



Minister
Zdrowia



PLR2.050.54.2024.WM
Warszawa, 21 listopada 2024

Pan
Szymon Hołownia
Marszałek Sejmu
Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowny Panie Marszałku,

w odpowiedzi na interpelację nr 5825 Pana Sylwestra Tułajewa, Pośła na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej w sprawie refundacji leku podskórnego na hemofilię, 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 stosownych 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 poruszonych w pytaniu 1 i 3 uprzejmie informuję, że lek Hemlibra (emicizumab) **jest objęty refundacją w ramach programu lekowego B.15. „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”** od 1 lipca 2024 r. Kryteria kwalifikacji do emicizumabu obejmują dzieci z ciężką hemofilią A niepowikłaną inhibitorem:

- 1) do ukończenia 2. roku życia, lub
- 2) 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
- 3) u których występują co najmniej trzy krwawienia rocznie wymagających leczenia czynnikiem VIII, pomimo prawidłowo stosowanej profilaktyki czynnikiem VIII.

5 listopada 2024 r. został rozstrzygnięty przetarg na zakup emicizumabu, a od 8 listopada szpitale podpisują umowy na realizację programu lekowego dla dzieci z hemofilią, w ramach którego stosowany będzie lek zawierający substancję czynną emicizumab. Pierwsi pacjenci otrzymali już lek.

Nawiązując do pytania 2 należy zauważyć, że kwestie związane z refundacją reguluje ustawa z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2024 r. poz. 930), zwana dalej „ustawą o refundacji”. W myśl zapisów ustawy o refundacji, objęcie refundacją produktu leczniczego jest dokonywane w drodze decyzji administracyjnej, wydawanej przez Ministra Zdrowia **w oparciu o wniosek przedłożony przez podmiot odpowiedzialny** (producenta leku, jego przedstawiciela lub importera). Złożony do Ministerstwa Zdrowia wniosek musi zawierać wszystkie elementy, określone w art. 25. ustawy o refundacji. Wniosek o objęcie refundacją nowej substancji czynnej lub nowego wskazania dla danej substancji czynnej podlega ocenie przez Agencję Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. W kolejnym etapie postępowania całość dokumentacji przekazywana jest Komisji Ekonomicznej, która prowadzi z wnioskodawcą negocjacje w zakresie ustalenia ceny zbytu netto, instrumentów dzielenia ryzyka oraz wskazania, w którym produkt ma być refundowany. Dopiero dysponując rekomendacją Prezesa Agencji oraz stanowiskiem Komisji Ekonomicznej, uwzględniając kryteria ujęte w art. 12 ustawy o refundacji, Minister Zdrowia podejmuje decyzję o objęciu bądź odmowie objęcia refundacją produktu we wnioskowanym wskazaniu.

Ponadto, jak wspomiano na początku pisma, **nowoczesne terapie są również finansowane w ramach *Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024–2028***.

W kwestii rozwoju dostępności do innowacyjnych terapii dla pacjentów z chorobami rzadkimi należy zauważyć, że **poprawa dostępu do leków stosowanych w chorobach rzadkich jest jednym z punktów aktualnego Planu dla Chorób Rzadkich**. Dodatkowo Ministerstwo Zdrowia równolegle prowadzi prace związane z nowelizacją ustawy o refundacji, w ramach której rozważane jest m.in.:

- wprowadzenie definicji choroby rzadkiej i ultraradkiej,
- wprowadzenie analizy wielokryterialnej (MCDA) w przypadku oceny leków stosowanych w chorobach rzadkich (rozwińcie klasycznej oceny technologii medycznej (HTA – analiza kliniczna, ekonomiczna i wpływu na budżet) o dodatkowe kryteria np. efekt terapeutyczny, rokowanie, wpływ na funkcjonowanie rodziny, docelowa populacja – dzieci/dorośli),

- wprowadzenie do ustawy możliwości wezwania przez Ministra Zdrowia podmiotu odpowiedzialnego do złożenia wniosku o objęcie refundacją leku w konkretnym wskazaniu.

Pomimo wyzwań jakie wiążą się z obejmowaniem kolejnych leków wskazanych w chorobach rzadkich, którymi są m. in:

- wysokie koszty roczne terapii, które znacznie przekraczają aktualną wysokość progu kosztu uzyskania dodatkowego roku życia skorygowanego o jakość (217 641 zł),
- mała liczba odpowiedników, co generuje brak odpowiedniej konkurencji cenowej,
- trudności w ustaleniu wiarygodnych oraz mierzalnych kryteriów oceny skuteczności ze względu na małe populacje leczonych pacjentów,

Ministerstwo Zdrowia sukcesywnie poszerza katalog refundowanych systemowo technologii lekowych dedykowanych leczeniu chorób rzadkich, szczególnie w ostatnich latach.

W 2022 r. było to 37 technologii, w 2023 r. – 43 technologie, natomiast w 2024 r. objęto finansowaniem ze środków publicznych kolejne 36 nowe cząsteczko-wskazania we wskazaniach rzadkich. W powyższym rozwoju niebagatelny wpływ ma uruchomienie od 2020 r. Funduszu Medycznego i możliwość finansowania w jego ramach technologii lekowych o wysokim poziomie innowacyjności (TLI) oraz technologii lekowych o wysokiej wartości klinicznej (TLK), które w dużej mierze dedykowane są rzadkim jednostkom chorobowym.

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