Załącznik Nr 59 do zarządzenia Nr 69/2023/DGL  
Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia  
z dnia 21 kwietnia 2023 r.

**Regulamin prac Zespołu Koordynacyjnego  
do spraw Chorób Ultrarzadkich  
Regulamin Sekcji ds. Zespołów Autozapalnych i Obrzęku Naczynioruchowego  
działającej w ramach Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrarzadkich**

1. Zespół Koordynacyjny do spraw Chorób Ultrarzadkich, zwany dalej "Zespołem Koordynacyjnym", kwalifikuje do leczenia w ramach programów lekowych:

1) Leczenie choroby Gauchera typu I oraz typu III;

2) Leczenie choroby Hurler;

3) Leczenie choroby Pompego;

4) Leczenie mukopolisacharydozy typu II (zespół Huntera);

5) Leczenie ciężkich wrodzonych hiperhomocysteinemii;

6) Leczenie tyrozynemii typu 1 (HT-1);

7) Leczenie pacjentów z wrodzonymi zespołami autozapalnymi;

8) Leczenie choroby Fabry`ego;

9) Leczenie uzupełniające L-karnityną w wybranych chorobach metabolicznych;

10) Leczenie chorych na cystynozę nefropatyczną;

11) Leczenie zapobiegawcze chorych z nawracającymi napadami dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego o ciężkim przebiegu;

12) Leczenie amifamprydyną pacjentów z zespołem miastenicznym Lamberta-Eatona;

13) Leczenie wspomagające zaburzeń cyklu mocznikowego;

14) Leczenie kwasem kargluminowym chorych z acyduriami organicznymi: propionową, metylomalonową i izowalerianową.

2. W ramach Zespołu Koordynacyjnego, Prezes Funduszu, powołuje Sekcję ds. Zespołów Autozapalnych i Obrzęku Naczynioruchowego działającą na podstawie odrębnego regulaminu, określonego przez Prezesa Funduszu.

3. Zespół Koordynacyjny działa przy ośrodku będącym realizatorem świadczenia "kwalifikacja do leczenia w programie lekowym oraz weryfikacja jego skuteczności" (Jednostka Koordynująca).

4. W skład Zespołu Koordynacyjnego wchodzą lekarze specjaliści w dziedzinach pediatrii lub pediatrii metabolicznej, lub neurologii, lub neurologii dziecięcej, lub chorób wewnętrznych, lub immunologii klinicznej, lub alergologii, lub endokrynologii, lub endokrynologii i diabetologii dziecięcej, lub kardiologii, lub kardiologii dziecięcej, lub nefrologii lub nefrologii dziecięcej oraz lekarze z innymi specjalizacjami niezbędnymi do weryfikacji procesów diagnozowania chorób ultrarzadkich oraz ich terapii, a także bez prawa głosu – osoba z wykształceniem prawniczym, jako przedstawiciel Jednostki Koordynującej.

5. W skład prezydium Zespołu Koordynacyjnego wchodzi Przewodniczący Zespołu Koordynacyjnego, Zastępca Przewodniczącego Zespołu Koordynacyjnego oraz Sekretarz Zespołu Koordynacyjnego.

6. Przewodniczącego Zespołu Koordynacyjnego wskazuje Prezes Narodowego Funduszu Zdrowia. Zastępcę Przewodniczącego oraz Sekretarza Zespołu Koordynacyjnego wybiera spośród swoich członków Zespół Koordynacyjny zwykłą większością głosów.

7. Do zadań Przewodniczącego Zespołu Koordynacyjnego należy, w szczególności:

1) organizacja oraz prowadzenie posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego;

2) przydzielanie członkom Zespołu Koordynacyjnego obowiązków niezbędnych do prawidłowego wypełniania zadań Zespołu Koordynacyjnego;

3) wyrażanie zgody na udział oraz wyznaczanie sposobu i czasu uczestnictwa w posiedzeniach Zespołu Koordynacyjnego osób, o których mowa w ust. 10;

4) nadzorowanie przestrzegania przez Zespół Koordynacyjny postanowień niniejszego Regulaminu;

5) podpisywanie protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego;

6) reprezentowanie Zespołu Koordynacyjnego na zewnątrz.

8. Do zadań Sekretarza Zespołu należy protokołowanie posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego.

9. W posiedzeniach Zespołu Koordynacyjnego mają prawo uczestniczyć z prawem głosu przedstawiciele Narodowego Funduszu Zdrowia, Ministerstwa Zdrowia oraz Jednostki Koordynującej, z wyłączeniem głosowania w zakresie kwalifikacji pacjentów do programu lekowego.

10. W posiedzeniach Zespołu Koordynacyjnego mogą uczestniczyć z głosem doradczym, eksperci zaproszeni przez Przewodniczącego Zespołu Koordynacyjnego, niebędący członkami Zespołu.

11. W posiedzeniach Zespołu Koordynacyjnego mogą brać udział również, bez prawa głosu, zaproszeni przez Przewodniczącego Zespołu Koordynacyjnego przedstawiciele stowarzyszeń pacjentów. Przedstawiciele stowarzyszeń pacjentów nie uczestniczą w posiedzeniach, których przedmiotem jest analiza wniosków o zakwalifikowanie pacjenta do leczenia.

12. Kwalifikacja do leczenia odbywa się zgodnie z opisem świadczenia, określonym w załączniku do obwieszczenia ministra właściwego do spraw zdrowia w sprawie wykazu leków refundowanych, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych oraz zgodnie z zarządzeniem Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy lekowe.

13. Kwalifikacja do leczenia w ramach programów lekowych "Leczenie wrodzonych zespołów autozapalnych" oraz "Leczenie zapobiegawcze chorych z nawracającymi napadami dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego o ciężkim przebiegu" jest dokonywana przez członków Sekcji ds. Zespołów Autozapalnych i Obrzęku Naczynioruchowego.

14. Zespół Koordynacyjny podejmuje decyzje[1](fnote://8E31FD58-5F20-4FA1-9FCA-03E2C90547E4) dotyczące kwalifikacji pacjentów do programu.

15. Zespół Koordynacyjny podejmuje decyzje w sposób niezależny, a jego członkowie nie kontaktują się w sprawach pracy Zespołu, w szczególności w zakresie wydawanych opinii, z jakąkolwiek osobą, organizacją, czy instytucją, która mogłaby być zainteresowana bezpośrednio lub pośrednio podejmowanymi przez Zespół Koordynacyjny decyzjami.

16. Decyzje Zespołu Koordynacyjnego dotyczące leczenia pacjentów oraz inne decyzje Zespołu Koordynacyjnego dotyczące realizacji programu lekowego są podejmowane na posiedzeniach zwykłą większością głosów, w obecności Przewodniczącego Zespołu albo w przypadku jego nieobecności - Zastępcy Przewodniczącego. W razie oddania równej liczby głosów decyduje głos Przewodniczącego Zespołu, a w przypadku jego nieobecności Zastępcy Przewodniczącego. Dokumenty zawierające decyzje podejmowane przez Zespół Koordynujący, podpisuje Przewodniczący, a w razie nieobecności Przewodniczącego - Zastępca Przewodniczącego.

17. W wyjątkowych okolicznościach związanych z koniecznością zapewnienia szybkiego dostępu do terapii, bądź zachowania ciągłości terapii w danym programie lekowym decyzję może jednoosobowo podjąć Przewodniczący Zespołu lub Zastępca Przewodniczącego. Decyzja nie może zostać podjęta na okres dłuższy niż do czasu najbliższego posiedzenia Zespołu Koordynacyjnego. W każdym tego typu przypadku, na najbliższym posiedzeniu Zespołu Koordynacyjnego przedstawiany jest wniosek o zakwalifikowanie pacjenta do leczenia, bądź w przypadku kontynuacji terapii - karta monitorowania leczenia.

18. Zespół Koordynacyjny przekazuje do Jednostki Koordynującej informacje o podjętych decyzjach, w celu zawiadomienia przez Jednostkę Koordynującą ośrodka występującego z wnioskiem o zakwalifikowanie pacjenta do leczenia, kontynuację lub zaprzestanie leczenia.

19. Posiedzenia Zespołu Koordynacyjnego odbywają się zgodnie z przyjętym na dany rok harmonogramem. Harmonogram posiedzeń ustala Przewodniczący Zespołu Koordynacyjnego, który przesyła Prezesowi Funduszu informację o zaplanowanych terminach posiedzeń Zespołu w terminie do dnia 30 stycznia danego roku. Posiedzenia Zespołu Koordynacyjnego mogą także odbywać się z zastosowaniem środków komunikacji elektronicznej umożliwiających porozumiewanie się na odległość.

20. Na wniosek Przewodniczącego Zespołu lub Prezesa Funduszu posiedzenia Zespołu Koordynacyjnego mogą odbywać się poza terminami wynikającymi z harmonogramu.

21. Posiedzenia odbywają się przy udziale co najmniej połowy członków Zespołu Koordynacyjnego.

22. Z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego sporządza się protokół, który podpisuje Przewodniczący Zespołu albo w przypadku jego nieobecności – Zastępca Przewodniczącego. Protokół jest przekazywany Prezesowi Funduszu oraz Jednostce Koordynującej.

23. Zespół Koordynacyjny jest zobowiązany do przedkładania Prezesowi Funduszu, w terminie do 30 kwietnia roku następnego, rocznych raportów z prac zespołu, sporządzanych zgodnie ze wzorem określonym w załączniku do regulaminu.

24. Zespół Koordynacyjny może występować do Ministra Zdrowia oraz do Prezesa Funduszu w sprawach związanych z realizacją programu lekowego.

25. Każda osoba powołana przez Prezesa Funduszu w skład Zespołu Koordynacyjnego obowiązana jest do zgłoszenia przewodniczącemu Zespołu ewentualnego konfliktu interesów oraz do zachowania w tajemnicy wszelkich informacji, które nabyła w związku z udziałem w pracach Zespołu.

26. Obsługę administracyjną, w tym obsługę prawną na rzecz Zespołu Koordynacyjnego oraz jego członków zapewnia Jednostka Koordynująca oraz sekretariat znajdujący się w Jednostce Koordynującej, do którego zadań należy w szczególności:

1) archiwizacja dokumentów;

2) przekazywanie korespondencji;

3) kontaktowanie się z członkami Zespołu Koordynacyjnego;

4) zawiadamianie o spotkaniach oraz informowanie o decyzjach Zespołu Koordynacyjnego, ośrodka występującego z wnioskiem o kwalifikację do leczenia, kontynuację i zaprzestanie terapii.

**Regulamin Sekcji ds. Zespołów Autozapalnych i Obrzęku Naczynioruchowego  
działającej w ramach Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrarzadkich**

1. Sekcja ds. Zespołów Autozapalnych i Obrzęku Naczynioruchowego, zwana dalej "Sekcją", powoływana jest przez Prezesa Funduszu.

2. Sekcja działa w ramach Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrarzadkich, zwanego dalej "Zespołem Koordynacyjnym", który wykonuje swoje zadania przy ośrodku będącym realizatorem świadczenia "kwalifikacja do leczenia w programie lekowym oraz weryfikacja jego skuteczności" (Jednostka Koordynująca).

3. W skład Sekcji wchodzą lekarze posiadający specjalizację w dziedzinie immunologii klinicznej lub alergologii z podstawową specjalizacją w dziedzinie pediatrii lub chorób wewnętrznych oraz posiadający wiedzę niezbędną do weryfikacji procesów diagnozowania zespołów autozapalnych, obrzęku naczynioruchowego oraz ich terapii.

4. O terminach posiedzeń Sekcji informowany jest Przewodniczący Zespołu. W posiedzeniach Sekcji mogą uczestniczyć z prawem głosu członkowie Zespołu Koordynacyjnego oraz przedstawiciele Funduszu, Ministerstwa Zdrowia i Jednostki Koordynującej, z wyłączeniem głosowania w zakresie kwalifikacji pacjentów do programu lekowego oraz głosowania w zakresie weryfikacji skuteczności leczenia.

5. W posiedzeniach Sekcji mogą uczestniczyć z głosem doradczym, eksperci zaproszeni przez Przewodniczącego Zespołu Koordynacyjnego.

6. Sekcja kwalifikuje do leczenia oraz weryfikuje skuteczność leczenia pacjentów w ramach programów lekowych finansowanych przez Fundusz:

1) "Leczenie wrodzonych zespołów autozapalnych";

2) "Leczenie zapobiegawcze chorych z nawracającymi napadami dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego o ciężkim przebiegu".

7. Sekcja podejmuje decyzje dotyczące kwalifikacji pacjentów do programu w dwóch podzespołach:

1) podzespół pediatryczny, który podejmuje decyzje dotyczące kwalifikacji pacjentów <18r.ż.;

2) podzespół internistyczny, który podejmuje decyzje dotyczące kwalifikacji pacjentów >18r.ż.

8. Pracami podzespołów kieruje odpowiednio do specjalizacji Przewodniczący Sekcji lub Zastępca Przewodniczącego Sekcji.

9. Kwalifikacja do leczenia odbywa się zgodnie z opisem świadczenia, określonym w załączniku do obwieszczenia oraz zgodnie z zarządzeniem.

10. Sekcja podejmuje decyzje[2](fnote://377DAF74-4012-40A9-BB28-C21E9036D849) dotyczące rozpoczęcia leczenia, kontynuowania oraz zakończenia leczenia, jak również dotyczące wielkości dawki stosowanego leku, na podstawie prawidłowo wypełnionych dokumentów, niezbędnych dla kwalifikacji oraz monitorowania leczenia, zgodnie z opisem programu po uzyskaniu pozytywnej opinii recenzenta, wybranego spośród członków Sekcji. Wzory przedmiotowych dokumentów określone są w załączniku do zarządzenia.

11. Decyzje podejmowane przez Sekcję w zakresie leczenia pacjentów oraz inne decyzje związane z realizacją przedmiotowego programu lekowego są przedstawiane przez członków Sekcji na posiedzeniach Zespołu Koordynacyjnego. Zespół Koordynacyjny dokonuje ostatecznej akceptacji uprzednio podjętych przez Sekcję decyzji zwykłą większością głosów w obecności Przewodniczącego lub w przypadku jego nieobecności - Zastępcy Przewodniczącego. W razie oddania równej liczby głosów decyduje głos Przewodniczącego Zespołu, a w przypadku jego nieobecności - Zastępcy Przewodniczącego. Dokumenty zawierające decyzje podejmowane przez Sekcję podpisuje Przewodniczący, a w razie nieobecności Przewodniczącego - Zastępca Przewodniczącego.

12. W wyjątkowych okolicznościach związanych z koniecznością zapewnienia szybkiego dostępu do terapii, bądź zachowania ciągłości leczenia decyzje są podejmowane przez upoważnionego przez Przewodniczącego Zespołu członka Sekcji. Decyzje te są jednoznaczne z możliwością rozpoczęcia terapii u pacjenta. Decyzje są następnie przedstawiane na posiedzeniach Zespołu Koordynacyjnego. W każdym tego typu przypadku, na najbliższym posiedzeniu Zespołu przedstawiany jest wniosek o zakwalifikowanie pacjenta do leczenia, bądź w przypadku kontynuacji terapii - karta monitorowania leczenia.

13. Informacja o posiedzeniach Sekcji jest przekazywana Przewodniczącemu Zespołu Koordynacyjnego bądź jego Zastępcy oraz Jednostce Koordynującej.

14. Sekretariat Jednostki Koordynującej odnotowuje informację o posiedzeniach Sekcji w protokołach z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrarzadkich.

15. Członkowie Sekcji są obowiązani do przestrzegania Regulaminu Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrarzadkich.

Załącznik do regulaminu

**ROCZNY RAPORT Z PRAC ZESPOŁU KOORDYNACYJNEGO\***

**Informacje ogólne:**

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| 1. | Nazwa zespołu | Zespół Koordynacyjny ds. ………………………………. |
| 2. | Data sporządzenia | DD-MM-RRRR |
| 3. | Okres sprawozdawczy (proszę wpisać rok) | RRRR |

**Przebieg i postęp realizacji zadań zespołu w okresie sprawozdawczym  
  
Opis zrealizowanych zadań w okresie sprawozdawczym:**

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **1.** | **Liczba posiedzeń Zespołu:** |  |
| 1.1. | liczba posiedzeń stacjonarnych: |  |
| 1.2. | liczba posiedzeń w formule online: |  |
| **2.** | **Liczba omawianych wniosków:** |  |
| **3.** | **Liczba zakwalifikowanych do terapii, w tym:** |  |
| 3.1. | liczba pacjentów pierwszorazowo zakwalifikowanych do terapii: |  |
| 3.2. | liczba pacjentów, u których podjęto decyzję o kontynuacji leczenia w programie: |  |
| **4.** | **Liczba wniosków odrzuconych, w tym:** |  |
| 4.1. | liczba odrzuconych wniosków dla pierwszorazowo zgłoszonych pacjentów: |  |
| 4.2. | liczba odrzuconych wniosków o kontynuację leczenia w programie: |  |
| **5.** | **Liczba wniosków o wyłączenie pacjenta z terapii, w tym:** |  |
| 5.1. | z powodu rezygnacji pacjenta: |  |
| 5.2. | inne: (proszę wskazać)  1) ……………………………………………………………………………  2) …………………………………………………………………………… | 1) ……  2) …… |

**Informacja na temat odrzuconych wniosków:**

|  |  |
| --- | --- |
| **1.** | **Przyczyny odrzucenia wniosków o kwalifikację dla pacjentów pierwszorazowych:**  *- należy podać najczęstsze przyczyny*  *- informacje należy podawać w formie ogólnej* |
| **2.** | **Przyczyny odrzucenia wniosków o kontynuację leczenia pacjentów:**  *- należy podać najczęstsze przyczyny*  *- jeżeli przyczyną było pojawienie się działań niepożądanych proszę o podanie nazwy leku oraz działania niepożądanego wraz z podaniem liczby takich dyskwalifikacji*  *- informacje należy podawać w formie ogólnej* |

**Dodatkowe informacje na temat realizacji programu lekowego/programów lekowych w tym realizacji dodatkowych zadań przez Zespół Koordynacyjny w okresie sprawozdawczym**

|  |
| --- |
|  |

**Informacje o udziale w posiedzeniach Zespołu przedstawicieli stowarzyszeń pacjentów w okresie sprawozdawczym\*\***

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| Nazwa Stowarzyszenia | Przedstawiciel Stowarzyszenia | Data posiedzenia |
| *(imię i nazwisko, funkcja)* | (DD-MM-RRRR) |
|  |  |  |
|  |  |  |
|  |  |  |
|  |  |  |

**Rekomendacje Zespołu Koordynacyjnego w zakresie proponowanych zmian w programach lekowych**

|  |
| --- |
|  |

**Informacje nt. skuteczności leczenia pacjentów w programie lekowym - opracowanie na podstawie danych dostarczonych przez Fundusz oraz danych będących w posiadaniu Zespołu Koordynacyjnego\*\*\***

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
|  | | |
| ……………………… |  | ……………………… |
| *data, podpis*  ***Przewodniczącego Zespołu*** |  | *data, podpis*  ***Kierownika Jednostki Koordynującej*** |

***WAŻNE!***

*\*Uzupełniony raport należy przesłać do Prezesa Funduszu w terminie do dnia 30 kwietnia za rok poprzedni wyłącznie za pośrednictwem środków komunikacji elektronicznej, w tym ePUAP lub poczty elektronicznej w dwóch egzemplarzach. Jeden z egzemplarzy musi zostać przekazany w formie elektronicznej edytowalnej.*

*\*\* jeżeli nie dotyczy proszę w kolumnie nazwa stowarzyszenia wpisać "nie dotyczy".*

*\*\*\*Narodowy Fundusz Zdrowia przekazuje dane dotyczące realizacji programu lekowego za rok poprzedni do dnia 28 lutego kolejnego roku.*