

## 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);

b) tratamentul bolnavilor cu osteogeneză imperfectă;

c) tratamentul bolnavilor cu boala Pompe;

d) tratamentul bolnavilor cu tirozinemie;

e) tratamentul bolnavilor cu mucopolizaharidoză tip II (sindromul Hunter);

f) tratamentul bolnavilor cu mucopolizaharidoză tip I (sindromul Hurler);

g) tratamentul bolnavilor cu afibrinogenemie congenitală;

h) tratamentul bolnavilor cu sindrom de imunodeficiență primară;

i) tratamentul bolnavilor cu epidermoliză buloasă;

j) tratamentul sclerozei sistemice și ulcerelor digitale evolutive;

k) tratamentul hiperfenilalaninemiei la bolnavii diagnosticați cu fenilcetonurie sau deficit de tetrahidrobiopterină (BH4);

l) tratamentul sclerozei tuberoase;

m) tratamentul bolnavilor cu HTAP;

n) tratamentul bolnavilor cu atrofie musculară spinală;

o) tratamentul bolnavilor adulți cu boala Castelman;

p) mucopolizaharidoză tip IV A (sindromul Morquio);

q) tratamentul afecțiunii de deficit de tripeptidil peptidază 1 (TPP1);

r) tratamentul bolnavilor cu amiloidoză cu transtiretină;

s) tratamentul medicamentos al bolnavilor cu sindrom hemolitic uremic atipic (SHUa);

ș) tratamentul medicamentos al bolnavilor cu hemoglobinurie paroxistică nocturnă (HPN)".

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

g) tratamentul bolnavilor cu neuropatie optică ereditară Leber

h) limfangioleiomiomatoză

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;

5) asigurarea în spital și în ambulatoriu, prin farmaciile cu circuit închis, respectiv asigurarea în ambulatoriu, prin farmaciile cu circuit deschis, a medicamentelor specifice pentru:

a) purpură trombocitopenică imună idiopatică cronică;

b) boala Fabry

## **Criterii de eligibilitate**

- pentru a beneficia de tratament bolnavii trebuie să îndeplinească criteriile de includere prevăzute în ordinul ministrului sănătății și al președintelui Casei Naționale de Asigurări de Sănătate pentru aprobarea protocoalelor terapeutice privind prescrierea medicamentelor aferente denumirilor comune internaționale prevăzute în Lista cuprinzând denumirile comune internaționale corespunzătoare medicamentelor de care beneficiază asigurații, cu sau fără contribuție personală, pe bază de prescripție medicală, în sistemul de asigurări sociale de sănătate, precum și denumirile comune internaționale corespunzătoare medicamentelor care se acordă în cadrul programelor naționale de sănătate, aprobată prin Hotărârea Guvernului nr. 720/2008, republicată, cu modificările și completările ulterioare, și a normelor metodologice privind implementarea acestora.

### **Indicatori de evaluare:**

#### **1) indicatori fizici:**

- a) număr de bolnavi cu boli neurologice degenerative/inflamator-imune forme cronice/an: 288;
- b) număr de bolnavi cu boli neurologice degenerative/inflamator-imune forme acute - urgențe neurologice/an: 333;
- c) număr de bolnavi cu scleroză laterală amiotrofică/an: 733;
- d) număr de bolnavi cu osteogeneză imperfectă (medicamente)/an: 19;
- d.1) număr de bolnavi cu osteogeneză imperfectă (tije telescopice)/an: 11;
- e) număr de bolnavi cu boala Fabry/an: 44;
- f) număr de bolnavi cu boala Pompe/an: 11;
- g) număr de bolnavi cu tirozinemie/an: 3;
- h) număr de bolnavi cu mucopolizaharidoză tip II (sindromul Hunter)/an: 17;
- i) număr de bolnavi cu mucopolizaharidoză tip I (sindromul Hurler)/an: 6;
- j) număr de bolnavi cu afibrinogenemie congenitală/an: 2;
- k) număr de bolnavi cu sindrom de imunodeficiență primară/an: 191;
- l) număr de bolnavi cu HTAP/an: 526;
- m) număr de bolnavi cu mucoviscidoză (adultți)/an: 178;
- n) număr de bolnavi cu mucoviscidoză (copii)/an: 454;
- o) număr de bolnavi cu epidermoliză buloasă - medicamente/an: 82;
- o1) număr de bolnavi cu epidermoliză buloasă – materiale sanitare/an: 92;
- p) număr de bolnavi cu sindromul Prader Willi/an: 39;
- r) număr de bolnavi cu amiloidoză cu transtiretină/an:
  - r.1) cu afectare neurologică/an: 26;
  - r.2) cu afectare cardiacă sau formă mixtă/an: 40;
- s) număr de bolnavi cu scleroză sistemică și ulcere digitale evolutive/an: 170;
- ș) număr de bolnavi cu purpură trombocitopenică imună idiopatică cronică/an: 339;
- t) număr de bolnavi cu hiperfenilalaninemie care au fost diagnosticați cu fenilcetonurie sau deficit de tetrahidrobiopterină (BH4)/an: 19;
- ț) număr de bolnavi cu scleroză tuberoasă/an: 66;
- u) număr de bolnavi cu fibroză pulmonară idiopatică/an: 255;
- v) număr de bolnavi cu distrofie musculară Duchenne/an: 31;
- w) număr de bolnavi cu angioedem ereditar/an: 141;
- x) număr de bolnavi cu neuropatie optică ereditară Leber/an: 16;
- y) număr de bolnavi cu atrofie musculară spinală/an: 186;
- z) număr de bolnavi cu boala Castelman/an: 6;
- aa) număr de bolnavi mucopolizaharidoză tip IV A (sindromul Morquio)/an: 3;
- ab) număr bolnavi cu deficit de tripeptidil peptidază-1 (TPP1)/an: 3;
- ac) număr bolnavi cu limfangioleiomiomatoză/an: 11;

- ad) ) număr bolnavi cu sindrom hemolitic uremic atipic (SHUa)/an: 10;
- ae) număr bolnavi cu hemoglobinurie paroxistică nocturnă (HPN)/an: 12”.

## 2) indicatori de eficiență:

- a) cost mediu/bolnav cu boli neurologice degenerative/inflamator-imune, forme cronice/an: 59.382 lei;
- b) cost mediu/bolnav cu boli neurologice degenerative/inflamator-imune, forme acute - urgențe neurologice/an: 37.123 lei;
- c) cost mediu/bolnav cu scleroză laterală amiotrofică/an: 2.718 lei;
- d) cost mediu/bolnav cu osteogeneză imperfectă (medicamente)/an: 488 lei;
- d.1) cost mediu/bolnav cu osteogeneză imperfectă (tije telescopice)/an: 26.615 lei;
- e) cost mediu/bolnav cu boală Fabry/an: 564.922 lei\*);
- f) cost mediu/bolnav cu boală Pompe/an: 1.229.939 lei\*);
- g) cost mediu/bolnav cu tirozinemie/an: 155.151 lei;
- h) cost mediu/bolnav cu mucopolizaharidoză tip II (sindromul Hunter)/an: 1.197.137 lei\*);
- i) cost mediu/bolnav cu mucopolizaharidoză tip I (sindromul Hurler)/an: 792.748 lei\*);
- j) cost mediu/bolnav cu afibrinogenemie congenitală/an: 42.555 lei;
- k) cost mediu/bolnav cu sindrom de imunodeficiență primară/an: 62.894 lei\*);
- l) cost mediu/bolnav HTAP/an: 47.362 lei;
- m) cost mediu/bolnav cu mucoviscidoză (adulti)/an: 28.486 lei;
- n) cost mediu/bolnav cu mucoviscidoză (copii)/an: 18.257 lei;
- o) cost mediu/bolnav cu epidermoliză buloasă- medicamente /an: 622 lei;
- o1) cost mediu/bolnav cu epidermoliză buloasă – materiale sanitare /an: 15.161 lei;
- p) cost mediu/bolnav cu boala Prader Willi/an: 13.202 lei;
- r) cost mediu/bolnav cu amiloidoză cu transtiretină/an:
  - r.1) cu afectare neurologică/an: 1.151.063,06 lei;
  - r.2) cu afectare cardiacă sau formă mixtă/an: 700.000 lei;
- s) cost mediu/bolnav cu scleroză sistemică și ulcerile digitale evolutive/an: 12.561 lei;
- ș) cost mediu/bolnav cu purpură trombocitopenică imună idiopatică cronică/an: 100.681 lei\*);
- t) cost mediu/bolnav cu hiperfenilalaninemie care a fost diagnosticat cu fenilcetonurie sau deficit de tetrahidrobiopterină (BH4)/an: 110.179 lei\*);
- ț) cost mediu/bolnav cu scleroză tuberoasă/an: 115.106 lei\*);
- u) cost mediu/bolnav cu fibroză pulmonară idiopatică/an: 66.629 lei;
- v) cost mediu/bolnav cu distrofie musculară Duchenne/an: 1.249.007 lei\*);
- w) cost mediu/bolnav cu angioedem ereditar: 125.086 lei\*);
- x) cost mediu/bolnav cu neuropatie optică ereditară Leber: 152.659 lei;
- y) cost mediu/bolnav cu atrofie musculară spinală: 1.533.303 lei\*);
- z) cost mediu/bolnav cu boala Castelman/an: 72.236 lei\*);
- aa) cost mediu/bolnav cu mucopolizaharidoză tip IV A (sindromul Morquio)/an: 995.862 lei
- ab) cost mediu/bolnav cu deficit de tripeptidil peptidază-1 (TPP1)/an: 2.370.707 lei;
- ac) cost mediu/bolnav cu limfangioleiomiomatoză/an: 10.560 lei;
- ad) cost mediu/bolnav adult / copil cu greutate > 40 Kg cu sindrom hemolitic uremic atipic (SHUa)/an: 1.797.313,10 lei;
- ae) cost mediu/bolnav copil cu greutate < 40 Kg cu sindrom hemolitic uremic atipic (SHUa)/an: 731.179,65 lei\*);
- af) cost mediu/bolnav cu hemoglobinurie paroxistică nocturnă (HPN)/an: 1.209.101,54 lei

\*) Costul prevăzut la lit. e), f), h), i), k), ș), t), ț), v), w), y), z) și ae) 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:**

- 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 Județean de Urgență "Dr. Constantin Opreș" Baia Mare;
- p) Spitalul Județean de Urgență "Sf. Ioan cel Nou" Suceava;
- q) Spitalul Clinic Județean de Urgență "Sf. Apostol Andrei" - Constanța;
- r) Spitalul Județean de Urgență Satu Mare;
- s) Spitalul Militar de Urgență "Dr. Constantin Papilian" Cluj;
- ș) Spitalul Clinic de copii "Dr. Victor Gomoiu" București;
- t) Spitalul Clinic Județean de Urgență "Sf. Apostol Andrei" - Galați;
- ț) Spitalul Județean de Urgență Piatra – Neamț;

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

- 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 Județean de Urgență "Sf. Ioan cel Nou" Suceava;
- o) Spitalul Clinic Județean de Urgență "Sf. Apostol Andrei" - Constanța;
- p) Spitalul Clinic Județean de Urgență "Sf. Apostol Andrei" - Galați;
- q) Spitalul Județean de Urgență Satu Mare;

- r) Spitalul Județean de Urgență Brăila;
- s) Spitalul Militar de Urgență "Dr. Constantin Papilian" Cluj;
- ș) Spitalul Clinic de copii "Dr. Victor Gomoiu" București;
- t) Spitalul Județean de Urgență "Dr. Constantin Opriș" Baia Mare;
- ț) Spitalul Județean de Urgență Piatra – Neamț;

### 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;
- d) Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Sf. Maria" Iași;

- tije telescopice:

- a) Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "M. S. Curie" București;
- b) Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Grigore Alexandrescu" București;
- c) Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Sf. Maria" Iași;
- d) Spitalul Clinic de Copii "Dr. Victor Gomoiu" București;

### 5) boala Fabry:

- a) Spitalul Clinic Județean de Urgență "Sf. Apostol Andrei" - Constanța;
- b) Spitalul Universitar de Urgență București - Secția clinică neurologie;
- c) Spitalul Județean de Urgență Focșani;
- d) Spitalul Clinic Județean de Urgență Cluj - Clinica de nefrologie;
- e) Spitalul Clinic "Dr. C. I. Parhon" Iași;
- f) Spitalul Clinic Județean Ilfov "Sfinții Împărați Constantin și Elena";
- g) Spitalul Județean de Urgență Pitești;
- h) Spitalul Clinic Județean de Urgență Oradea;
- i) Institutul Clinic Fundeni;
- j) Spitalul Județean de Urgență Bacău;
- k) Spitalul Clinic Județean de Urgență Craiova;
- l) Spitalul Județean de Urgență "Sf. Ioan cel Nou" Suceava;
- m) Spitalului Județean de Urgență Alexandria;
- n) Spitalul Județean de Urgență Slatina;
- o) Spitalul Municipal de Urgență "Elena Beldiman" Bârlad;
- p) Spitalul Clinic Județean de Urgență Arad;
- q) Spitalul Clinic Județean de Urgență Târgu Mureș;
- r) Spitalul Municipal de Urgență Roman;
- s) Spitalul de Pediatrie Pitești.

### 6) boala Pompe:

- a) Spitalul Județean de Urgență Ialomița;
- b) Spitalul Clinic Județean de Urgență Constanța;
- c) Spitalul Clinic Județean de Urgență Târgu Mureș;
- d) Spitalul Militar de Urgență "Regina Maria" Brașov;
- e) Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Sf. Maria" Iași;
- f) Spitalul Clinic Județean de Urgență Craiova;
- g) Spitalul Clinic Județean de Urgență "Pius Brânzeu" Timișoara;
- h) Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "M. S. Curie" București;
- i) Spitalul Clinic "dr. C.I. Parhon" Iași;
- j) Spitalul Județean de Urgență Reșița;

**7) tirozinemia:**

- a) Spitalul de Pediatrie Pitești;
- b) Spitalul Municipal Caracal;
- c) Spitalul Clinic Județean de Urgență Constanța "Sfântul Apostol Andrei";
- d) Spitalul Clinic Județean de Urgență Târgu Mureș;
- e) Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Luis Țurcanu" Timișoara;
- f) Spitalul Județean de Urgență Pitești;

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

- a) Spitalul Județean de Urgență "Dr. Constantin Opriș" Baia Mare
- b) Spitalul Municipal Caritas - Roșiorii de Vede;
- c) Spitalul Clinic Județean de Urgență Arad
- 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 de Pediatrie Pitești;
- l) Spitalul Clinic de Copii "Grigore Alexandrescu" București;
- m) Spitalul de Pediatrie Ploiești;
- n) Spitalul Clinic Județean de Urgență Brașov;
- o) Spitalul Clinic Județean de Urgență Oradea;
- p) Spitalul Județean de Urgență Alexandria;
- q) Spitalul Județean de Urgență Târgoviște;
- r) Spitalul Județean de Urgență "Sfântul Ioan cel Nou" Suceava;
- s) Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Sf. Ioan" - Galați;

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

- a) Institutul pentru Ocrotirea Mamei și Copilului "Prof. Dr. Alfred Rusescu" București;
- b) Spitalul Clinic Județean de Urgență Oradea;
- c) Spitalul Județean de Urgență "Dr. Fogolyan Kristof" Sfântu Gheorghe;
- d) Spitalul Județean de Urgență Bacău;
- e) Spitalul Orășenesc Bolintin-Vale;
- f) Spitalul Clinic Județean de Urgență Târgu Mureș;
- g) Spitalul Județean de Urgență Deva;
- h) Spitalul Județean de Urgență Satu Mare;

**10) afibrinogenemie congenitală:**

- a) Spitalul Județean de Urgență Bacău;
- b) Spitalul Clinic Județean de Urgență "Sf. Spiridon" Iași;

**11) sindrom de imunodeficiență primară:**

- a) Institutul Regional de Gastroenterologie-Hepatologie "Prof. Dr. Octavian Fodor" Cluj-Napoca;
- b) Spitalul Județean de Urgență "Dr. Constantin Opriș" 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;
- u) Spitalul Clinic Județean de Urgență Oradea;

**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;
- a.7) Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Sf. Maria" Iași.

**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;
- b.8) Spitalul Municipal Odorheiu Secuiesc;

**15) Sindromul Prader Willi:**

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

**16) Amiloidoză cu transtiretină:**

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

- c) Spitalul Județean de Urgență "Sfântul Ioan cel Nou" Suceava;
- d) Institutul de Urgență pentru Boli Cardiovasculare "Prof. Dr. C. C. Iliescu";

**17) Scleroza sistemică și ulcerele 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;
- h) Spitalul Clinic Județean de Urgență Arad;
- i) Centrul de boli reumatismale "Dr. Ion Stoia" - București;
- j) Spitalul Municipal Odorheiu Secuiesc.

**18) Purpură trombocitopenică imună idiopatică cronică:**

- a) farmacii cu circuit deschis.
- b) Institutul Clinic Fundeni București;
- c) Spitalul Clinic Colțea București;
- d) Spitalul Clinic Județean de Urgență "Sf. Spiridon" Iași;
- e) Institutul Oncologic "Prof. Dr. I. Chiricuță" Cluj-Napoca;
- f) Spitalul Clinic Municipal de Urgență Timișoara;
- g) Spitalul Clinic Județean de Urgență Brașov;
- h) Spitalul Municipal Ploiești;
- i) Spitalul Clinic Județean de Urgență Sibiu;
- j) Spitalul Județean de Urgență "Dr. Constantin Opreș" Baia Mare;
- k) Spitalul Universitar de Urgență Militar Central "Dr. Carol Davila" București;
- l) Spitalul Universitar de Urgență București;
- m) Spitalul Clinic Județean de Urgență Oradea;
- n) Spitalul Județean de Urgență "Sf. Pantelimon" Focșani;
- o) Spitalul Clinic Municipal "Filantropia" Craiova;
- p) Spitalul Clinic Județean de Urgență Târgu Mureș;
- q) Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii Cluj-Napoca;
- r) Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Sf. Maria" Iași;
- s) Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Louis Țurcanu" Timișoara;
- ș) Institutul pentru Ocrotirea Mamei și Copilului "Prof. Dr. Alfred Rusescu" București;
- t) Spitalul Clinic Județean de Urgență "Sf. Apostol Andrei" Constanța;
- ț) Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "M.S. Curie" - București;
- u) Spitalului Clinic Județean de Urgență Arad;
- v) Spitalul Județean de Urgență Bistrița;
- w) Spitalul Județean de Urgență Ploiești;
- x) Spitalul Județean de Urgență Brăila;
- y) Spitalul Județean de Urgență Vâlcea;
- z) Spitalul Municipal Odorheiu Secuiesc;
- aa) Spitalul Județean de Urgență Piatra-Neamț;
- ab) Spitalul Județean de Urgență Reșița;
- ac) Spitalul Județean de Urgență Pitești;
- ad) Spitalul Clinic Colentina București;
- ae) Spitalul Județean de Urgență „Dr. Fogolyan Kristof” Sf. Gheorghe.

**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;
- d) Spitalul Clinic Județean de Urgență Cluj-Napoca;
- e) Spitalul Clinic Județean de Urgență "Pius Brânzeu" Timișoara;
- f) Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii - Brașov;
- g) Spitalul Clinic Județean Mureș;
- h) Spitalul Clinic de Pediatrie Sibiu;
- i) Spitalul Clinic C. I. Parhon Iași;
- j) Spitalul Clinic de copii "Dr. Victor Gomoiu" București;

**21) Fibroză pulmonară idiopatică:**

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

**22) Distrofie musculară Duchenne:**

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

**23) Angioedem ereditar:**

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

**24) Neuropatie optică ereditară Leber:**

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

**25) Atrofie musculară spinală:**

a) Centrul național medical clinic de recuperare neuropsihomotorie pentru copii "dr. Nicolae Robănescu" București;

- b) Spitalul Clinic Județean de Urgență pentru Copii Cluj-Napoca;
- c) Spitalul Clinic de Psihiatrie "Prof. Dr. Alexandru Obregia" București;
- d) Spitalul Clinic de Copii "Dr. Victor Gomoiu" București;
- e) Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Louis Țurcanu" Timișoara;
- f) Spitalul Clinic de Pediatrie Sibiu;
- g) Institutul Clinic Fundeni;
- h) Spitalul Clinic Județean de Urgență "Sf. Apostol Andrei" - Constanța;
- i) Spitalul Clinic de Urgență "Prof. Dr. Agrippa Ionescu" București;
- j) Spitalul Clinic Căi Ferate - Timișoara;
- k) Spitalul Clinic Municipal Cluj-Napoca;
- l) Spitalul Clinic Județean de Urgență Târgu Mureș;
- m) Spitalul Clinic Județean de Urgență "Pius Brânzeu" Timișoara;

**26) Boala Castelman:**

- a) Institutul Oncologic "Prof. Dr. Ion Chiricuță" - Cluj-Napoca;
- b) Spitalul Clinic Colentina București;
- c) Institutul Clinic Fundeni București;

**27) Mucopolizaharidoză tip IVA (sindromul Morquio):**

- a) Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Louis Țurcanu" Timișoara;
- b) Spitalul Clinic "Dr. Ioan Cantacuzino" București;

**28) Deficit de tripeptidil peptidază-1 (TPP1):**

- Spitalul Clinic de Psihiatrie "Prof. Dr. Al. Obregia București";
- 29) Hemoglobinurie paroxistică nocturnă:**
  - Asociația Oncohelp Timișoara
- 30) Sindromul hemolitic uremic atipic (SHUa)**
  - Spitalul Clinic de Urgență pentru Copii "Louis Țurcanu" Timișoara