co skutkuje zmianą postaci ciężkiej w umiarkowaną), wydłużyć czas przeżycia chorych czy wreszcie zapewnić jakość życia porównywalną z jakością dla ogólnej populacji. Ale wszystko to wymaga określonych nakładów finansowych, zwłaszcza w przypadku stosowania koncentratów czynników uzyskiwanych metodą rekombinacji genetycznej, co z drugiej strony gwarantuje bezsporne bezpieczeństwo terapii^{15,21,70}.

Profilaktyka krwawień w oparciu o zastosowanie koncentratów czynników krzepnięcia jest obecnie standardem w leczeniu chorych na hemofilię.



W dobie tendencji do szukania farmakoekonomicznych dowodów potwierdzających słuszość wydatków na określone procedury medyczne, takich też poszukuje się w odniesieniu do leczenia chorych na hemofilię. Ale choroba ta jest bardzo niewdzięcznym tematem dla analiz farmakoekonomicznych. Bardzo trudno przeprowadzić właściwe badania oceniające skuteczność stosowanych metod leczenia. Przede wszystkim w związku z faktem, że hemofilia jest chorobą rzadką. Wśród ekonomistów zajmujących się kwestią zdrowia trwa nieustająca debata nad możliwością przeprowadzenia i słuszością analiz ekonomicznych w odniesieniu do chorób rzadkich. Ponadto ważnym problemem jest metodyka, która w przypadku profilaktyki zastosowanej w dzieciństwie, uwzględni nie tylko natychmiastowe korzyści w postaci zmniejszenia ilości krwawień, ale także znacznie większe realne korzyści w przyszłości, czyli brak konsekwencji powtarzających się krwawień w formie ograniczenia sprawności fizycznej, a co za tym idzie poprawy jakości życia chorych na hemofilię. Choć nadal istnieje wiele wątpliwości, to pytanie na dziś dla większości krajów, brzmi nie „czy” tylko „jak” umożliwić chorym na hemofilię dostęp do profilaktyki w oparciu o bezpieczne koncentraty, zawierające rekombinowane czynniki niedoborowe^{70,71}.

Przedstawiony powyżej przegląd dowodzi, że niewiele krajów pozostaje obojętnych na potrzeby chorych na hemofilię. Przykładem dobrze odzwierciedlającym ogromne starania w tym zakresie jest Rumunia, gdzie Minister Zdrowia bardzo aktywnie zaangażował się w działania mające na celu zagwarantowanie chorym na hemofilię warunków leczenia zgodnych z obowiązującymi standardami europejskimi.

Porównanie zużycia czynnika VIII w 2009 i 2012 roku w poszczególnych krajach Europy wskazuje, że nie tylko Rumunia postawiła sobie za cel optymalizację opieki nad chorymi na hemofilię. Istotne zwiększenie zużycia czynnika VIII, w omawianym okresie, zaobserwowano w 15 krajach, w tym: na Litwie, w Republice Czeskiej, Bułgarii oraz Słowacji. W Irlandii i Wielkiej Brytanii, stwierdzono zwiększenie zużycia czynnika VIII, mimo ich trudności ekonomicznych. W większości krajów jest to efekt zaangażowania Ministerstwa Zdrowia w działania na rzecz chorych na hemofilię.

Skrócona charakterystyka opieki nad chorymi na hemofilię w krajach europejskich^{5,7,8,13,33,37,40,41,47,58}

LP.	KRAJ	KRAJOWY REJESTR CHORYCH NA HEMOFILIĘ	ILOŚĆ OŚRODKÓW LECZENIA HEMOFILII	DOSTĘP DO LECZENIA DOMOWEGO
KRAJE UNII EUROPEJSKIEJ				
1.	Austria	Tak	11	76-100%
2.	Belgia	Brak	11	76-100%
3.	Bułgaria	Brak	10	10-50%
4.	Chorwacja	Brak	2	10-50%
5.	Cypr	Brak	1	Brak danych
6.	Czechy	Tak	10	76-100%
7.	Dania	Brak	2	51-75%
8.	Estonia	Brak	Brak	Brak danych
9.	Finlandia	Brak	5	76-100%
10.	Francja	Tak	43	76-100%
11.	Grecja	Tak	5	76-100%
12.	Hiszpania	Tak	54	76-100%
13.	Holandia	Brak	13	76-100%
14.	Irlandia	Tak	5	76-100%
15.	Litwa	Brak	3	76-100%
16.	Luksemburg	Brak	Brak	Brak danych
17.	Łotwa	Brak	2	76-100%
18.	Malta	Brak	Brak	Brak danych
19.	Niemcy	Tak	72	76-100%
20.	Polska	Brak	17	76-100%
21.	Portugalia	Brak	8	51-75%
22.	Rumunia	Tak	10	poniżej 10%
23.	Słowacja	Tak	42	76-100%
24.	Słowenia	Tak	1	10-50%
25.	Szwecja	Brak	3	76-100%
26.	Węgry	Brak	19	51-75%
27.	Wielka Brytania	Tak	27	76-100%
28.	Włochy	Tak	52	76-100%

LP.	KRAJ	KRAJOWY REJESTR CHORYCH NA HEMOFILIĘ	ILOŚĆ OŚRODKÓW LECZENIA HEMOFILII	DOSTĘP DO LECZENIA DOMOWEGO
KRAJE POZA UNIĄ EUROPEJSKĄ				
1.	Albania	Brak	1	poniżej 10%
2.	Białoruś	Brak	7	10-50%
3.	Bośnia i Hercegowina	Brak	0	poniżej 10%
4.	Macedonia	Brak	1	76-100%
5.	Norwegia	Brak	1	Dla wszystkich
6.	Rosja	Brak	10	51-75%
7.	Serbia	Brak	7	10-50%
8.	Szwajcaria	Tak	14	76-100%
9.	Turcja	Brak	34	51-75%
10.	Ukraina	Brak	0	poniżej 10%

LP.	KRAJ	DZIECI AKTUALNIE NA LECZENIU PROFILAKTYCZNYM (<18 R.Ż.)	DOROŚLI AKTUALNIE NA LECZENIU PROFILAKTYCZNYM (≥18 R.Ż.)	DOSTĘP DO LECZENIA INDUKUJĄCEGO IMMUNOTOLERANCJĘ (ITT, IMMUNE-TOLERANCE THERAPY)
KRAJE UNII EUROPEJSKIEJ				
1.	Austria	51-75%	1-25%	76-100%
2.	Belgia	76-100%	51-75%	76-100%
3.	Bułgaria	51-75%	1-25%	0
4.	Chorwacja	1-25%	1-25%	1-25%
5.	Cypr	Brak danych	Brak danych	Brak danych
6.	Czechy	76-100 %	1-25%	Brak danych
7.	Dania	76-100%	26-50%	76-100%
8.	Estonia	Brak danych	Brak danych	Brak danych
9.	Finlandia	76-100%	51-75%	76-100%
10.	Francja	76-100%	26-50%	26-50%
11.	Grecja	76-100%	26-50%	76-100%
12.	Hiszpania	76-100%	1-25%	76-100%
13.	Holandia	76-100%	51-75%	76-100%
14.	Irlandia	76-100%	26-50%	76-100%
15.	Litwa	76-100%	0	1-25%
16.	Luksemburg	Brak danych	Brak danych	Brak danych
17.	Łotwa	1-25%	0	76-100%
18.	Malta	Brak danych	Brak danych	Brak danych
19.	Niemcy	76-100%	51-75%	76-100%
20.	Polska	76-100%	26-50%	76-100%
21.	Portugalia	51-75%	1-25%	26-50%
22.	Rumunia	0	0	0
23.	Słowacja	76-100%	26-50%	76-100%
24.	Słowenia	26-50%	26-50%	76-100%
25.	Szwecja	76-100%	76-100%	76-100%
26.	Węgry	76-100%	26-50%	76-100%
27.	Wielka Brytania	76-100%	Brak danych	76-100%
28.	Włochy	51-75%	26-50%	76-100%

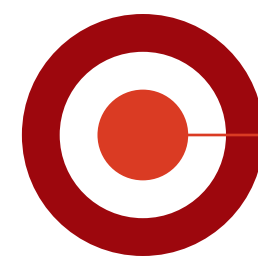
LP.	KRAJ	DZIECI AKTUALNIE NA LECZENIU PROFILAKTYCZNYM (<18 R.Ż.)	DOROŚLI AKTUALNIE NA LECZENIU PROFILAKTYCZNYM (≥18 R.Ż.)	DOSTĘP DO LECZENIA INDUKUJĄCEGO IMMUNOTOLERANCJĘ (ITT, IMMUNE-TOLERANCE THERAPY)
KRAJE POZA UNIĄ EUROPEJSKĄ				
1.	Albania	0	0	0
2.	Białoruś	1-25%	1-25%	1-25%
3.	Bośnia i Hercegowina	1-25%	0	0
4.	Macedonia	76-100%	1-25%	0
5.	Norwegia	75-100%	51-75%	Dla wszystkich
6.	Rosja	51-75%	26-50%	26-50%
7.	Serbia	1-25%	1-25%	0
8.	Szwajcaria	76-100%	1-25%	76-100%
9.	Turcja	51-75%	1-25%	1-25%
10.	Ukraina	1-25%	0	1-25%

LP.	KRAJ	CAŁKOWITE ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII	ŚREDNIE ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII NA 1 MIESZKAŃCA NA ROK	ODSETEK CZYNNIKA VIII UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI	ODSETEK CZYNNIKA VIII OTRZYMANEGO Z OSOCZA
KRAJE UNII EUROPEJSKIEJ					
1.	Austria	Brak danych	3,75 j.m. (2005 r.)	Brak danych	Brak danych
2.	Belgia	70 000 000 j.m.	6,70 j.m.	93%	7%
3.	Bułgaria	16 000 000 j.m.	2,14 j.m.	12%	88%
4.	Chorwacja	Brak danych	3,80 j.m.	Brak danych	Brak danych
5.	Cypr	Brak danych	Brak danych	Brak danych	Brak danych
6.	Czechy	51 276 608 j.m.	5,03 j.m.	36%	64%
7.	Dania	Brak danych	6,17 j.m.	100%	0%
8.	Estonia	Brak danych	1,18 j.m. (2002 r.)	0%	100%
9.	Finlandia	53 914 050 j.m.	10,24 j.m.	87%	13%
10.	Francja	463 346 750 j.m.	7,06 j.m.	86%	14%
11.	Grecja	34 917 907 j.m.	3,24 j.m.	94%	6%
12.	Hiszpania	214 773 669 j.m.	4,67 j.m.	62%	38%
13.	Holandia	Brak danych	5,45 j.m. (2005 r.)	60%	40%
14.	Irlandia	36 805 250 j.m.	7,79 j.m.	95%	5%
15.	Litwa	15 580 000 j.m.	4,41 j.m.	53%	47%
16.	Luksemburg	Brak danych	7,41 j.m. (2002 r.)	Brak danych	Brak danych
17.	Łotwa	3 955 000 j.m.	1,8 j.m.	12%	88%
18.	Malta	Brak danych	Brak danych	Brak danych	Brak danych
19.	Niemcy	565 800 000 j.m.	6,95 j.m.	56%	44%
20.	Polska	183 162 900 j.m.	4,76 j.m.	29%	71%
21.	Portugalia	37 012 250 j.m.	3,43 j.m.	63%	37%
22.	Rumunia	11 099 345 j.m.	0,52 j.m.	27%	73%
23.	Słowacja	36 000 000 j.m.	6,56 j.m.	4%	96%
24.	Słowenia	13 019 650 j.m.	6,52 j.m.	78%	22%
25.	Szwecja	95 970 000 j.m.	10,54 j.m.	84%	16%
26.	Węgry	63 400 000 j.m.	6,35 j.m.	40%	60%
27.	Wielka Brytania	478 121 230 j.m.	7,58 j.m.	89%	11%
28.	Włochy	417 389 250 j.m.	6,81 j.m.	78%	22%

LP.	KRAJ	CAŁKOWITE ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII	ŚREDNIE ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII NA 1 MIESZKAŃCA NA ROK	ODSETEK CZYNNIKA VIII UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI	ODSETEK CZYNNIKA VIII OTRZYMANEGO Z OSOCZA
KRAJE POZA UNIĄ EUROPEJSKĄ					
1.	Albania	1 200 000 j.m.	0,37 j.m.	17%	83%
2.	Białoruś	19 000 000 j.m. (2010 r.)	1,87 j.m.	Brak danych	Brak danych
3.	Bośnia i Hercegowina	2 800 000 j.m. (2006 r.)	0,71 j.m. (2006 r.)	0%	100%
4.	Macedonia	3 564 600 j.m. (2010 r.)	1,72 j.m. (2010 r.)	0%	100%
5.	Norwegia	26 580 000 j.m.	5,64 j.m.	90%	10%
6.	Rosja	655 712 308 j.m.	4,60 j.m.	13%	87%
7.	Serbia	9 812 500 j.m.	1,34 j.m.	2%	98%
8.	Szwajcaria	36 942 750 j.m.	4,66 j.m.	81%	19%
9.	Turcja	141 218 500 j.m.	1,92 j.m.	19%	81%
10.	Ukraina	15 000 000 j.m. (2006 r.)	0,32 j.m.	Brak danych	Brak danych

LP.	KRAJ	ŚREDNIE ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII NA 1 MIESZKAŃCA NA ROK	ODSETEK CZYNNIKA IX UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI	ODSETEK CZYNNIKA IX OTRZYMANEGO Z OSOCZA
KRAJE UNII EUROPEJSKIEJ				
1.	Austria	0,22 j.m. (2005 r.)	Brak danych	Brak danych
2.	Belgia	0,33 j.m. (2005 r.)	Brak danych	Brak danych
3.	Bułgaria	0,13 j.m.	0%	100%
4.	Chorwacja	0,25 j.m. (2006 r.)	Brak danych	Brak danych
5.	Cypr	Brak danych	Brak danych	Brak danych
6.	Czechy	0,52 j.m.	14%	86%
7.	Dania	1,01 j.m. (2005 r.)	Brak danych	Brak danych
8.	Estonia	0,079 j.m. (2002 r.)	0%	100%
9.	Finlandia	1,31 j.m.	87%	13%
10.	Francja	0,88 j.m.	51%	49%
11.	Grecja	0,35 j.m.	91%	9%
12.	Hiszpania	0,61 j.m. (2009 r.)	50%	50%
13.	Holandia	0,61 j.m. (2005 r.)	Brak danych	Brak danych
14.	Irlandia	2,51 j.m.	100%	0%
15.	Litwa	0,61 j.m.	0%	100%
16.	Luksemburg	0,34 j.m. (2002 r.)	Brak danych	Brak danych
17.	Łotwa	0,16 j.m.	0%	100%
18.	Malta	Brak danych	Brak danych	Brak danych
19.	Niemcy	1,00 j.m.	39%	61%
20.	Polska	0,54 j.m.	1%	99%
21.	Portugalia	0,51 j.m.	23%	77%
22.	Rumunia	0,23 j.m. (2006 r.)	Brak danych	Brak danych
23.	Słowacja	0,4 j.m.	0%	100%
24.	Słowenia	0,35 j.m.	0%	100%
25.	Szwecja	1,79 j.m.	56%	44%
26.	Węgry	0,49 j.m.	0%	100%
27.	Wielka Brytania	1,30 j.m.	89%	11%
28.	Włochy	0,85 j.m.	77%	23%

LP.	KRAJ	ŚREDNIE ZUŻYCIE CZYNNIKA VIII NA 1 MIESZKAŃCA NA ROK	ODSETEK CZYNNIKA IX UZYSKANEGO METODĄ REKOMBINACJI	ODSETEK CZYNNIKA IX OTRZYMANEGO Z OSOCZA
KRAJE POZA UNIĄ EUROPEJSKĄ				
1.	Albania	0,10 j.m. (2010 r.)	Brak danych	Brak danych
2.	Białoruś	0,05 j.m. (2006 r.)	Brak danych	Brak danych
3.	Bośnia i Hercegowina	0,038 j.m. (2006 r.)	0%	100%
4.	Macedonia	0,46 j.m. (2010 r.)	0%	100%
5.	Norwegia	0,46 j.m.	9%	91%
6.	Rosja	0,44 j.m.	0%	100%
7.	Serbia	0,18 j.m.	0%	100%
8.	Szwajcaria	0,66 j.m.	16%	84%
9.	Turcja	0,29 j.m.	0%	100%
10.	Ukraina	0,002 j.m. (2003 r.)	Brak danych	Brak danych



Rozdział 6

Piśmiennictwo



razem
zmieniamy
życie
z hemofilią

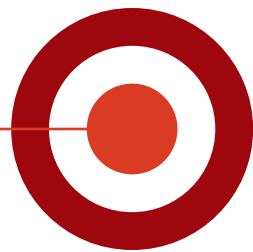
1. World Federation of Hemophilia. <http://www.wfh.org>
2. Soucie JM i wsp. Mortality among males with hemophilia: relations with source of medical care. *Blood* 2000; 96: 437-442.
3. Fischer K, Hermans C; European Haemophilia Therapy Standardisation Board. The European Principles of Haemophilia Care: a pilot investigation of adherence to the principles in Europe. *Haemophilia* 2013, 19:35-43.
4. Farrugia A. i wsp. Treatment for life for severe haemophilia A – A cost –utility model for prophylaxis vs. on-demand treatment. *Haemophilia* 2013; 19: e228-e238.
5. B. O'Mahony i wsp. Haemophilia care in Europe – a survey of 35 countries. *Haemophilia* 2013, 19: e239-e247.
6. Wytyczne leczenia hemofilii opracowane przez World Federation of Hemophilia. Warszawa 2014. <http://idn.org.pl/hemofilia/n43.htm>
7. B. O'Mahony i wsp. Haemophilia care in Europe: a survey of 19 countries. *Haemophilia* 2010; 16: 1-6.
8. World Federation of Hemophilia. Report on the ANNUAL GLOBALSURVEY 2012. Dec. 2013. <http://www1.wfh.org/publications/files/pdf-1574.pdf>
9. Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018. Minister Zdrowia. Warszawa 2013. http://www.nck.gov.pl/uploads/Programy_zdrowotne/program%20hemofilia%202013.pdf
10. Colvin B.T. i wsp. European principles of haemophilia care. *Haemophilia* 2008, 14:364-374.
11. Haffar A.E. Establishing a National Hemophilia Care Program. *Journal of Applied Hematology* 2011, 294-296.
12. Struktura i funkcje ośrodka kompleksowej opieki nad chorymi na hemofilię. <http://idn.org.pl/hemofilia/HTC.pdf>
13. World Federation of Hemophilia Report on the ANNUAL GLOBAL SURVEY 2011. Dec. 2012. <http://www1.wfh.org/publications/files/pdf-1488.pdf>
14. Farrugia A. i wsp. Health technology assessment and haemophilia. *Haemophilia* 2012; 18: 152-157.
15. Berntorp E. i wsp. Models of prophylaxis. *Haemophilia* 2012, 18 (Suppl. 4): 36-40.
16. Zarządzenie Nr 23/2010/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 29 kwietnia 2010 r. zmieniające zarządzenie w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie terapeutyczne programy zdrowotne. Załącznik nr 9. Nazwa programu: Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B. Biuletyn informacji publicznej NFZ. <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=3&dzialnr=12&artnr=4075>
17. World Health Organization. Countries. Data and statistics. <http://www.who.int/countries/en/>
18. Health expenditure and financing. Organisation for Economic Co-operation and Development. OECD.StatExtracts. http://stats.oecd.org/Index.aspx?DataSetCode=SOCX_AGG
19. Health care expenditure. Eurostat. http://epp.eurostat.ec.europa.eu/portal/page/portal/health/health_care/data/database
20. EHC country fact sheets. www.ehc.eu
21. Berntorp E., Astermark J., Baghaei F. i wsp. "Treatment of haemophilia A and B and von Willebrand's disease: summary and conclusion of systemic review as part of a Swedish health-technology assessment". *Haemophilia* 2012, 18:158-165.

22. Lovdahl S i wsp. Incidence, mortality rates and causes of deaths in haemophilia patients in Sweden. *Haemophilia* 2013; 19: 362-369.
23. Lindvall K. i wsp. Quality of life in adult patients with haemophilia – a single centre experience from Sweden. *Haemophilia* 2012, 18: 527-531.
24. Rasi V i Ikkala E. Haemophiliacs with factor VIII inhibitors in Finland: prevalence, incidence and outcome. *BJH* 1990; 76: 369-371.
25. Solvieva S. Clinical severity of disease, functional disability and health-related quality of life. Three-year follow-up study of 150 Finnish patients with coagulation disorders. *Haemophilia* 2001; 7:53-63.
26. Verenvuototaudit Tietopaketti Potilaille. 2006. <http://www.shyry.org/verenvuototaudit/index.html>
27. O'Mahony B. Haemophilia in Western and Central Europe – A Comparison. http://www.ehc.eu/fileadmin/Advocacy/Polish_meeting_2009-03-27/Brian_OMahony_Survey_20Data_20Warsaw_20final_01.pdf
28. NHS Choices. Haemophilia. <http://www.nhs.uk/conditions/Haemophilia/Pages/Introduction.aspx>
29. Zimmermann R. i wsp. Haemophilia treatment centres in Germany. *Hamostaseologie*. 2012; 32 Suppl 1:S12-9.
30. Deutsches Hämothilieregister (DHR). <http://www.pei.de/DE/infos>
31. Calizzani G i wsp. The Italian institutional accreditation model for Haemophilia Centres. *Blood Transfusion* 2014; 12 (suppl. 3) s510-s514.
32. Arcieri R. i wsp. Present and future challenges in the treatment of haemophilia: the patient's perspective. *Blood Transfus* 2013, 11 Suppl. 4: s82-s85.
33. Stonebraker J. S. i wsp. A study of reported factor IX use around the world. *Haemophilia* 2011, 17: 446-455.
34. Hermans C. Haemophilia Centres certification system across Europe: The Belgian experience. *Blood Transfus*. 2014; 12 Suppl.3: S497-S500.
35. Henrard S i wsp. The health and economic burden of haemophilia in Belgium: a rare, expensive and challenging disease. *Orphanet J rare Dis* 2014; 9:39.
36. Národné štandardné postupy pre liečbu hemofilie a iných vrodených koagulopatií v Slovenskej Republike. <http://www.lekarsky.herba.sk/lekarsky-obzor-7-8-2008/narodne-standardne-postupy-pre-liecbu-hemofilie-a-inych-vrodenych-koagulopatii-v-slovenskej-republike>
37. World Federation of Hemophilia Report on the Annual Global Survey 2010. Dec. 2011. <http://www1.wfh.org/publications/files/pdf-1427.pdf>
38. Az Egészségügyi Minisztérium szakmai irányelve A haemophilia kezeléséről Készítette: A Transzfúziológiai és Haematológiai Szakmai Kollégium. A haemophilia előfordulása, öröklődése, diagnosztikája, szövődményei, kezelési alapelvek. http://mhe.hu/files/articles/30_084912.pdf
39. Current affairs in the Netherlands. http://www.ehc.eu/fileadmin/newsletter/2013/EHC_Newsletter_April_2013.pdf
40. World Federation of Hemophilia Report on the Annual Global Survey 2006. Dec. 2007. <http://www1.wfh.org/publications/files/pdf-1431.pdf>
41. Stonebraker J.S. i wsp. A study of reported factor VIII use around the world. *Haemophilia* 2010, 16: 33-46.
42. Wet van 24 oktober 1997, houdende regels betreffende bijzondere verrichtingen op het gebied van de gezondheidszorg (Wet op bijzondere medische verrichtingen). http://wetten.overheid.nl/BWBR0008974/geldigheidsdatum_26-09-2014

43. Nederlandse Zorgautoriteit. Beleidsregel CI-1105/CA-363. Verpleging in de thuissituatie, noodzakelijk in verband met medisch specialistische zorg. Gelet op het bepaalde in artikel 57 Wet.
http://www.nza.nl/binaries/13755/14769/CI-1105_-_CA-363.pdf
44. Český národní hemofilický program. Diagnostika a léčba hemofilie.
<http://cnhp.registry.cz/res/file/guidelines/diagnostika-lecba-hemofilie-2012.pdf>
45. Český národní hemofilický program. Standardy péče o nemocné s hemofilií.
<http://cnhp.registry.cz/res/file/guidelines/2012-standardy-pece-o-nemocne-s-hemofilii.pdf>
46. Österreichische Hämophilie Dokumentation. <https://www.studienregister.at/home>
47. World Federation of Hemophilia Report on the Annual Global Survey 2009. March 2011.
<http://www1.wfh.org/publications/files/pdf-1428.pdf>
48. Aznar J.A. "Haemophilia in Spain". Haemophilia 2009, 15: 665-675.
49. Hemofilia Guía Terapéutica. Ministerio de Sanidad, Servicios Sociales e Igualdad. http://www.msssi.gob.es/profesionales/saludPublica/medicinaTransfusional/publicaciones/docs/Hemofilia_GuiaTerapeutica.pdf
50. Hemofilia Aspectos Organizativos. Ministerio Direccion General de Sanidad e Igualdad. http://www.msssi.gob.es/profesionales/saludPublica/medicinaTransfusional/publicaciones/docs/Hemofilia_AspectosOrganizativos.pdf
51. Recomendaciones Para el Buen Uso y Control del Utotratamiento en Hemofilia. http://www.hemofilia.com/archivos/736_recomendaciones-para-el-buen-uso-y-control-del-autotratamiento-en-hemofilia.pdf
52. Health Systems in Transition. Lithuania: Health System Review 2013.
http://www.euro.who.int/__data/assets/pdf_file/0016/192130/HiT-Lithuania.pdf
53. Memorandumas. Dėl kompleksinio hemofilijos gydymo ir reabilitacijos gerinimo Lietuvoje. 2013 m. balandžio 17 d. Birštonas. http://sam.lt/popup2.php?ru=bS9tX2FydGljbGUvZmlsZXMvdI9hcnRpY2xlX3ByaW50LnBocA==&tmpl_name=m_article_print_view&article_id=3710
54. Despacho n.º 11 387-A/2003, de 23 de Maio (DR, 2.ª série, n.º 133, 1.º Suplemento, de 9 de Junho de 2003) Acesso aos medicamentos por parte dos doentes com lúpus, hemofilia ou hemoglobinopatias participados pelo Estado. http://www.infarmed.pt/portal/page/portal/INFARMED/LEGISLACAO/LEGISLACAO_FARMACEUTICA_COMPILADA/TITULO_IV/despacho_11387-A_2003.pdf
55. Portaria n.º 469-A/2003 de 9 de Junho. Ministério da Saúde. 133 Série I-B 1º Suplemento. Determina o acesso por parte dos doentes com lúpus, hemofilia ou hemoglobinopatias aos medicamentos participados pelo Estado.
<http://www.dre.pt/pdf1s/2003/06/133B01/00020002.pdf>
56. Pittadaki J. The Greek Haemophilia Society. Balkan Haemophilia Workshop 3-4 September 2011. Sofia, Bulgaria. http://www.ehc.eu/fileadmin/Advocacy/Balkan_workshop_2011/Balkan_workshop_Greece.pdf?PHPSESSID=0238369e0c807fe028cc4e9d8b6b9b7e
57. Εθνικό Σχέδιο Δράσης για τις Σπάνιες Παθήσεις 2008 – 2012. Εθνικό Σχέδιο Δράσης για τη Δημόσια Υγεία.
<http://www.moh.gov.gr/articles/health/domes-kai-drseis-gia-thn-ygeia/ethnika-sxedia-drashs/95-ethnika-sxedia-drashs>
58. World Federation of Hemophilia Report on the Annual Global Survey 2007. Dec. 2008.
<http://www1.wfh.org/publications/files/pdf-1430.pdf>
59. Nacionalni Program Za Rijetke Bolesti 2014. -2019. Ministarstvo zdravlja Republike Hrvatske. Zagreb, 10. siječanj 2014. http://www.zdravlje.hr/programi_i_projekti/nacionalni_programi
60. T. Lissitchkov. Haemophilia In Bulgaria. Ehc – Sofia, 03-04.09.2011.
http://www.ehc.eu/fileadmin/Advocacy/Balkan_workshop_2011/HEMOPHILIA_IN_BULGARIA-4-09-2011.EHC.pdf

61. Nation-wide multidisciplinary care in the making. NNHF Activity Report 2010/2011.
http://www.nnhf.org/our_programmes/pdfs/Bulgaria%202010-2011.pdf
62. Update from Bulgaria. http://www.ehc.eu/fileadmin/newsletter/2013/EHC_Newsletter_December_2013.pdf
63. Акръгла маса „Една година лекарствено снабдяване от НЗОК – позитиви и проблеми”. Европейски практики при осигуряване на пациентите с хемофилия с фактори на кръвосъсирване Йордан Недевски Българска Асоциация по Хемофилия София 11.05.2012.
http://hemo-bg.org/static/images/content_library/files/BHA_RT_2012.pdf
64. Serban M. Comprehensive care of haemophilia in Romania. <http://www.ehcconference.org/ehc-2014/programme-2014/item/26-comprehensive-care-of-haemophilia-in-romania.html>
65. Program național de tratament al hemofiliei și talasemiei.
<http://www.cnas.ro/page/program-national-de-tratament-al-hemofiliei-si-talasemiei.html>
66. Programul național de tratament pentru boli rare.
<http://www.cnas.ro/page/programul-national-de-tratament-pentru-boli-rare.html>
67. Situation in Estonia. http://www.ehc.eu/fileadmin/newsletter/2013/EHC_Newsletter_December_2013.pdf
68. Les maladies rares. Enquête sur la situation des personnes atteintes de maladies rares au Grand-Duché de Luxembourg. <http://www.sante.public.lu/publications/maladies-traitements/maladies-rares/maladies-rares-enquete-personnes-atteintes-gdl/maladies-rares-enquete-personnes-atteintes-gdl.pdf>
69. O'Mahony B. Hemophilia Societies: Challenges and Development. Hemophilia Organization Development Dec. 2011. No 1. www.wfh.org
70. World Federation of Hemophilia Steps for Developing National Hemophilia Care Programs.
http://www1.wfh.org/docs/en/Programs/Development_Steps_EN.pdf
71. O'Mahony B. Health Technology Assessments in Haemophilia: An Update.
http://www.ehc.eu/fileadmin/newsletter/2011/EHC-newsletter_edition_December_2011.pdf

Podziękowania



Specjalne podziękowania dla ekspertów, którzy udzielili wsparcia w zebraniu dokumentów naukowych oraz uczestniczyli w procesie konsultacji, bez których powstanie niniejszej publikacji nie byłoby możliwe:

- Prof. dr hab. n. med. Krzysztof Chojnowski
- Prof. dr hab. n. med. Magdalena Łętowska
- Dr hab. n. med. Anna Klukowska
- Dr n. med. Andrzej Mital
- Prof. dr hab. n. med. Jacek Musiał
- Prof. dr hab. n. med. Jarosław Peregud-Pogorzelski
- Prof. dr hab. n. med. Maria Podolak-Dawidziak
- Dr hab. n. med. Jacek Trelński
- Prof. dr hab. n. med. Jerzy Windyga
- Prof. dr hab. n. med. Krystyna Zawilska
- Dr n. med. Joanna Zdziarska



razem
zmieniamy
życie
z hemofilią



Novo Nordisk Pharma Sp. z o.o.
ul. 17 Stycznia 45B, 02-146 Warszawa
tel.: +48 22 444 49 00, faks: +48 22 444 49 01
informacja@novonordisk.com
www.novonordisk.pl



**razem
zmieniamy
życie
z hemofilią**