



Minister Zdrowia

PLR2.050.41.2025.WM
Warszawa, 16 lipca 2025

Pan
Szymon Hołownia
Marszałek Sejmu
Rzeczypospolitej Polskiej

Szanowny Panie Marszałku,

w odpowiedzi na interpelację nr 10412 Pani Lidii Czechak, Posłanki na Sejm Rzeczypospolitej w sprawie refundacji podskórnego leczenia emicizumabem dla dzieci powyżej drugiego roku życia, Minister Zdrowia przedstawia stanowisko w sprawie.

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 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.

Należy zauważyć, iż **kryteria kwalifikacji do emicizumabu 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.

Informuję, że 25 kwietnia 2025 r. do Ministerstwa Zdrowia 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.

Ponadto Ministerstwo Zdrowia prowadzi rozmowy dotyczące **scalenia Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne oraz programu lekowego** w celu ulepszenia systemu leczenia hemofilii, między innymi zwiększając szanse na prowadzenie profilaktyki krwawień produktami o przedłużonym uwalnianiu.

Dodatkowo procedowany jest także wniosek o **objęcie refundacją czynnika krzepnięcia krwi o wyższym poziomie skuteczności, podawanego raz w tygodniu** – co będzie stanowiło alternatywę dla obecnych czynników krzepnięcia krwi w programie leczenia hemofilii oraz dla emicizumabu. Decyzje w tym zakresie będą podejmowane **na przestrzeni kilku najbliższych miesięcy.**

Warto również zauważyć, że lek **Hemlibra nie jest już jedynym podskórnym lekiem stosowanym w profilaktyce krwawień** u pacjentów z hemofilią. Pod koniec 2024 r. Europejska Agencja Leków dopuściła do obrotu dwa nowe leki: marstacymab oraz koncizumab, które mogą być stosowane u pacjentów z hemofilią A i B. Aktualnie trwają rozmowy z podmiotami odpowiedzialnymi w celu udostępnienia ich dla pacjentów w ramach świadczeń gwarantowanych dla pacjentów z hemofilią.

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