



# Minister Zdrowia

---

PLR2.050.13.2025.WM  
Warszawa, 05 marca 2025

Pan  
Szymon Hołownia  
Marszałek Sejmu  
Rzeczypospolitej Polskiej

*Szanowny Panie Marszałku,*

w odpowiedzi na interpelację nr 7960 Pana Franciszka Sterczewskiego, Posła na Sejm Rzeczypospolitej Polskiej, w sprawie udostępnienia profilaktyki krwawień emicizumabem dla dzieci chorych na hemofilię A w postaci ciężkiej do 18. roku życia, 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 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.

**Nie jest prawdą, że objęto refundacją lek Hemlibra (emicizumab) wyłącznie w populacji dzieci poniżej 2. roku życia. Przedmiotowy lek jest objęty refundacją w**

ramach programu lekowego B.15. „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”, a 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.

Należy również zauważyć, że od 2020 r. emicizumab jest dostępny w ramach Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne dla pacjentów z obecnością inhibitora czynnika VIII, u których próba wywołania immunotolerancji zakończyła się niepowodzeniem lub wystąpiły przeciwwskazania do tego typu leczenia, a także w wyjątkowych przypadkach dla dzieci bez inhibitora.

Należy zauważyć, iż o **objęcie refundacją leku w takiej populacji wniosła firma Roche** we wniosku o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto. Dodatkowo 1 października 2024 r. 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 muszą brać pod uwagę populację, w której dany lek ma być refundowany. Dostarczone przez firmę Roche analizy obejmują więc populację dużo węższą niż „wszyscy pacjenci pediatryczni z ciężką postacią hemofilii A”.

W nawiązaniu do kwestii rocznych kosztów refundacji przedmiotowego leku należy zauważyć, że są to dane wrażliwe, których Minister Zdrowia nie ma prawa udostępnić. Jednak 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 różnicy w szacowanych kosztach leków 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.**

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, w które mogą być wliczane instrumenty dzielenia ryzyka skalkulowane dla oszacowań i analiz konkretnej populacji, **Minister Zdrowia na chwilę obecną nie planuje zmian w zakresie refundacji emicizumabu w populacji pediatrycznej.**

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