



RZECZPOSPOLITA POLSKA
Rzecznik Praw Dziecka
Monika Horna-Cieślak

Warszawa, 12 marca 2024 roku

ZSS.422.5.2024.KS

**Pani
Izabela Leszczyna
Minister Zdrowia**

Szanowna Pani Minister,

działając na podstawie art. 10a ust. 1 ustawy z dnia 6 stycznia 2000 r. o Rzeczniku Praw Dziecka (Tekst jedn. Dz. U. z 2023 r. poz. 292) zwracam się z uprzejmą prośbą o podjęcie działań na rzecz dzieci z ciężką hemofilią A niepowikłaną inhibitorem do czynnika krzepnięcia, w zakresie umożliwienia im refundowanego leczenia produktem leczniczym Hemlibra® (emicizumab).

W lutym 2024 r. wpłynęły do mnie wnioski rodziców dzieci cierpiących na ciężką hemofilię A (niedobór czynnika VIII) w sprawie dostępu dla pacjentów z tą diagnozą do leczenia produktem leczniczym Hemlibra® (emicizumab). Obecnie lek ten nie jest refundowany w tej grupie pacjentów (dzieci z hemofilią A niepowikłanej inhibitorem).

W 2018 r. Emicizumab (Hemlibra®, F. Hoffmann - La Roche, Bazylea, Szwajcaria) został dopuszczony do obrotu w krajach Unii Europejskiej, zaś od marca 2020 r. lek ten jest dostępny w Polsce dla pacjentów ze zdiagnozowaną hemofilią A powikłaną inhibitorem czynnika VIII.

Zgodnie z charakterystyką produktu leczniczego Emicizumab jest humanizowanym przeciwciałem monoklonalnym, zmodyfikowaną immunoglobuliną G4 (IgG4). Lek ten jest wskazany do stosowania w rutynowej profilaktyce epizodów krwawienia u pacjentów z hemofilią A i z inhibitorami czynnika VIII. Produkt leczniczy może być stosowany we wszystkich grupach wiekowych.

Zgodnie z Narodowym Programem Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2019–2023, w 2020 roku rozpoczęto podawanie emicizumabu w grupie ponad 30 chorych na ciężką hemofilię A powikłaną inhibitorem czynnika VIII o wysokim mianie. Hemlibra nie jest dostępna dla pacjentów z hemofilią A niepowikłaną inhibitorem.

Dnia 9 stycznia 2023 r. Minister Zdrowia wydał zlecenie dla Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji o sformułowanie opinii w sprawie włączenia Hemlibry

do modułu PPZ „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024 - 2028”, we wskazaniu do stosowania w rutynowej profilaktyce epizodów krwawienia u pacjentów z ciężką hemofilią A bez inhibitora czynnika VIII wraz z wskazaniem kryteriów włączenia (w przypadku zasadności włączenia).

Zgodnie z zapisami modułu 4 przedmiotowego programu polityki zdrowotnej dotyczy on zapewnienia czynników krzepnięcia o przedłużonym działaniu oraz innych nowo rejestrowanych produktów leczniczych do leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych dla pacjentów wskazanych przez Radę Programu. Przeznaczenie leków w ramach tego modułu dotyczy pacjentów zgłoszonych do NCK i w ramach wskazań do podania produktu leczniczego zaakceptowanych przez Ministra Zdrowia, po uprzedniej opinii AOTMiT.

Dla emicizumabu ustalono oceniane wskazanie dla pacjentów małoletnich w następujący sposób:

Pacjenci z ciężką hemofilią A bez inhibitorów czynnika VIII: poniżej 18 roku życia, którzy spełniają przynajmniej jedno z kryteriów:

a. trudny dostęp dożylny definiowany jako konieczność usunięcia drugiego portu bądź brak możliwości założenia portu, lub

b. wystąpienie co najmniej trzech krwawień rocznie pomimo prawidłowo stosowanej profilaktyki czynnikiem VIII rekombinowanym, lub

c. każde dziecko z rozpoznaniem ciężkiej hemofilii A do 2 roku życia, pod warunkiem rozpoczęcia profilaktyki czynnikiem VIII w odpowiednim czasie.

Szczegółowe kryteria włączenia wskazane przez Podmiot Odpowiedzialny na podstawie populacji docelowej szczegółowo określonej przez ośrodki leczenia hemofilii, które wystosowały prośbę o umożliwienie stosowania emicizumabu u chorych z hemofilią A bez inhibitora.

Pismem z dnia 30 czerwca 2023 r. (Sygn. BP.422.34.2023.MZ), ówczesny Prezes AOTMiT przekazał opinię, iż „(...) mając na względzie opinię Rady Przejrzystości, wytyczne postępowania medycznego, odnalezione dowody naukowe oraz opinie ekspertów uznaje za niezasadne wprowadzenie produktu leczniczego Hemlibra® (emicizumab) dla pacjentów z ciężką postacią hemofilii A bez inhibitora w ramach modułu 4 programu polityki zdrowotnej pn. „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028”. Koszty emicizumabu są wyższe niż dostępnych komparatorów, a efekty kliniczne nie uzasadniają wyższej wyceny. (...)”

Ciężka postać hemofilii A z niską aktywnością czynnika VIII u dziecka powoduje, że nawet niewielki uraz może doprowadzić do rozległych krwawień do stawów, mięśni czy innych struktur organizmu. Nawet pomimo prowadzonej profilaktyki dostępnymi aktualnie czynnikami krzepnięcia u dziecka nierzadko występują krwawienia samoistne m.in. do stawów, do przewodu pokarmowego etc. Pojawiające się krwawienia wewnętrzne mogą doprowadzić w konsekwencji do przewlekłego bólu, utraty mobilności a ostatecznie do trwałego kalectwa. Może także dojść do powikłania w przebiegu hemofilii jakim jest artropatia hemofilowa. Oprócz tego mogą wystąpić powikłania samego leczenia choroby takie jak m.in.: reakcje alergiczne, zaburzenia immunologiczne, wystąpienie przeciwciał przeciwko podawanym czynnikom krzepnięcia, zakażenia wirusami zapalenia wątroby typu B lub C, a także zakażenie HIV.

Zaznaczenia wymaga, że - jak podnoszą rodzice chorych na hemofilię dzieci - każde podanie czynnika krzepnięcia (które odbywa się każdorazowo poprzez iniekcję) jest dla małego bardzo stresujące i traumatyzujące, szczególnie że proces ten odbywa się bardzo często (nawet co drugi dzień). Częste iniekcje powodują zrosty w miejscu wkłucia, które w przyszłości skutkują brakiem dostępu żylnego i koniecznością szukania nowych miejsc wkłucia. Powoduje to, że komfort życia dzieci z hemofilią jest bardzo zaburzony, leczenie jest trudne i wymagające dla całej rodziny, tak pod względem emocjonalnym jak i organizacyjnym.

Na marginesie wskazuję, że kwestia dostępu dzieci z hemofilią zarówno A jak i B do czynników krzepnięcia o przedłużonym działaniu była już przedmiotem korespondencji Biura Rzecznika Praw Dziecka z Ministerstwem Zdrowia w 2023 r.¹

Wracając do leku Hemlibra®, rodzice dzieci cierpiących na hemofilię wskazują, że dostęp do leczenia tym produktem stanowi szansę na normalne funkcjonowanie i lepszy - nieobarczony ograniczeniami i bólem - rozwój dziecka. Emicizumab podawany jest bowiem podskórnie znacznie rzadziej (nawet jeden raz w miesiącu) niż dostępne obecnie czynniki krzepnięcia.

Mając na uwadze powyższe, zwracam się do Pani Minister z prośbą jak we wstępie.

Rzecznik Praw Dziecka

Monika Horna-Cieślak

¹ Pismo do Ministerstwa Zdrowia Departament Polityki Lekowej i Farmacji z 20.11.2023 r. ZSS.420.76.2023