



Minister Zdrowia

PLR2.050.24.2025.WM
Warszawa, 15 maja 2025

Pan
Szymon Hołownia
Marszałek Sejmu
Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowny Panie Marszałku,

w odpowiedzi na interpelację nr 9251 Pani Alicji Chybickiej oraz Pani Iwony Marii Kozłowskiej, Posłanek na Sejm Rzeczypospolitej w sprawie leczenia dzieci chorych na hemofilię w Polsce, Minister Zdrowia przedstawia stanowisko w sprawie.

Na wstępie należy zaznaczyć, **że nie jest prawdą by emicizumab był dostępny wyłącznie dla pacjentów z hemofilią A powikłaną inhibitorem.**

W Polsce leczenie hemofilii odbywa się w ramach dwóch programów:

- 1) Programu lekowego B.15. „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10 D 66, D 67)”;
- 2) Programu polityki zdrowotnej pt. „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028” (NPLH).

W ramach NPLH do profilaktyki krwawień przy użyciu emicizumabu są kwalifikowani **pacjenci z hemofilią A powikłaną inhibitorem**, u których próba wywołania immunotolerancji zakończyła się niepowodzeniem lub wystąpiły przeciwwskazania do tego typu leczenia.

Od 1 lipca 2024 r. objęto refundacją lek Hemlibra (emicizumab) w ramach programu lekowego B.15. „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”. Kryteria kwalifikacji do niego **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.

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, z późn. zm.), zwana dalej „*ustawą o refundacji*”. W myśl zapisów ww. ustawy, 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.

Należy zauważyć, iż kryteria kwalifikacji do leczenia emicizumabem w ramach programu lekowego B.15. zostały określone we wniosku o objęcie refundacją i ustalenie ceny zbytu netto przez producenta leku. 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.

Minister Zdrowia informuję, że 25 kwietnia 2025 r. wpłynął wniosek o objęcie refundacją przedmiotowego leku w populacji wszystkich pacjentów z ciężką

postacią hemofilii A niepowikłaną inhibitorem. Wniosek jest procedowany zgodnie z zapisami ustawy o refundacji.

Należy podkreślić, że wszyscy pacjenci z hemofilią A i B mają zapewniony dostęp do profilaktyki krwawień, a w ramach realizacji programu lekowego B.15 jest możliwość dostawy leku do domu razem z niezbędnym sprzętem jednorazowym, co minimalizuje częstotliwość wizyt w placówkach medycznych.

Odnosząc się do kwestii badań i analiz skuteczności informuję, że składając wniosek o objęcie refundacją leku podmiot odpowiedzialny ma obowiązek dostarczenia analiz, w tym m.in. 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. Ponadto zgodnie z treścią charakterystyki produktu leczniczego, skuteczność produktu leczniczego Hemlibra w rutynowej profilaktyce u pacjentów z hemofilią A oceniano w pięciu badaniach klinicznych (w trzech badaniach z udziałem osób dorosłych i młodzieży u pacjentów z hemofilią A z inhibitorami FVIII lub bez [HAVEN 1, HAVEN 3 i HAVEN 4] i w jednym badaniu z udziałem dzieci i młodzieży u pacjentów z hemofilią A z inhibitorami FVIII [HAVEN 2]) i w jednym badaniu w udziale osób ze wszystkich grup wiekowych u pacjentów z łagodną lub umiarkowaną hemofilią A bez inhibitorów FVIII [HAVEN 6]). Więcej informacji można znaleźć w charakterystyce produktu leczniczego, która znajduje się pod adresem:

https://www.ema.europa.eu/pl/documents/product-information/hemlibra-epar-product-information_pl.pdf.

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