

Bogdan Gajewski
Prezes
Polskie Stowarzyszenie
Chorych na Hemofilię
ul. Indiry Gandhi 14
02-776 Warszawa

12 czerwca 2025

Szanowny Panie Prezesie,

Dziękujemy za przesłaną wiadomość oraz za wyrażone zainteresowanie kwestią udostępnienia emicizumabu dla pacjentów z hemofilią A niepowikłaną inhibitorem w ramach Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024–2028 (dalej: Narodowy Program, NPLH). Pragniemy podkreślić, że nasze działania są prowadzone w duchu otwartości, współpracy i pełnej transparentności, z poszanowaniem zasad wynikających z zapisów Narodowego Programu.

Zgodnie z Załącznikiem nr 12 NPLH, uprawnionymi do składania wniosków o włączenie nowej terapii do Programu są:

- konsultanci krajowi lub wojewódzcy w dziedzinie hematologii, pediatrii lub transfuzjologii klinicznej,
- koordynatorzy wojewódzcy Programu,
- przedstawiciele Narodowego Centrum Krwi,
- kierownicy ośrodków realizujących Program.

W związku z tym podmiot odpowiedzialny (firma farmaceutyczna) oraz organizacje pacjenckie nie mogą formalnie inicjować takiego wniosku. **Dlatego nasza korespondencja w tej sprawie (pisma z dnia 24 kwietnia 2025 r. oraz 23 maja 2025 r.) została skierowana do właściwych ekspertów klinicznych, w tym do Przewodniczącego Rady Programu, który jest jednocześnie gwarantem prawidłowego**

Roche Polska Sp. z o.o.

ul. Domaniewska 28
02-672 Warszawa
Polska

Tel. +48 22 345 1888
Fax +48 22 345 1874
www.roche.pl
pl.kontakt@roche.com

przebiegu prac Rady oraz włączenia przedstawicieli pacjentów do procesu, jak tylko zostanie on zainicjowany. Choć formalne uprawnienie do składania wniosków nie obejmuje organizacji pacjentów, Narodowy Program przewiduje dla nich kluczowe miejsce w procesie opiniotwórczym i doradczym, w szczególności:

- podczas posiedzeń Rady Programu, gdzie przewidziany jest udział przedstawicieli środowisk pacjenckich,
- w trakcie publicznych konsultacji dokumentów, które mogą być prowadzone przez Ministerstwo Zdrowia lub instytucje eksperckie (np. AOTMiT),
- poprzez współpracę z konsultantami krajowymi i kierownikami ośrodków, którzy formalnie inicjują wnioski i mogą uwzględniać głosy pacjentów.

W przypadku przedmiotowej terapii pismo zostało przekazane do instytucji i ekspertów posiadających kompetencje do wszczęcia procedury, z jednoczesną prośbą o zainicjowanie działań Rady Programu, której członkiem jest przedstawiciel organizacji pacjentów.

Podkreślamy, że nasza korespondencja była wyrazem otwartości na udostępnienie terapii w zgodzie z obowiązującymi procedurami systemu ochrony zdrowia w Polsce.

W polskim systemie ochrony zdrowia istnieją dwie, alternatywne ścieżki finansowania technologii lekowych dla pacjentów chorych na hemofilię i inne skazy krwotoczne:

- finansowanie w ramach modułu **4 Narodowego Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028** (w tym przypadku wniosek o objęcie finansowaniem leku może inicjować środowisko medyczne),
- finansowanie terapii w ramach **programu lekowego B.15 “Zapobieganie krwawieniom u dzieci z Hemofilią A i B (ICD-10: D66, D67)”** (w tym przypadku wniosek inicjuje podmiot odpowiedzialny za lek).

Mając na uwadze powyższe, w obliczu sytuacji i potrzeb pacjentów, nie pozostajemy bierni i od 2022 roku realizujemy procesy refundacyjne, które mają na celu udostępnienie terapii szerszej grupie pacjentów. Podjęliśmy proaktywne działania dotyczące udostępnienia emicizumabu dla pacjentów bez inhibitora w Polsce także w ramach programu lekowego. W lipcu 2024 r. nastąpiło rozszerzenie refundacji w ramach programu lekowego, obejmując wyłącznie populację pediatryczną. Terapię podskórną umożliwiono:

- Najmłodszym dzieciom z ciężką hemofilią A (do ukończenia 2. roku życia).
- Dzieciom z trudnościami w dostępie dożylnym.
- Dzieciom z wysoką częstością krwawień pomimo dotychczasowej profilaktyki.

Obecnie w toku są dwa postępowania dot. udostępnienia emicizumabu w programie lekowym:

- od listopada 2023 r. wniosek refundacyjny dla wybranej wąskiej grupy dorosłych pacjentów z hemofilią A niepowikłaną inhibitorem, u których prowadzenie profilaktyki czynnikiem VIII jest niemożliwe lub nieskuteczne, oraz
- od kwietnia 2025 r. kolejny wniosek o rozszerzenie dostępu do emicizumabu, zgodnie z zarejestrowanymi dla leku wskazaniami, co umożliwi równy dostęp i elastyczny dobór terapii.

Pismo, które zostało skierowane do ekspertów klinicznych, w tym członków Rady Programu, było wyrazem dobrej woli, otwartości i chęci zapewnienia Radzie pełnej informacji o możliwościach udostępnienia leczenia – bez względu na to, którą ścieżkę finansowania (program lekowy lub NPLH) wybierze ostatecznie Ministerstwo Zdrowia. Przekazanie tych informacji do Przewodniczącego Rady Programu, jako osoby koordynującej jej pracę, oraz ekspertów klinicznych, jako środowiska medycznego, które może być inicjatorem zmian w systemie leczenia hemofilii, jest zgodne z dobrymi praktykami dialogu klinicznego i społecznego.

W aktualnej wersji Programu nie ma określonych procedur dotyczących obiegu korespondencji z Radą Programu ani publicznie dostępnej listy jej członków. Jesteśmy jednak przekonani, że – jak miało to miejsce w poprzednich latach – przepływ informacji w ramach Rady jest płynny, a jej członkowie dbają o właściwą komunikację. Potwierdza to Państwa pismo do naszej firmy z dnia 10 czerwca 2025 r., oznacza bowiem, że Rada zainicjowała działania, włączając w nie przedstawiciela pacjentów i udostępniając odpowiednio informacje. Jeśli w przyszłości zostaną przez Ministerstwo Zdrowia lub Radę Programu opublikowane wytyczne dotyczące komunikacji z Radą wraz z listą jej członków, niezwłocznie się do nich dostosujemy.

Zgodnie z naszą wiedzą, dalszą koordynację procesu prowadzi Rada Programu, jesteśmy zatem przekonani, że obieg informacji wypracowany przez lata będzie funkcjonował bez zarzutu.

Wierzymy, że nasze intencje są zrozumiałe i że wspólnie działamy na rzecz dobra pacjentów oraz racjonalnego wdrażania innowacyjnych terapii w Polsce. Emicizumab został dopuszczony do stosowania w Unii Europejskiej w 2018 roku jako leczenie profilaktyczne u pacjentów z hemofilią A, zarówno z inhibitorem czynnika VIII, jak i bez inhibitora. Terapia ta została uwzględniona w wytycznych Światowej Federacji Hemofilii (WFH) jako jedna z form profilaktyki; umożliwia mniej inwazyjne podawanie podskórne oraz ma zweryfikowany na przestrzeni wielu lat praktyki klinicznej profil skuteczności i bezpieczeństwa.

Mimo dostępności emicizumabu w Polsce, jego refundacja pozostaje ograniczona i nie odzwierciedla wskazań rejestracyjnych w Europie oraz dostępności w innych krajach UE. Duży niepokój budzi przedłużający się proces refundacji dla dorosłych pacjentów z ciężką hemofilią A niepowikłaną inhibitorem, który trwa od 2022 r. i został już przeprowadzony w obu ścieżkach refundacyjnych. Jest to wyjątkowo niekorzystna sytuacja dla polskich pacjentów, którzy jako jedyni w Unii Europejskiej są pozbawieni możliwości leczenia emicizumabem.

Na przestrzeni ostatnich lat obserwujemy, jak leczenie hemofilii w Polsce stopniowo rozwija się, a my jako firma mamy zaszczyt być częścią tej zmiany, wspierając pacjentów w codziennym życiu.

Z najwyższym szacunkiem odnosimy się do polskiej społeczności pacjentów i doceniamy modelowy charakter systemu ochrony zdrowia w Polsce, który w procesach udostępniania terapii realnie uwzględnia głos środowiska pacjenckiego, przyczyniając się do stałej poprawy jakości opieki.

Jesteśmy otwarci na dalszy dialog – zarówno w ramach korespondencji pisemnej, jak i osobistego spotkania – aby rozwiązać wszelkie wątpliwości i zapewnić, że głos pacjentów będzie słyszany i uwzględniany na każdym możliwym etapie.

Z wyrazami szacunku,

Irma Veberič
General Manager
Roche Polska

Krzysztof Adamcewicz
Dyrektor Działu Strategii Rozwoju Rozwiązań
Systemowych i Komunikacji
Roche Polska

Do wiadomości:

- Pani Izabela Leszczyna – Minister Zdrowia
- Pan Daniel Rutkowski – Prezes AOTMiT
- Prof. dr hab. n. med. Ewa Lech-Marańda – Krajowy Konsultant w dziedzinie hematologii
- Rada Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię
- Dyrektor Narodowego Centrum Krwi Pan Sebastian Twaróg
- Lutz Knabe, Roche International, Senior Patient Partnership Director, Hematology and Haemophilia
- Alain Baumann - CEO - World Federation of Hemophilia