



PLR2.050.60.2024.WM  
Warszawa, 12 grudnia 2024

**Pan**  
**Szymon Hołownia**  
**Marszałek Sejmu**  
**Rzeczypospolitej Polskiej**

*Szanowny Panie Marszałku,*

w odpowiedzi na interpelację nr 6524 Pani Katarzyny Sójki, Posłanki na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej oraz grupy Posłów w sprawie dostępności dla pacjentów chorujących na hemofilię A i B nowoczesnego leczenia podskórną profilaktyką krwawień oraz lekami dożylnymi o przedłużonym działaniu, Minister Zdrowia przedstawia stanowisko w sprawie.

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, ewentualnych

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.

Odpowiadając na pytanie 1. uprzejmie informuję, że lek Hemlibra (emicizumab) **jest aktualnie objęty refundacją w ramach programu lekowego B.15. „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”**. 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.

Treść wskazania refundacyjnego czy też jego zakres wynikający z kryteriów kwalifikacji danego programu nie jest zależny wyłącznie od Ministerstwa Zdrowia. Co więcej, jego zakres definiowany jest w głównej mierze przez podmiot odpowiedzialny w momencie przedłożenia wniosku refundacyjnego. Następnie, Minister Zdrowia poddaje szczegółowej analizie dane wnioskowanie, jak również zasięga opinii odpowiednich ekspertów klinicznych, w szczególności Konsultantów Krajowych oraz Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. Ponadto, treści programów lekowych na wstępnym etapie postępowania administracyjnego podlegają weryfikacji przez Narodowy Fundusz Zdrowia. Tym samym, ostateczna treść programu lekowego poprzedzona jest wieloetapowym procesem analitycznym. Niemniej, główny kierunek wnioskowania określony jest już na wstępie we wniosku refundacyjnym, a zmiany w zakresie dedykowanej populacji na późniejszych stanowią incydentalne przypadki.

Mając na względzie powyższe informuję, iż refundację leku w takiej populacji wносиła firma Roche przedkładając wniosek o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto. Dodatkowo 1 października 2024 r., a więc niedługo po włączeniu terapii do refundacji systemowej, wprowadzono zmiany w przedmiotowym

programie lekowym, które polegały na ujednoczeniu kryteriów kwalifikacji dla emicizumabu bez względu na moduł profilaktyki pierwotnej lub wtórnej.

Zgodnie z art. 25 pkt 14 ppkt c ustawy o refundacji, podmiot odpowiedzialny do wniosku o objęcie refundacją leku, który nie ma odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu musi dołączyć:

- analizę kliniczną, sporządzoną na podstawie przeglądu systematycznego w porównaniu z innymi możliwymi do zastosowania w danym stanie klinicznym procedurami medycznymi we wnioskowanym wskazaniu, w tym, o ile występują, finansowanymi ze środków publicznych,
- analizę ekonomiczną z perspektywy podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych oraz świadczeniobiorcy,
- analizę wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych.

Wymienione wyżej analizy winny uwzględniać populację, w której dany lek ma być refundowany, tym samym ich zakres co do zasady powinien korespondować z wnioskowaną populacją docelową i wskazaniem klinicznym.

Bezsporna pozostaje również kwestia, iż odnosząc się do terapii emicizumabem mówimy o wysokokosztowej technologii lekowej. Rada Przejrzystości w Stanowisku nr 140/2023 z dnia 4 grudnia 2023 r. w sprawie oceny leku Hemlibra (emicizumab) w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10: D66, D67)” zwracała uwagę, że „Szacowany roczny koszt na jednego pacjenta stosowania emicizumabu jest kilkakrotnie wyższy od kosztu profilaktycznej terapii za pomocą rekombinowanego czynnika VIII. Pozytywna decyzja refundacyjna będzie wiązała się ze znacznymi, dodatkowymi wydatkami płatnika publicznego”. Skalę kosztów, o których mowa w przypadku terapii emicizumabem przedstawia również fakt, iż projektując postępowanie przetargowe na zakup emicizumabu dla populacji, która obejmuje aktualne kryteria refundacyjne oszacowano, że wartość zakupionego leku przekroczy 50 mln zł. Dla porównania, zgodnie z raportem refundacyjnym Narodowego Funduszu Zdrowia za 2023 r., kwota refundacji przeznaczona na VIII czynnik krzepnięcia dla wszystkich pacjentów prowadzących profilaktykę krwawień w ramach przedmiotowego programu lekowego wyniosła niewiele ponad 18 mln zł. Tym samym, zmiany o charakterze populacyjnym w przypadku tak wysokokosztowej

terapii muszą być poprzedzone odpowiednimi analizami farmako-ekonomicznymi, które co do zasady stanowią zawartość wniosków refundacyjnych dla nowych terapii lub nowych wskazań klinicznych już refundowanych produktów.

Mając na względzie, że podmiot odpowiedzialny wnioskował o objęcie refundacją emicizumabu w populacji pacjentów poniżej 2. roku życia oraz pacjentów poniżej 18. roku życia z utrudnionym dostępem dożylnym lub u których występują co najmniej 3 krwawienia rocznie i dla takiej właśnie populacji zostały ustalone określone warunki finansowania. **Zważywszy na brak odpowiednich analiz oraz wniosku refundacyjnego, Ministerstwo Zdrowia na chwilę obecną nie planuje zmian w zakresie refundacji emicizumabu w populacji pediatrycznej.**

Warto jednak wspomnieć, iż aktualnie jest procedowany wniosek o objęcie refundacją leku Hemlibra (emicizumab) w populacji pacjentów dorosłych z ciężką postacią hemofilii A niepowikłaną inhibitorem. Wniosek przeszedł ocenę Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, a szczegóły można znaleźć pod adresem: <https://bip.aotm.gov.pl/zlecenia-mz-2024/1033-materialy-2024/8476-65-2024-zlc>.

Odpowiadając na pytanie 2. informuję, że zakup czynników krzepnięcia zarówno w celu realizacji programu lekowego B.15. „*Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10: D66, D67)*” jak i Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne (NPLH), dokonywany jest przez Narodowe Centrum Krwi (w przypadku programu lekowego B.15. we współpracy z jednostką koordynującą ten program – Instytutem Matki i Dziecka) w drodze wspólnych przetargów centralnych, za pośrednictwem Zakładu Zamówień Publicznych przy Ministrze Zdrowia. Do przetargu może być zgłoszony:

- 1) w ramach NPLH – dowolny produkt leczniczy dopuszczony do obrotu w danym rodzaju w Polsce lub w Unii Europejskiej,
- 2) w ramach programu lekowego B.15. – produkt leczniczy, który otrzymał pozytywną decyzję o objęciu refundacją w ramach kategorii dostępności refundacyjnej: stosowany w ramach programu lekowego – B.15.

*Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D 66, D 67).*

Aktualnie obowiązują decyzje refundacyjne, o których mowa w pkt 2, dla niżej wymienionych leków:

Nazwa substancji czynnej		Ilość kodów GTIN	Nazwa produktu leczniczego
Czynnik krzepnięcia VIII ludzki	Factor VIII coagulationis humanus	3	Immunate
		3	Octanate
		2	Beriate
Czynnik krzepnięcia VIII ludzki rekombinowany	Efmoroctocogum alfa	6	Elocta (o przedłużonym działaniu)
	Rurioctocogum alfa pegolum	4	Adynovi (o przedłużonym działaniu)
	Octocog alfa	6	Advate,
	Moroctocogum alfa	4	ReFacto AF
Czynnik krzepnięcia IX ludzki	Factor IX coagulationis humanus	2	Octanine
		2	Immunine
Czynnik krzepnięcia IX ludzki rekombinowany	Albutrepenonacogum alfa	4	Idelvion (o przedłużonym działaniu)
	Eftrenonacogum alfa	5	Alprolix (o przedłużonym działaniu)
	Nonacog alfa	4	BeneFIX
	Nonacogum gamma (rDNA)	5	Rixubis
Leki nieczynnikowe	Emicizumab	4	Hemlibra

Warto również nadmienić, że od rozpoczęcia refundacji czynników długodziałających, aby pozwolić na równą konkurencję czynników krótko i długo działających w przetargu centralnym na zakup czynników krzepnięcia do realizacji programu lekowego B.15., wprowadzono w ocenie ofert **kryterium kosztu 28 dniowego leczenia 1 kg masy ciała pacjenta zamiast ceny 1 j.m. czynnika krzepnięcia**. W prowadzonych postępowaniach przetargowych modyfikowano kryteria oceny ofert i wag punktowych, aby koszt terapii był najważniejszym kryterium. W ostatnim postępowaniu przetargowym na zakup czynników krzepnięcia IX **wprowadzono dodatkowe punkty za częstotliwość podawania czynników podczas profilaktyki**.

Podsumowując, Ministerstwo Zdrowia nieustannie dąży do poprawy jakości profilaktyki krwawień u pacjentów z hemofilią. Niestety, wysokie koszty leków i niski poziom zainteresowania podmiotów odpowiedzialnych przystępowaniem do przetargów centralnych znacznie utrudnia to zadanie. Wyrażam głęboką nadzieję na poprawę współpracy w tym zakresie z firmami farmaceutycznymi i poszerzenie katalogu leków refundowanych, także w tej jednostce chorobowej.

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