



Minister
Zdrowia

DLT.055.2.2026.AMB
Warszawa, 24 czerwca 2026

[REDACTED]

Szanowny Panie,
w odpowiedzi na petycję, w sprawie wdrożenia refundacji leku Emicizumab do leczenia ciężkiej postaci hemofilii A dla osób dorosłych na terenie Rzeczypospolitej Polskiej, uprzejmie proszę o przyjęcie poniższego.

Minister Zdrowia, we współpracy z Narodowym Centrum Krwi jako koordynatorem *Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024–2028*, prowadzi stałe działania ukierunkowane na rozwój i doskonalenie systemu opieki nad pacjentami chorymi na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, w tym w zakresie zapewnienia wszystkim chorującym pacjentom równego dostępu do nowoczesnego leczenia.

Należy podkreślić, że dorośli pacjenci z hemofilią A mają obecnie dostęp do leczenia emicizumabem w ramach programu. Zgodnie z modułem 3 Programu („Zapewnienie bispecyficznego przeciwciała naśladującego aktywny czynnik VIII”) terapia ta jest dostępna dla pacjentów z hemofilią A powikłaną inhibitorem czynnika VIII, którzy spełniają łącznie dwa kryteria: posiadają inhibitor czynnika VIII oraz u których próba wywołania immunotolerancji zakończyła się niepowodzeniem lub występują przeciwwskazania do jej zastosowania. Oznacza to, że dostęp do emicizumabu dla dorosłych pacjentów nie jest wyłączony, lecz ograniczony do określonej populacji chorych.

Jednocześnie Program przewiduje mechanizm umożliwiający indywidualną ocenę szczególnych przypadków. Zgodnie z pkt 3.2.2 ust. 5 Programu do zadań Rady Programu należy opiniowanie szczególnych przypadków pacjentów oraz pomoc w interpretacji kryteriów kwalifikacji i wyłączenia. Rozwiązanie to pozwala na uwzględnienie sytuacji klinicznych, w których pacjent formalnie nie spełnia kryteriów kwalifikacji, jednak istnieją istotne przesłanki medyczne przemawiające za zastosowaniem danej terapii. Celem takiego podejścia jest zapewnienie możliwie najlepszych efektów zdrowotnych oraz poprawa jakości życia chorych przy zachowaniu elastyczności systemu opieki nad pacjentami z hemofilią. W praktyce oznacza to, że w uzasadnionych klinicznie przypadkach możliwe jest uzyskanie zgody na kontynuację lub wdrożenie leczenia emicizumabem pomimo niespełnienia wszystkich formalnych kryteriów Programu. Potwierdzają to decyzje Rady Programu i Ministra Zdrowia dotyczące pacjentów, u których stosowanie emicizumabu przyniosło trwałą kontrolę krwawień oraz istotną poprawę jakości życia. W takich sytuacjach dalsze leczenie, z uwagi na korzyści zdrowotne dla pacjenta, które uzasadniają odstępnie od standardowych kryteriów kwalifikacyjnych, może być prowadzone.

Jeżeli chodzi o możliwość wdrożenia nowej terapii do *Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028*, odbywa się ono w ramach modułu 5, odbywa się zgodnie z procedurą wdrażania nowej terapii określoną w załączniku nr 10 do przedmiotowego Programu¹, czyli na podstawie zgłoszenia populacji pacjentów do Rady Programu.

Kluczowe etapy tej procedury to:

- 1) przyjęcie przez Narodowe Centrum Krwi **zgłoszeń z Ośrodków Leczenia Hemofilii** o włączenie populacji pacjentów do nowej terapii (wnioski populacyjne),
- 2) **omówienie złożonych wniosków** na posiedzeniu Rady Programu,
- 3) przekazanie **rekomendacji rozszerzenia Programu** o nową terapię do Ministra Zdrowia (w przypadku pozytywnej rekomendacji Rady),
- 4) przekazanie przez Ministra Zdrowia **do Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (dalej: AOTMiT) zlecenia dotyczącego wydania opinii w sprawie zasadności włączenia do programu nowej terapii** w oparciu o jej efektywność kliniczną i kosztową w porównaniu do dotychczas stosowanych metod leczenia oraz możliwości finansowe Programu,
- 5) **wydanie opinii przez Prezesa AOTMiT w tym zakresie** włączenia do Programu nowej terapii.

Na podstawie art. 31n pkt 5 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych² oraz zgodnie z ww. procedurą Minister Zdrowia zwrócił się do AOTMiT z wnioskiem o dokonanie weryfikacji analiz oraz wydanie opinii w sprawie zasadności włączenia do programu dla terapii takich jak: Hemlibra (emicizumab), Alhemo (concizumab) oraz Veyvondi w oparciu o ich efektywność kliniczną i kosztową, w porównaniu do dotychczas stosowanych metod leczenia oraz możliwości finansowe Programu.

W kwestii podejmowanych działań mających na celu udostępnienie nowoczesnych terapii dla pacjentów dorosłych w odniesieniu do terapii emicizumabem Prezes AOTMiT, w opinii nr 107/2025 z dnia 21 listopada 2025 r., pozytywnie ocenił zasadność jej włączenia do Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024–2028 dla pacjentów z ciężką lub umiarkowaną postacią hemofilii A bez inhibitora. W opinii tej zwrócono jednak uwagę na wysoki koszt technologii oraz jej istotny wpływ na budżet płatnika publicznego. Stanowisko Rady Przejrzystości zawarte w opinii nr 201/2025 z dnia 17 listopada 2025 r. wskazało natomiast, że finansowanie terapii jest zasadne pod warunkiem zrównania kosztów profilaktyki emicizumabem z kosztami profilaktyki preparatami czynnika VIII. Tym samym ewentualne włączenie tej terapii musi uwzględniać spełnienie powyższych wytycznych.

W przypadku produktu leczniczego Alhemo (konicizumab), w opinii nr 21/2026 z dnia 8 kwietnia 2026 r., uznano za niezasadne jego włączenie do programu w populacji pacjentów z hemofilią A powikłaną inhibitorem, przy jednoczesnej pozytywnej ocenie zasadności finansowania w populacji pacjentów z hemofilią B powikłaną inhibitorem. Natomiast w opinii nr 34/2026 z dnia 18 maja 2026 r. dotyczącej produktu Veyvondi uznano za zasadne włączenie tej terapii do modułu 5 Programu dla pacjentów z 2. i 3. typem choroby von Willebranda.

Mając na uwadze pozytywne opinie Prezesa AOTMiT Rada Programu podczas ostatniego posiedzenia, które odbyło się 21 maja br., zarekomendowała przygotowanie aktualizacji Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne

¹ Narodowy Program Leczenia Chorych Na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028, <https://www.gov.pl/web/zdrowie/narodowy-pogram-leczenia-chorych-na-hemofilie-i-pokrewne-skazy-krwotoczne-na-lata-2024-2028>

² Ustawa z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. z 2025 r. poz. 1461, z późn. zm.).

w zakresie wprowadzenia produktów leczniczych Alhemo (koncizumab) w populacji pacjentów z hemofilią B powikłaną inhibitorem oraz Veyvondi (wonikog alfa) dla pacjentów z 2 i 3 typem choroby von Willebranda, a następnie przedstawienie aktualizacji do akceptacji Ministra Zdrowia.

Niezależnie od powyższego należy podkreślić, że wydanie opinii przez AOTMiT stanowi jeden z etapów procesu decyzyjnego i nie przesądza automatycznie o włączeniu danej terapii do Programu. Obecnie prowadzone są dalsze analizy dotyczące wpływu nowych terapii na budżet publiczny oraz konsekwencji organizacyjnych dla systemu ochrony zdrowia. Ostateczne decyzje będą podejmowane przez Ministra Zdrowia po uwzględnieniu stanowiska Rady Programu, opinii AOTMiT oraz dostępnych możliwości finansowych.

Rada Programu równolegle prowadzi prace nad rozszerzeniem Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne o kolejne innowacyjne produkty lecznicze, w tym Hymravzi (marstacimab), Altuvoct (koncentrat czynnika VIII o ultraprzedłużonym działaniu) oraz Coagadex, także w ramach procedury wdrażania nowych terapii do modułu 5. Procedura ta obejmuje kompleksową ocenę potencjalnych kosztów i korzyści wynikających ze stosowania poszczególnych terapii, ich efektywności klinicznej względem obowiązujących schematów leczenia, a także konsekwencji organizacyjnych dla systemu opieki nad pacjentami. Proces ten ma jednak charakter wieloetapowy i złożony.

Na obecnym etapie proces rozszerzania dostępu do nowoczesnych terapii dla chorych na hemofilię, w tym terapii podskórnych dla dorosłych pacjentów z hemofilią A niepowikłaną inhibitorem, pozostaje w toku. Podejmowane decyzje poprzedzane są analizami klinicznymi, ekonomicznymi i organizacyjnymi, z uwzględnieniem opinii Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, stanowiska Rady Programu oraz dostępnych możliwości finansowych. Ich celem jest zapewnienie optymalnych efektów zdrowotnych przy racjonalnym wykorzystaniu środków publicznych.

Jednocześnie dynamiczny rozwój nowych technologii medycznych, obejmujących terapie podskórne, koncentraty czynników krzepnięcia o przedłużonym i ultraprzedłużonym czasie działania oraz kolejne innowacyjne produkty lecznicze, wskazuje na potrzebę dalszej ewolucji modelu organizacji leczenia hemofilii. W tym kontekście analizowana jest możliwość stopniowej integracji obecnie funkcjonujących mechanizmów finansowania w jeden spójny system obejmujący wszystkich pacjentów z hemofilią i pokrewnymi skazami krwotocznymi, niezależnie od wieku, przy jednoczesnym zachowaniu narzędzi umożliwiających efektywne zarządzanie środkami publicznymi i zapewnienie szerokiego dostępu do nowoczesnych terapii.

Z wyrazami szacunku
z upoważnienia Ministra Zdrowia
Maciej Karaszewski
Dyrektor
/dokument podpisany elektronicznie/