



Minister
Zdrowia



PLR2.050.48.2024.WM
Warszawa, 05 listopada 2024

Pan
Szymon Hołownia
Marszałek Sejmu
Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowny Panie Marszałku,

w odpowiedzi na interpelację nr 5513 Pani Marceliny Zawiszy, Posłanki na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej, w sprawie dostępu do leczenia hemofilii refundowanym emicizumabem, Minister Zdrowia przedstawia stanowisko w sprawie.

Leczenie hemofilii w Polsce realizowane jest w ramach dwóch kluczowych programów. Pierwszy to *program „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”*, zapewniający profilaktyczne leczenie dzieciom do 18. roku życia, a drugi to *„Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne”*, który zapewnia leczenie dla osób dorosłych, a także sytuacje nadzwyczajne w przypadku wystąpienia krwawień lub konieczności wykonania zabiegów chirurgicznych u dzieci do 18. roku życia.

Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024–2028, który koordynuje Narodowe Centrum Krwi, stanowi kontynuację działań Ministra Zdrowia w zakresie leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych oraz prawidłowego zabezpieczenia w koncentraty czynników krzepnięcia. Celem programu jest zapewnienie skutecznego, dostępnego i kompleksowego leczenia dla osób chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne. Program ten uwzględnia rozwój oraz implementację nowoczesnych terapii, a także umożliwia wdrożenie nowych terapii u pacjentów.

W ramach programu zapewniony jest szeroki dostęp do różnorodnych koncentratów czynników krzepnięcia, w tym także tych o przedłużonym działaniu, które są kupowane w ramach procedur zamówienia publicznego.

Ponadto, dla coraz większej liczby pacjentów przewidziana jest opcja dostaw domowych produktów leczniczych, a w ramach programu dostępny jest również lek podskórny (*emicizumab*). Dostęp do emicizumabu zapewniany jest poprzez proces kwalifikacji pacjentów do terapii, prowadzony przez Radę Programu, w skład w której wchodzi eksperci z dziedzin medycyny, m.in.: Konsultant Krajowy ds. Hematologii, Konsultant Krajowy ds. Onkologii i Hematologii Dziecięcej, Konsultant Krajowy ds. Transfuzjologii Klinicznej, Przewodniczący Grupy ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów, eksperci z zakresu leczenia skaz krwotocznych oraz przedstawiciele organizacji pacjentów, a także Ministerstwa Zdrowie i Narodowego Centrum Krwi. Rada Programu podejmuje decyzje dotyczące objęcia pacjentów leczeniem tym preparatem, dla pacjentów wymagających zastosowania innego leczenia - chorych na ciężką postać hemofilii A powikłaną inhibitorem, u których próba wywołania immunotolerancji zakończyła się niepowodzeniem, bądź wystąpiły uzasadnione medyczne przeszkody jej przeprowadzenia.

Należy więc zauważyć, że wszyscy pacjenci z hemofilią są zabezpieczeni w profilaktykę krwawień.

Odnosząc się do kwestii przeprowadzenia procedury przetargowej na zakup ww. leku, Minister Zdrowia informuje, iż postępowanie przetargowe w sprawie zakupu substancji czynnej emicizumab prowadzone jest w trybie **przetargu nieograniczonego, którego wartość przekracza kwotę 50 mln zł**. Należy zwrócić uwagę, że w sytuacji prowadzenia takiego postępowania **niezbędne jest uzyskanie opinii Prokuratorii Generalnej**. Przygotowanie wskazanej opinii wynika z art. 18 ust 2 ustawy z dnia 15 grudnia 2016 r. o Prokuratorii Generalnej Rzeczypospolitej Polskiej (Dz. U. z 2024 r. poz. 1192), zgodnie z którą podmioty reprezentujące Skarb Państwa są obowiązane uzyskać opinię prawną Prokuratorii Generalnej w przedmiocie wzoru umowy, istotnych postanowień umowy, ogólnych warunków umowy lub projektu umowy dotyczących zamówień udzielanych na podstawie ustawy z dnia 11 września 2019 r. - Prawo zamówień publicznych, jeżeli wartość przedmiotu zamówienia przekracza kwotę 50 000 000 zł. Wniosek o

wydanie opinii prawnej przedkładać jest Prokuratorii Generalnej nie później niż na 15 dni, a w uzgodnieniu z Prezesem Prokuratorii Generalnej nie później niż na 4 dni, przed planowanym udostępnieniem dokumentów zamówienia albo zawarciem umowy, w przypadku, gdy sporządzenie specyfikacji warunków zamówienia albo opisu potrzeb i wymagań nie jest wymagane.

Dodatkowo Minister Zdrowia informuję, że zgodnie z § 12 ust. 1 zarządzenia Nr 175/2023/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 30 listopada 2023 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programu lekowe (z późn. zm.) nabycie leków niezbędnych do realizacji programów lekowych:

- 1) Leczenie niskorosłych dzieci z somatotropinową niedoczynnością przysadki,
- 2) Leczenie niskorosłych dzieci z ciężkim pierwotnym niedoborem IGF-1,
- 3) Leczenie niskorosłych dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek (PNN),
- 4) Leczenie zespołu Prader – Willi,
- 5) Leczenie niskorosłych dzieci z Zespołem Turnera (ZT),
- 6) Leczenie hormonem wzrostu niskorosłych dzieci urodzonych jako zbyt małe w porównaniu do czasu trwania ciąży (SGA lub IUGR),
- 7) Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B,
- 8) Leczenie ciężkiego niedoboru hormonu wzrostu u pacjentów dorosłych oraz u młodzieży po zakończeniu terapii promującej wzrastanie,

– odbywa się po przeprowadzeniu **wspólnego postępowania o udzielenie zamówienia publicznego**, w którym pomocnicze działania zakupowe realizuje Zakład Zamówień Publicznych przy Ministrze Zdrowia, na podstawie art. 37 ust. 2-4 ustawy z dnia 11 września 2019 r. - Prawo zamówień publicznych (Dz. U. z 2023 r. poz. 1605 i 1720), zwanej dalej "ustawą PZP".

Postępowanie, o którym mowa powyżej, przeprowadzane jest przez zamawiającego upoważnionego na podstawie art. 38 ustawy PZP, przez świadczeniodawców realizujących ww. programy lekowe.

W przypadku powyższych programów lekowych:

- 1) pkt 1-6 i 8 - świadczeniodawca realizujący co najmniej jeden z tych programów zobowiązany jest do udzielenia upoważnienia do

przeprowadzenia wspólnego postępowania o udzielenie zamówienia publicznego jednostce koordynującej, przy której funkcjonuje Zespół Koordynacyjny ds. leczenia hormonem wzrostu lub insulinopodobnym czynnikiem wzrostu, współpracującej z Zespołem Koordynacyjnym ds. stosowania hormonu wzrostu u pacjentów dorosłych oraz u młodzieży po zakończeniu terapii promującej wzrastanie;

- 2) pkt 7 - świadczeniodawca realizujący ten program zobowiązany jest do udzielenia upoważnienia do przeprowadzenia wspólnego postępowania o udzielenie zamówienia publicznego jednostce koordynującej, przy której funkcjonuje Zespół Koordynacyjny ds. kwalifikacji i weryfikacji leczenia w programie zapobiegania krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B.

Powyższe oznacza wprost, że działania mające na celu przeprowadzenie postępowania wspólnego prowadzone są przez jednostkę koordynującą, przy której funkcjonuje Zespół Koordynacyjny ds. kwalifikacji i weryfikacji leczenia w programie zapobiegania krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B, a działania pomocnicze działania zakupowe realizuje Zakład Zamówień Publicznych przy Ministrze Zdrowia, na podstawie art. 37 ust. 2-4 ustawy PZP.

Postępowanie to wymaga zebrania pełnomocnictw od jednostek prowadzących leczenie hemofilii, ustalenia warunków postępowania, uzgodnienia treści umowy i innych kluczowych elementów niezbędnych do przeprowadzenia procesu dostaw leku do bezpośrednich odbiorców.

Dodatkowo należy zauważyć, że na podstawie zgłoszenia konsultanta krajowego w dziedzinie onkologii i hematologii dziecięcej **opis programu lekowego, który wszedł w życie 1 lipca 2024 roku, został zmieniony**, poszerzając tym samym populację pacjentów, dla których terapia emicizumabem będzie dostępna. **Powyższe wpłynęło istotnie na oszacowanie zapotrzebowania na lek, który będzie zakupiony dla wstępnie zakwalifikowanej grupy pacjentów.**

W odniesieniu do pytania dotyczącego daty kwalifikacji do leczenia refundowanym emicizumabem w zastrzykach podskórnych należy zauważyć, że w Dzienniku Urzędowym Unii Europejskiej zamieszczone zostało ogłoszenie o przetargu nieograniczonym dotyczącym zakupu emicizumabu. Zgodnie z przyjętym harmonogramem, składanie ofert we wskazanym procesie przewidziane jest na dzień 4 listopada br. Po rozstrzygnięciu postępowania niezbędne będzie podpisanie

umów przez poszczególne podmioty lecznicze z wykonawcą. Należy przyjąć, że wskazany proces potrwa dodatkowo około 7 dni. Zgodnie z powyższym, lek Hemlibra (*emicizumab*) będzie dostępny w podmiotach leczniczych **w listopadzie 2024 roku.**

Kryteria kwalifikacji do terapii emicizumabem w ramach programu lekowego B.15. „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B” obejmują dzieci z ciężką hemofilią A niepowikłaną inhibitorem:

- 3) do ukończenia 2. roku życia, lub
- 4) u których występuje trudny dostęp dożylny definiowany jako konieczność usunięcia drugiego portu bądź brak możliwości założenia portu, nawet jeśli nie występowały u nich wcześniej krwawienia dostawowe, lub
- 5) u których występują co najmniej trzy krwawienia rocznie wymagających leczenia czynnikiem VIII, pomimo prawidłowo stosowanej profilaktyki czynnikiem VIII.

Pacjenci powyżej 2. roku życia, którzy nie spełniają pozostałych z wyżej wymienionych kryteriów, nie kwalifikują się do profilaktyki krwawień przy użyciu emicizumabu. **W takich przypadkach pacjenci otrzymują koncentrat czynnika krzepnięcia VIII**, który równie skutecznie zapobiega krwawieniom i pozwala im funkcjonować na poziomie zbliżonym do rówieśników.

W nawiązaniu do pytania dotyczącego zmian legislacyjnych mających skrócić czas w dostępie do nowych świadczeń lekowych, należy wyróżnić trzy różnego rodzaju sytuacje.

Pierwsza sytuacja związana jest z udostępnieniem terapii w programie lekowym, który już funkcjonuje i gdzie nie istnieją dodatkowe obwarowania odnoszące się do konieczności przeprowadzenia postępowania wspólnego. Czynności związane z zakupem tego leku prowadzi samodzielnie podmiot leczniczy (świadczeniodawca). Termin dostępności leku jest w opisanej sytuacji determinowany czynnościami niezbędnymi do podjęcia przez ten podmiot i czasem niezbędnym na ich przeprowadzenie. Tutaj należy zaznaczyć, że teoretycznie **jest możliwość, aby pacjenci otrzymali leczenie nawet od pierwszego dnia miesiąca obowiązywania obwieszczenia**, tj. np. od 1 października 2024 roku, niezależnie w stosunku do

opracowywanego zarządzenia Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia, implementującego te zmiany.

Druga sytuacja związana jest z udostępnieniem technologii lekowej finansowanej w programie lekowym, wymienionym w §12 ust. 1. zarządzenia Nr 175/2023/DGL Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia z dnia 30 listopada 2023 r. w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy lekowe (z późn. zm.), tj., jeśli dotyczy jednego z poniższych programów:

- 1) Leczenie niskorosłych dzieci z somatotropinową niedoczynnością przysadki,
- 2) Leczenie niskorosłych dzieci z ciężkim pierwotnym niedoborem IGF-1,
- 3) Leczenie niskorosłych dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek (PNN),
- 4) Leczenie zespołu Prader – Willi,
- 5) Leczenie niskorosłych dzieci z Zespołem Turnera (ZT),
- 6) Leczenie hormonem wzrostu niskorosłych dzieci urodzonych jako zbyt małe w porównaniu do czasu trwania ciąży (SGA lub IUGR),
- 7) Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B,
- 8) Leczenie ciężkiego niedoboru hormonu wzrostu u pacjentów dorosłych oraz u młodzieży po zakończeniu terapii promującej wzrastanie.

Jak wskazywano powyżej, **wymagane jest podjęcie szeregu dodatkowych czynności związanych z procesem postępowania wspólnego**. Wskazane działania i ich termin wynika z wielu czynników, między innymi liczby ośrodków, z których należy uzyskać pełnomocnictwa, rzetelności przedstawionych dokumentów oraz terminów wynikających z Prawa Zamówień Publicznych i ustalonej pilności postępowania, która determinuje czas na składanie ofert w postępowaniu.

Trzecia sytuacja to objęcie finansowaniem nowego świadczenia gwarantowanego jakim jest program lekowy. W opisanej sytuacji niezbędne jest podjęcie szeregu czynności przez Narodowy Fundusz Zdrowia poprzedzających udostępnienie technologii lekowej pacjentom:

- 1) Przygotowanie zarządzenia Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia w sprawie określenia warunków zawierania i realizacji umów w rodzaju leczenie szpitalne w zakresie programy lekowe.

- 2) Po wydaniu zarządzenia Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia, aktualizacja Planów zakupów świadczeń opieki zdrowotnej odnoszących się do objętych refundacją programów lekowych.
- 3) Ogłoszenie postępowań konkursowych mających na celu zawarcie umów w rodzaju Leczenie szpitalne – programy lekowe.
- 4) Obustronne podpisanie umów przez świadczeniodawców z właściwym oddziałem wojewódzkim.
- 5) Rozpoczęcie przez podmioty lecznicze procedury przetargowej w celu zakupu leku do realizacji programu lekowego.

Minister Zdrowia oraz Narodowy Fundusz Zdrowia są świadomie istnienia opóźnień w zakresie dostępności do nowo objętych refundacją leków.

W omawianej sprawie toczą się prace koncepcyjne i Minister Zdrowia liczy, że uda się wypracować rozwiązanie, które będzie zarówno zabezpieczać potrzeby pacjentów jak i płatnika publicznego oraz pozostające w zgodzie z wymogami prawa.

Odnosząc się do kwestii udostępnienia szerszego wachlarza leków biologicznych w ramach kategorii dostępności refundacyjnej – w aptece, na podstawie recepty Minister Zdrowia informuje, iż zgodnie z treścią ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2024 r. poz. 930), dalej jako „ustawa o refundacji”, kategorię dostępności refundacyjnej wskazuje podmiot odpowiedzialny we wniosku o objęcie refundacją. Zgodnie z art. 6 ustawy o refundacji, istnieją trzy kategorie dostępności refundacyjnej:

- 1) w aptece na receptę,
- 2) w ramach programu lekowego,
- 3) w ramach chemioterapii.

Należy zauważyć, że część leków biologicznych powinna być podawana jedynie pod stałym nadzorem lekarza prowadzącego, przy regularnym monitorowaniu parametrów pacjenta, co wpisuje się w specyfikę programów lekowych. Ponadto, nie bez powodu, część z nich została zarejestrowana przez podmioty odpowiedzialne w kategorii dostępności Lz, co oznacza, że powinny być podawane **jedynie w lecznictwie zamkniętym.**

Minister Zdrowia chciałby zwrócić uwagę na fakt, że w ramach refundacji aptecznej dostępnych jest już aktualnie szereg leków biologicznych, w tym leki zawierające insuliny, enzymy trzustkowe (Kreon, Lipancrea), czy niektóre przeciwciała monoklonalne (Prolia).

Z wyrazami szacunku
z upoważnienia Ministra Zdrowia
Marek Kos
Podsekretarz Stanu
/dokument podpisany elektronicznie/