

PROGRAMUL NAȚIONAL DE TRATAMENT PENTRU BOLI RARE

Activități:

- 1) asigurarea, în spital și în ambulatoriu, prin farmaciile cu circuit închis a medicamentelor specifice pentru:
 - a. tratamentul bolnavilor cu boli neurologice degenerative/inflamator-imune: forme cronice (polineuropatie cronică inflamatorie demielinizantă, neuropatie motorie multifocală cu bloc de conducere, neuropatie demielinizantă paraproteinică, sindroame neurologice paraneoplazice, miopatie inflamatorie, scleroză multiplă - forme cu recăderi și remisiuni la copii sub 12 ani, encefalita Rasmussen) și forme acute - urgențe neurologice (poliradiculonevrite acute, sindrom Guillain-Barre, miastenia - crize miastenice), tratamentul polineuropatiei familiale amiloide cu transtiretină;
 - b. tratamentul bolnavilor cu osteogeneză imperfectă;
 - c. tratamentul bolnavilor cu boala Fabry;
 - d. tratamentul bolnavilor cu boala Pompe;
 - e. tratamentul bolnavilor cu tirozinemie;
 - f. tratamentul bolnavilor cu mucopolizaharidoză tip II (sindromul Hunter);
 - g. tratamentul bolnavilor cu mucopolizaharidoză tip I (sindromul Hurler);
 - h. tratamentul bolnavilor cu afibrinogenemie congenitală;
 - i. tratamentul bolnavilor cu sindrom de imunodeficiență primară;
 - j. tratamentul bolnavilor cu epidermoliză buloasă;
 - k. tratamentul sclerozei sistemice și ulcerelor digitale evolutive;
 - l. tratamentul purperei trombocitopenice imune cronice la adulții splenectomizați și nesplenectomizați;
 - m. tratamentul hiperfenilalaninemiei la bolnavii diagnosticați cu fenilcetonurie sau deficit de tetrahidrobiopterină (BH4);
 - n. tratamentul sclerozei tuberoase;
 - o. tratamentul bolnavilor cu HTAP;
- 2) asigurarea, în ambulatoriu, prin farmaciile cu circuit deschis a medicamentelor specifice pentru:
 - a. tratamentul bolnavilor cu scleroză laterală amiotrofică;
 - b. tratamentul bolnavilor cu mucoviscidoză;
 - c. tratamentul bolnavilor cu Sindrom Prader Willi;
 - d. tratamentul bolnavilor cu fibroză pulmonară idiopatică
 - e. tratamentul bolnavilor cu distrofie musculară Duchenne
 - f. tratamentul bolnavilor cu angioedem ereditar
- 3) asigurarea, în spital și în ambulatoriu, prin farmaciile cu circuit închis a materialelor sanitare pentru tratamentul bolnavilor cu epidermoliză buloasă;
- 4) asigurarea în spital a tijelor telescopice pentru bolnavii cu osteogeneză imperfectă.

Criterii de eligibilitate:

1) boli neurologice degenerative/inflamator-imune:

- a) bolnavi cu diagnostic cert de boli neurologice degenerative/inflamator-imune: forme cronice (polineuropatie cronică inflamatorie demielinizantă, neuropatie motorie multifocală cu bloc de conducere, neuropatie demielinizantă paraproteinică, sindroame neurologice paraneoplazice, miopatie inflamatorie, scleroză multiplă - forme cu recăderi și remisiuni la copii sub 12 ani, encefalita Rasmussen);

b) bolnavi cu diagnostic cert de boli neurologice degenerative/inflamator-imune: forme acute - urgențe neurologice (poliradiculonevrite acute, sindrom Guillan-Barre, miastenia - crize miastenice);

2) scleroză laterală amiotrofică:

- bolnavi cu diagnostic cert de scleroză laterală amiotrofică;

3) osteogeneză imperfectă:

a) tratament medicamentos: bolnavii cu diagnostic cert de osteogeneză imperfectă (diagnostic clinic, paraclinic și genetic);

b) tratament cu tije telescopice:

- bolnavi cu fracturi multiple și/sau deformări osoase care necesită armarea oaselor lungi;

4) boala Fabry:

- bolnavii cu diagnostic cert de boala Fabry;

5) boala Pompe:

- bolnavii cu diagnostic cert de boala Pompe;

6) tirozinemie:

- bolnavi cu diagnostic cert de tirozinemie.

7) bolnavii cu diagnostic cert de mucopolizaharidoză tip II (sindromul Hunter);

8) bolnavii cu diagnostic cert de mucopolizaharidoză tip I (sindromul Hurler);

9) bolnavii cu diagnostic cert de afibrinogenemie congenitală;

10) bolnavii cu diagnostic cert de sindrom de imunodeficiență primară;

11) hipertensiune arterială pulmonară:

a) bolnavi diagnosticați conform criteriilor stabilite de Societatea Europeană de Cardiologie, în baza investigațiilor paraclinice de specialitate, cu următoarele forme de HTAP:

a.1) idiopatică/familială;

a.2) asociată cu colagenoze (sclerodermie, lupus eritematos diseminat, poliartrită reumatoidă, boala mixtă de țesut conjunctiv, sindrom Sjogren);

a.3) asociată cu defecte cardiace cu șunt stânga-dreapta de tipul defect septal ventricular, defect septal atrial, canal arterial persistent, precum și forma severă de evoluție a acestora către sindrom Eisenmenger;

a.4) de cauză tromboembolică fără indicație de tromboendarterectomie sau cu HTAP persistentă după tromendarterectomie;

b) criteriile de eligibilitate pentru copii:

b.1) grupa de vârstă 0 - 18 ani;

b.2) malformații cardiace congenitale cu șunt stânga-dreapta care evoluează spre hipertensiune arterială pulmonară cu rezistențe pulmonare vasculare crescute, reactive la testul vasodilatator;

b.3) sindrom Eisenmenger;

b.4) malformațiile cardiace congenitale complexe de tip ventricul unic și anastomozele cavopulmonare, cu creșterea presiunii în circulația pulmonară;

b.5) HTAP idiopatică;

c) criteriile de eligibilitate pentru adulți:

c.1) HTAP idiopatică/familială;

c.2) HTAP asociată cu colagenoze;

c.3) HTAP asociată cu defecte cardiace cu șunt stânga-dreapta de tipul defect septal ventricular (DSV), defect septal atrial (DSA), canal arterial persistent (PCA);

d) condiții suplimentare obligatorii:

d.1) pacienți cu HTAP aflați în clasa funcțională II - IV NYHA;

d.2) pacienții la care cateterismul cardiac drept evidențiază o PAPm > 35 mmHg și PAPs > 50 mmHg;

d.3) pacienții a căror distanță la testul de mers de 6 minute efectuat inițial este mai mică de 450 de metri. La pacienții cu test de mers de sub 150 (foarte severi) sau imposibil de realizat (comorbidități), testul de mers nu va putea fi folosit ca parametru de eficiență;

d.4) includerea în Registrul național al pacienților cu HTAP;

12) mucoviscidoză:

- bolnavii cu diagnostic cert de mucoviscidoză;

13) epidermoliză buloasă:

- bolnavii cu diagnostic cert de epidermoliză buloasă (diagnostic clinic, examen histopatologic);

14) sindromul Prader Willi:

- bolnavii cu diagnostic cert de Sindrom Prader Willi.

15) Polineuropatia familială amiloidă cu transtiretină

- bolnavi cu diagnostic cert de polineuropatie familială amiloidă cu transtiretină

16) Scleroza sistemică și ulcerele digitale evolutive

- bolnavi cu diagnostic cert de scleroză sistemică și ulcerele digitale evolutive

17) Purpura trombocitopenică imună cronică la adulții splenectomizați și nesplenectomizați

- bolnavi adulți cu trombocitopenie imună primară (idiopatică) cronică refractară la alte linii de tratament inclusiv splenectomie sau cu contraindicație de splenectomie

18) Hiperfenilalaninemia la bolnavii diagnosticați cu fenilcetonurie sau deficit de tetrahidrobiopterină (BH4)

- bolnavi cu hiperfenilalaninemie care au fost diagnosticați cu fenilcetonurie sau deficit de tetrahidrobiopterină (BH4)

19) Scleroza tuberoasă:

a) Astrocitom subependimal cu celule gigant (ASCG) asociat cu complexul sclerozei tuberoase (TSC):

- bolnavi cu astrocitom subependimal cu celule gigant (ASCG) asociat cu complexul sclerozei tuberoase (CST), care necesită intervenție terapeutică, dar care nu pot fi supuși intervenției;

- bolnavi care prezintă cel puțin o leziune de tip astrocitom subependimal cu celule gigant (ASCG) cu diametrul maxim mai mare de 0,5 cm documentată prin examen imagistic (RMN sau CT);

- creșterea ASCG argumentată prin imagini radiologice seriale;

- vârsta \geq 1 an;

b) Angiomiolipom renal asociat cu complexul sclerozei tuberoase (TSC)

- bolnavi adulți cu angiomiolipom renal asociat cu complexul sclerozei tuberoase (CST) care prezintă riscul apariției de complicații (pe baza unor factori cum sunt dimensiunea tumorii, prezența anevrismului sau prezența tumorilor multiple ori bilaterale), dar care nu necesită intervenție chirurgicală imediată;

- leziunile AML cu diametrul maxim egal sau mai mare de 3 cm documentat prin examen imagistic (RMN sau CT); tratamentul cu un inhibitor de mTOR este recomandat ca fiind cel mai eficient tratament de prima linie. (Evidența de Categorie 1);

- creșterea în dimensiuni a angioliipomului argumentată prin imagini radiologice seriale."

20) Fibroza pulmonară idiopatică

Criterii de includere:

- bolnavi cu diagnostic de Fibroză pulmonară idiopatică stabilit conform criteriilor ATS/ERS prin prezența unuia din:

a) Biopsie pulmonară (pe cale chirurgicală sau transbronșică) care arată un aspect tipic sau probabil de "Pneumonie interstițială uzuală" și un aspect pe computerul tomograf de înaltă rezoluție de Pneumonie interstițială uzuală tipică sau posibilă

b) Aspect pe computerul tomograf de înaltă rezoluție de Pneumopatie interstițială uzuală tipică în absența biopsiei pulmonară sau cu o biopsie pulmonară cu aspect de Pneumonie interstițială uzuală posibilă

și care îndeplinesc următoarele condiții:

1. Vârsta peste 40 de ani
2. Nefumător sau sevrat de fumat de cel puțin 3 luni
3. Diagnostic de Fibroză pulmonară idiopatică conform paragrafului anterior, realizat cu maxim 5 ani în urmă
4. Absența altei etiologii a fibrozei pulmonare incluzând: expuneri la metale grele (beriliu), reacții secundare medicamentoase, iradiere pulmonară, pneumonită de hipersensibilitate, sarcoidoză, bronșiolită obliterantă, infecție HIV sau hepatită virală, cancer, boli de colagen indiferent de tipul acestora (ca de exemplu sclerodermie, polimiozită/dermatomiozită, lupus eritematos diseminat, poliartrită reumatoidă)
5. Evaluare funcțională respiratorie având următoarele caracteristici (toate prezente):
 - Capacitate vitală forțată cuprinsă între 50 și 90% din valoarea prezisă;
 - Factor de transfer prin membrana alveolocapilară (DLco) corectat pentru valoarea hemoglobinei cuprins între 30 și 90% din valoarea prezisă
 - Indice de permeabilitate bronșică (VEMS/CVF) > 0,8 și test de bronhodilatație negativ după criteriile ATS/ERS (< 12% ameliorarea a VEMS la 30 minute după administrarea de 400 μg de salbutamol).

21) Distrofie musculară Duchenne:

Criterii de includere:

- bolnavi cu diagnostic de distrofie musculară Duchenne, cauzată de o mutație nonsens la nivelul genei distrofinei (nmDMD) – prezența unei mutație nonsens în gena distrofinei trebuie determinată prin testare genetică, cu:
 - a. vârsta \geq 5 ani;
 - b. capacitate de deplasare păstrată (merge 10 pași fără sprijin);
 - c. consimțământ informat privind administrarea medicamentului și criteriile de includere, excludere și oprire a tratamentului, precum și acceptul de a se prezenta periodic la evaluările standardizate, înainte de începerea tratamentului, semnat de bolnav/părinte sau tutore.

Criterii de excludere:

- a. bolnavi cu diagnostic de distrofie musculară Duchenne, care nu prezintă o mutație nonsense;
- b. vârsta < 5 ani;
- c. capacitate de deplasare pierdută (nu merge 10 pași fără sprijin).

22) Angioedem ereditar: criteriile de eligibilitate se completează după publicarea protocolului terapeutic aprobat prin ordin al ministrului sănătății și al președintelui CNAS.

Indicatori de evaluare:

1) indicatori fizici:

- a) număr de bolnavi cu boli neurologice degenerative/inflamator-imune forme cronice: 193;

- b) număr de bolnavi cu boli neurologice degenerative/inflamator-imune forme acute - urgențe neurologice: 205;
- c) număr de bolnavi cu scleroză laterală amiotrofică: 579;
- d) număr de bolnavi cu osteogeneză imperfectă (medicamente): 29;
- d.1) număr de bolnavi cu osteogeneză imperfectă (tije telescopice): 17;
- e) număr de bolnavi cu boala Fabry: 23;
- f) număr de bolnavi cu boala Pompe:7;
- g) număr de bolnavi cu tirozinemie: 4;
- h) număr de bolnavi cu mucopolizaharidoză tip II (sindromul Hunter): 17;
- i) număr de bolnavi cu mucopolizaharidoză tip I (sindromul Hurler):6;
- j) număr de bolnavi cu afibrinogenemie congenitală: 2;
- k) număr de bolnavi cu sindrom de imunodeficiență primară: 219;
- l) număr de bolnavi cu HTAP tratați: 443;
- m) număr de bolnavi cu mucoviscidoză (aduți): 122;
- n) număr de bolnavi cu mucoviscidoză (copii): 404;
- o) număr de bolnavi cu epidermoliză buloasă: 83;
- p) număr de bolnavi cu sindromul Prader Willi: 26;
- r) număr de bolnavi cu polineuropatie familială amiloidă cu transtiretină: 3;
- s) număr de bolnavi cu scleroză sistemică și ulcere digitale evolutive: 169;
- ș) număr de bolnavi aduți cu purpură trombocitopenică imună cronică splenectomizați și nesplenectomizați: 59;
- t) număr de bolnavi cu hiperfenilalaninemie care au fost diagnosticați cu fenilcetonurie sau deficit de tetrahidrobiopterină (BH4): 16;
- ț) număr de bolnavi cu scleroză tuberoasă: 34;
- u) număr de bolnavi cu fibroză pulmonară idiopatică: 80;
- v) număr de bolnavi cu distofie musculară duchenne: 20;
- x) număr bolnavi cu angioedem ereditar: se completează după publicarea protocolului terapeutic aprobat prin ordin al ministrului sănătății și al președintelui CNAS.

2) indicatori de eficiență:

- a) cost mediu/bolnav cu boli neurologice degenerative/inflamator-imune, forme cronice/an: 34.530 lei;
- b) cost mediu/bolnav cu boli neurologice degenerative/inflamator-imune, forme acute - urgențe neurologice/an: 25.407 lei;
- c) cost mediu/bolnav cu scleroză laterală amiotrofică/an: 36.365 lei;
- d) cost mediu/bolnav cu osteogeneză imperfectă (medicamente)/an: 700 lei;
- d.1) cost mediu/bolnav cu osteogeneză imperfectă (tije telescopice)/an: 27.115 lei;
- e) cost mediu/bolnav cu boală Fabry/an: 525.941 lei*);
- f) cost mediu/bolnav cu boală Pompe/an: 1.016.049 lei*);
- g) cost mediu/bolnav cu tirozinemie/an: 196.692 lei;
- h) cost mediu/bolnav cu mucopolizaharidoză tip II (sindromul Hunter)/an: 1.398.553 lei*);
- i) cost mediu/bolnav cu mucopolizaharidoză tip I (sindromul Hurler)/an: 503.587 lei*);
- j) cost mediu/bolnav cu afibrinogenemie congenitală/an: 19.879 lei;
- k) cost mediu/bolnav cu sindrom de imunodeficiență primară/an: 25.081 lei*);
- l) cost mediu/bolnav HTAP/an: 64.963 lei;
- m) cost mediu/bolnav cu mucoviscidoză (aduți)/an: 24.503 lei;
- n) cost mediu/bolnav cu mucoviscidoză (copii)/an: 25.229 lei;
- o) cost mediu/bolnav cu epidermoliză buloasă/an: 22.794 lei;
- p) cost mediu/bolnav cu boala Prader Willi/an: 36.365 lei
- r) cost mediu/bolnav cu polineuropatie familială amiloidă cu transtiretină/an: 639.103 lei;
- s) cost mediu/bolnav cu scleroză sistemică și ulcerile digitale evolutive/an: 114.357 lei;
- ș) cost mediu/bolnav adult cu purpură trombocitopenică imună cronică splenectomizat sau nesplenectomizat/an: 109.232 lei*);
- t) cost mediu/bolnav cu hiperfenilalaninemie care a fost diagnosticat cu fenilcetonurie sau deficit de tetrahidrobiopterină (BH4)/an: 156.936 lei*);
- ț) cost mediu/bolnav cu scleroză tuberoasă/an: 180.522 lei*);
- u) cost mediu/bolnav cu fibroză pulmonară idiopatică/an: 78.210 lei
- v) cost mediu/bolnav cu distofie musculară Duchenne/an: 1.485.905 lei *)

x) cost mediu/bolnav cu angioedem ereditar: se completează după publicarea protocolului terapeutic aprobat prin ordin al ministrului sănătății și al președintelui CNAS.

*) Costul prevăzut la lit. e), f), h), i), k), ș), t) ț) și v) reprezintă costul mediu/bolnav la nivel național, iar repartizarea sumelor se realizează pentru fiecare bolnav în funcție de doza necesară recomandată individual.

Natura cheltuielilor programului:

- cheltuieli pentru medicamente specifice;
- materiale sanitare specifice pentru bolnavii cu epidermoliză buloasă și bolnavii cu osteogeneză imperfectă.

Unități care derulează programul:

1) boli neurologice degenerative/inflamator-imune, forme cronice:

Secții/compartimente de specialitate neurologie din:

- a. Institutul Național de Neurologie și Boli Neurovasculare București;
- b. Spitalul Universitar de Urgență București;
- c. Institutul Clinic Fundeni;
- d. Spitalul Clinic Colentina;
- e. Spitalul Clinic de Urgență "Prof. Dr. N. Oblu" Iași;
- f. Spitalul de Recuperare Iași;
- g. Spitalul Clinic Județean de Urgență Timișoara;
- h. Spitalul Clinic Județean de Urgență Cluj-Napoca;
- i. Spitalul Clinic Județean de Urgență Târgu Mureș;
- j. Spitalul Clinic de Psihiatrie "Prof. Dr. Al. Obregia" - Clinica neurologie pediatrică;
- k. Spitalul de Urgență "Prof. dr. Agripa Ionescu";
- l. Spitalul Universitar de Urgență Militar Central "Dr. Carol Davila" București;
- m. Spitalul Clinic Județean de Urgență Oradea;
- n. Spitalul Universitar de Urgență Elias;
- o. Spitalul Clinic Municipal "Dr. Gavril Curteanu" Oradea;
- p. Spitalul Județean de Urgență "Dr. Constantin Opreș" Baia Mare.

2) boli neurologice degenerative/inflamator-imune, forme acute - urgențe neurologice:

Secții/compartimente de specialitate neurologie din:

- a. Institutul Național de Neurologie și Boli Neurovasculare București;
- b. Spitalul Universitar de Urgență București;
- c. Institutul Clinic Fundeni București;
- d. Spitalul Clinic Colentina;
- e. Spitalul Clinic de Urgență "Prof. Dr. N. Oblu" Iași;
- f. Spitalul Clinic Județean de Urgență Timișoara;
- g. Spitalul Clinic Județean de Urgență Cluj-Napoca;
- h. Spitalul Clinic Județean de Urgență Târgu Mureș;
- i. Spitalul Clinic de Psihiatrie "Prof. Dr. Al. Obregia" - Clinică neurologie pediatrică;
- j. Spitalul Universitar de Urgență Militar Central "Dr. Carol Davila" București;
- k. Spitalul Universitar de Urgență Elias;
- l. Spitalul Clinic Județean de Urgență Oradea;
- m. Spitalul Clinic de Urgență București;
- n. Spitalul Clinic Municipal "Dr. Gavril Curteanu" Oradea.

3) *scleroză laterală amiotrofică:*

- farmacii cu circuit deschis aflate în relație contractuală cu casele de asigurări de sănătate;

4) *osteogeneza imperfectă:*

- medicamente:

- a. Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Grigore Alexandrescu", București;
- b. Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "M.S. Curie", București;
- c. Spitalul Clinic Județean Mureș;

- tije telescopice:

- a. Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "M.S. Curie" București;
- b. Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Grigore Alexandrescu" București;

5) *boala Fabry:*

- a. Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Sf. Maria" Iași - Clinica IV pediatrie;
- b. Spitalul Clinic Județean de Urgență Constanța - Secția hematologie-interne;
- c. Spitalul Universitar de Urgență București - Secția clinică neurologie;
- d. Spitalul Județean de Urgență Focșani;
- e. Spitalul Clinic Județean de Urgență Cluj - Clinica de nefrologie;
- f. Spitalul Clinic "Dr. C. I. Parhon" Iași;
- g. Spitalul Clinic Județean Ilfov "Sfinții Împărați Constantin și Elena";
- h. Spitalul Județean de Urgență Pitești;
- i. Spitalul Clinic Județean de Urgență Oradea;
- j. Institutul Clinic Fundeni;
- k. Spitalul Județean de Urgență Bacău;
- l. Spitalul Clinic Județean de Urgență Craiova;

6) *boala Pompe:*

- a. Spitalul Județean de Urgență Ialomița;
- b. Spitalul Clinic Județean de Urgență Constanța;
- c. Spitalul Județean de Urgență "Sf. Ioan cel Nou" Suceava;
- d. Spitalul Clinic Județean de Urgență Târgu Mureș;
- e. Spitalul Militar de Urgență „Regina Maria” Brașov;
- f. Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii “Sf. Maria” Iași.

7) *tirozinemia:*

- a. Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Sf. Ioan" - Galați;
- b. Spitalul de Pediatrie Pitești;
- c. Spitalul Municipal Caracal;
- d. Spitalul Clinic Județean de Urgență Constanța "Sfântul Apostol Andrei";

8) *mucopolizaharidoză tip II (sindromul Hunter):*

- a. Spitalul Județean de Urgență "Dr. Constantin Opreș" Baia Mare - secția de pediatrie;
- b. Spitalul Municipal Caritas - Roșiorii de Vede;
- c. Spitalul Clinic Județean de Urgență Arad - secția de pediatrie;

- d. Spitalul Județean de Urgență Mavromati Botoșani;
- e. Spitalul Clinic de Copii Brașov;
- f. Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Louis Țurcanu" Timișoara;
- g. Spitalul Județean de Urgență Sf. Gheorghe;
- h. Spitalul Clinic Județean de Urgență Târgu Mureș;
- i. Spitalul Clinic Județean de Urgență Slatina;
- j. Spitalul Clinic Județean de Urgență Craiova;
- k. Spitalul Județean de Urgență Tulcea;
- l. Spitalul Județean de Urgență Brăila;
- m. Spitalul Județean de Urgență Târgu Jiu;
- n. Spitalul de Pediatrie Pitești.

9) *mucopolizaharidoză tip I (sindromul Hurler):*

- a. Institutul pentru Ocrotirea Mamei și Copilului "Prof. Dr. Alfred Rusescu" București;
- b. Spitalul Clinic Municipal "Dr. G. Curteanu" Oradea;
- c. Spitalul Județean de Urgență "Dr. Fogolyan Kristof" Sfântu Gheorghe;

10) *afibrinogenemie congenitală:*

- a. Spitalul Județean de Urgență Bacău;
- b. Spitalul Orășenesc Vișeu de Sus;

11) *sindrom de imunodeficiență primară:*

- a. Institutul Regional de Gastroenterologie-Hepatologie "Prof. Dr. Octavian Fodor" Cluj-Napoca;
- b. Spitalul Județean de Urgență "Dr. Constantin Oprea" Baia Mare;
- c. Spitalul Județean Bacău;
- d. Spitalul Clinic Județean de Urgență Brașov;
- e. Spitalul Clinic Județean de Urgență "Sf. Spiridon" Iași;
- f. Spitalul Clinic Județean de Urgență Târgu Mureș;
- g. Spitalul Județean de Urgență Deva;
- h. Spitalul Județean de Urgență Satu Mare;
- i. Spitalul Județean de Urgență Zalău;
- j. Spitalul Clinic Județean de Urgență Sibiu;
- k. Spitalul Clinic Municipal de Urgență Timișoara;
- l. Spitalul Clinic de Urgență Militar Central "Dr. Carol Davila" București;
- m. Spitalul Clinic de Urgență Arad;
- n. Spitalul Județean de Urgență Târgu Jiu;
- o. Spitalul Județean de Urgență Buzău;
- p. Spital Clinic de Copii Brașov;
- q. Institutul pentru Ocrotirea Mamei și Copilului "Prof. Dr. Alfred Rusescu" București;
- r. Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii Cluj-Napoca;
- s. Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Prof. Dr. Louis Țurcanu" Timișoara;

ș) Spitalul Clinic Județean de Urgență Craiova;

t) Spitalul Județean de Urgență Buzău;

ț) Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Sf. Maria" Iași;

12) mucoviscidoza:

- farmacii cu circuit deschis aflate în relație contractuală cu casele de asigurări de sănătate;

13) epidermoliza buloasă:

- medicamente și materiale sanitare specifice:

- a. Spitalul Clinic Colentina;
- b. Spitalul Clinic Județean de Urgență Craiova;
- c. Spitalul Clinic Județean de Urgență "Sf. Spiridon" Iași;
- d. Spitalul Clinic Municipal de Urgență Timișoara;
- e. Spitalul Clinic Județean de Urgență Cluj; Spitalul Clinic Județean Mureș;

14) hipertensiune arterială pulmonară:

a) pentru copii:

- a.1) Institutul de Urgență pentru Boli Cardiovasculare și Transplant Târgu Mureș;
- a.2) Institutul Inimii de Urgență pentru Boli Cardiovasculare "Nicolae Stăncioiu" Cluj-Napoca;
- a.3) Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Louis Țurcanu" Timișoara;
- a.4) Institutul de Urgență pentru Boli Cardiovasculare "Prof. dr. C.C. Iliescu" București;
- a.5) Spitalul Clinic de Copii "Dr. Victor Gomoiu" București;
- a.6) Spitalul Clinic Județean de Urgență Oradea;

b) pentru adulți:

- b.1) Institutul de Pneumoftiziologie "Prof. Dr. Marius Nasta" București;
- b.2) Institutul de Urgență pentru Boli Cardiovasculare "Prof. Dr. C.C. Iliescu";
- b.3) Spitalul Clinic de Pneumologie Iași;
- b.4) Spitalul de Boli Infecțioase și Pneumologie "Victor Babeș" Timișoara;
- b.5) Institutul Inimii de Urgență pentru Boli Cardiovasculare "Nicolae Stăncioiu" Cluj-Napoca;
- b.6) Spitalul Clinic Județean de Urgență Târgu-Mureș;
- b.7) Spitalul Clinic Județean de Urgență Oradea;

15) Sindromul Prader Willi:

- farmacii cu circuit deschis aflate în relație contractuală cu casele de asigurări de sănătate;

16) *Polineuropatia familială amiloidă cu transtiretină:*

- a. Institutul Clinic Fundeni București;
- b. Spitalul Universitar de Urgență București.

17) *Scleroza sistemică și ulcerale digitale evolutive:*

- a. Spitalul Clinic Sfânta Maria București;
- b. Spitalul Clinic Dr. Ioan Cantacuzino București;
- c. Spitalul Clinic Colentina;
- d. Spitalul Clinic Județean de Urgență Cluj-Napoca;
- e. Spitalul Clinic Județean de Urgență Târgu Mureș;
- f. Spitalul Clinic de Recuperare Iași;
- g. Spitalul Clinic Județean de Urgență Constanța.

18) *Purpura trombocitopenică imună cronică la adulții splenectomiizați și nesplenectomiizați:*

- a. Institutul Clinic Fundeni București;
- b. Spitalul Clinic Colțea;
- c. Spitalul Clinic Județean de Urgență "Sf. Spiridon" Iași;
- d. Institutul Oncologic "Prof. dr. I. Chiricuță" Cluj-Napoca;
- e. Spitalul Clinic Municipal de Urgență Timișoara;
- f. Spitalul Clinic Județean de Urgență Brașov;
- g. Spitalul Municipal Ploiești;
- h. Spitalul Clinic Județean de Urgență Sibiu;
- i. Spitalul Județean de Urgență " Dr. Constantin Opreș" Baia Mare.

19) *Hiperfenilalaninemia la bolnavii diagnosticați cu fenilcetonurie sau deficit de tetrahidrobiopterină (BH4):*

- a. Institutul pentru Ocrotirea Mamei și Copilului "Prof. Dr. Alfred Rusescu" București;
- b. Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii Cluj-Napoca;
- c. Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Louis Țurcanu" Timișoara;
- d. Spitalul Clinic Județean de Urgență Târgu Mureș;
- e. Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Sf. Maria" Iași;
- f. Spitalul Județean de Urgență Cluj-Napoca;
- g. Institutul Național de Diabet, Nutriție și Boli Metabolice "Prof. Dr. N. Paulescu" București.

20) *Scleroza tuberoasă:*

- a. Spitalul Clinic de Psihiatrie "Prof. Dr. Alexandru Obregia" București;
- b. Spitalul Universitar de Urgență București;
- c. Institutul Clinic Fundeni