

Regulamin Zespołu Koordynacyjnego do spraw Chorób UltrarzadkichRegulamin Sekcji ds. Zespołów Autozapalnych i Obrzęku Naczynioruchowego działającej w ramach Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrarzadkich⁵³⁾

1. Zespół Koordynacyjny:

- 1) kwalifikuje świadczeniobiorców do leczenia w ramach programu lekowego:
 - a) Leczenie pacjentów z chorobą Gauchera typu I oraz typu III;
 - b) Leczenie choroby Hurler;
 - c) Leczenie pacjentów z chorobą Pompego;
 - d) Leczenie pacjentów z mukopolisacharydozą typu II (zespół Huntera);
 - e) Leczenie ciężkich wrodzonych hiperhomocysteinemii;
 - f) Leczenie tyrozydemii typu 1 (HT-1);
 - g) Leczenie pacjentów z wrodzonymi zespołami autozapalnymi;
 - h) Leczenie choroby Fabry`ego;
 - i) Leczenie uzupełniające L-karnityną w wybranych chorobach metabolicznych;
 - j) Leczenie chorych na cystynozę nefropatyczną;
 - k) Leczenie zapobiegawcze chorych z nawracającymi napadami dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego o ciężkim przebiegu;
 - l) Leczenie amifamprydyną pacjentów z zespołem miastenicznym Lamberta-Eatona;
 - m) Leczenie wspomagające zaburzeń cyklu mocznikowego;
 - n) Leczenie kwasem kargluminowym chorych z acyduriami organicznymi: propionową, metylomalonową i izowalerianową;
 - o) Leczenie chorych na hipofosfatemię sprzężoną z chromosomem X (XLH);
 - p) Leczenie chorych z niedoborem kwaśniej sfingomielinazy (ASMD) typu A/B i B;
 - r) Leczenie chorych z objawami kostnymi w przebiegu hipofosfatazji;
 - s) Leczenie pacjentów z achondroplazją;
 - t) Leczenie chorych z zespołem hipereozynofilowym (HES);
- 2) rozstrzyga o wyłączeniu świadczeniobiorców z programu;
- 3) dokonuje oceny skuteczności terapii w trakcie trwania programu lekowego:
 - a) Leczenie pacjentów z chorobą Gauchera typu I oraz typu III;
 - b) Leczenie choroby Hurler;
 - c) Leczenie pacjentów z chorobą Pompego;
 - d) Leczenie pacjentów z mukopolisacharydozą typu II (zespół Huntera);
 - e) Leczenie ciężkich wrodzonych hiperhomocysteinemii;
 - f) Leczenie tyrozydemii typu 1 (HT-1);

⁵³⁾ W brzmieniu ustalonym przez § 1 pkt 29 zarządzenia, o którym mowa w odnośniku 4

- g) Leczenie pacjentów z wrodzonymi zespołami autozapalnymi;
- h) Leczenie choroby Fabry'ego;
- i) Leczenie uzupełniające L-karnityną w wybranych chorobach metabolicznych;
- j) Leczenie chorych na cystynozę nefropatyczną;
- k) Leczenie zapobiegawcze chorych z nawracającymi napadami dziedzicznego obrzęku naczynioruchowego o ciężkim przebiegu;
- l) Leczenie amifamprydyną pacjentów z zespołem miastenicznym Lamberta-Eatona;
- m) Leczenie wspomagające zaburzeń cyklu mocznikowego;
- n) Leczenie kwasem kargluminowym chorych z acyduriami organicznymi: propionową, metylomalonową i izowalerianową;
- o) Leczenie chorych na hipofosfatemię sprzężoną z chromosomem X (XLH);
- p) Leczenie chorych z niedoborem kwaśniej sfingomielinazy (ASMD) typu A/B i B;
- r) Leczenie chorych z objawami kostnymi w przebiegu hipofosfatazji;
- s) Leczenie pacjentów z achondroplazją;
- t) Leczenie chorych z zespołem hipereozynofilowym (HES).

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. Członkowie Zespołu Koordynacyjnego, zwykłą większością głosów, wybierają ze swojego składu Przewodniczącego, jego Zastępców oraz Sekretarza.

4. Do zadań Przewodniczącego należy w szczególności:

- 1) organizacja oraz prowadzenie posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego;
- 2) przydzielanie członkom Zespołu Koordynacyjnego obowiązków niezbędnych do prawidłowego wypełniania zadań Zespołu Koordynacyjnego;
- 3) nadzorowanie przestrzegania przez Zespół Koordynacyjny postanowień niniejszego Regulaminu;
- 4) podpisywanie protokołów z posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego;
- 5) reprezentowanie Zespołu Koordynacyjnego na zewnątrz.

5. W czasie nieobecności Przewodniczącego czynności, o których mowa w ust. 4, wykonuje wyznaczony Zastępca Przewodniczącego.

6. Do zadań Sekretarza należy protokolowanie posiedzeń Zespołu Koordynacyjnego.

7. W posiedzeniach Zespołu Koordynacyjnego mogą brać udział, bez prawa głosu, przedstawiciel Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia, zwanego dalej "Funduszem", oraz Ministra Zdrowia.

8. Kwalifikacja świadczeniobiorców do programu lekowego, ocena skuteczności terapii w trakcie trwania programu lekowego oraz rozstrzygnięcie o wyłączeniu świadczeniobiorców z programu lekowego 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 Funduszu w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenia szpitalne w zakresie programy lekowe.

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

10. Zespół Koordynacyjny podejmuje decyzje⁵⁴⁾ dotyczące kwalifikacji świadczeniobiorców do programu oraz wyłączenia świadczeniobiorców z programu.

11. 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.

12. 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 albo w przypadku jego nieobecności - Zastępcy Przewodniczącego. W przypadku oddania równej liczby głosów decyduje głos Przewodniczącego, a w przypadku jego nieobecności Zastępcy Przewodniczącego. Dokumenty zawierające decyzje podejmowane przez Zespół Koordynacyjny, podpisuje Przewodniczący, a w razie nieobecności Przewodniczącego - Zastępca Przewodniczącego. Decyzje dotyczące kwalifikacji lub kontynuacji leczenia mogą być podejmowane na zasadach określonych przez Zespół, również z wykorzystaniem elektronicznego systemu monitorowania programów lekowych.

13. W wyjątkowych okolicznościach związanych z koniecznością zapewnienia szybkiego dostępu do terapii, bądź zachowania ciągłości terapii w danym programie lekowym decyzję może jednoosobowo podjąć Przewodniczący 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.

14. 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.

15. Posiedzenia Zespołu Koordynacyjnego odbywają się zgodnie z przyjętym na dany rok harmonogramem. Harmonogram posiedzeń ustala Przewodniczący. Posiedzenia Zespołu Koordynacyjnego mogą także odbywać się z wykorzystaniem środków komunikacji elektronicznej umożliwiających porozumiewanie się na odległość.

16. Na wniosek Przewodniczącego Zespołu posiedzenia Zespołu Koordynacyjnego mogą odbywać się poza terminami wynikającymi z harmonogramu.

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

18. 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.

19. Zespół Koordynacyjny jest zobowiązany do składania Prezesowi Funduszu półrocznych raportów z realizacji danego programu lekowego, sporządzanych zgodnie ze wzorem określonym w załączniku do regulaminu, w terminach odpowiednio do:

- 1) 30 września – za pierwsze półrocze danego roku;
- 2) 31 marca – za drugie półrocze roku poprzedniego.

20. Zespół Koordynacyjny może występować do Ministra Zdrowia w sprawach związanych z realizacją programu lekowego, o których mowa w art. 16b ust. 1 pkt 5 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r. poz. 826, z późn. zm.).

21. 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.

⁵⁴⁾ Decyzje, o których mowa w niniejszym regulaminie nie są decyzjami administracyjnymi w rozumieniu przepisów ustawy z dnia 14 czerwca 1960 r. - Kodeks postępowania administracyjnego (Dz. U. z 2023 r. poz. 775, z późn. zm.).

22. Obsługę administracyjną oraz prawną Zespołu Koordynacyjnego oraz jego członków zapewnia Jednostka Koordynująca. Do zadań Jednostki Koordynującej 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. O terminach posiedzeń Sekcji informowany jest Przewodniczący Zespołu. W posiedzeniach Sekcji mogą uczestniczyć z prawem głosu członkowie Zespołu Koordynacyjnego oraz bez prawa głosu przedstawiciel Funduszu oraz Ministra Zdrowia.

4. 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;
- 3) Leczenie chorych z zespołem hipereozynofilowym (HES).

5. 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.

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

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

8. Sekcja podejmuje decyzje⁵⁵⁾ 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.

9. 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. Decyzje dotyczące kwalifikacji lub kontynuacji leczenia mogą być podejmowane na zasadach określonych przez Zespół, również z wykorzystaniem elektronicznego systemu monitorowania programów lekowych.

10. 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.

⁵⁵⁾ Decyzje, o których mowa w niniejszym regulaminie nie są decyzjami administracyjnymi w rozumieniu przepisów ustawy z dnia 14 czerwca 1960 r. - Kodeks postępowania administracyjnego (Dz. U. z 2023 r. poz. 775, z późn. zm.).

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

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

13. Członkowie Sekcji są obowiązani do przestrzegania Regulaminu Zespołu Koordynacyjnego ds. Chorób Ultrazadkowych.