

System leczenia hemofilii w Polsce – rekomendacje zmian



Dokument opracowany przez:



Dokument jest podsumowaniem dyskusji
zorganizowanej przez Komitet ds. Ochrony Zdrowia
Federacji Przedsiębiorców Polskich w lutym 2026 roku.

Redakcja:
Marta Markiewicz-Melon

Warszawa, kwiecień 2026

Hemofilia

Hemofilia to choroba uwarunkowana genetycznie, należąca do grupy tzw. skaz krwotocznych, czyli schorzeń manifestujących się zaburzeniami hemostazy i/lub deficytem czynników krzepnięcia (A- czynnika VIII, B- czynnika IX). Choroba ta objawia się częstymi, spontanicznymi wylewami krwi do stawów, mięśni, narządów wewnętrznych, śluzówek i przedłużającymi się krwawieniami po urazach. Choroba ma charakter wysoce nieprzewidywalny. Krwotoki mogą pojawić się w dowolnym momencie, bez wyraźnej przyczyny zewnętrznej. Już zbyt nasilona aktywność fizyczna, niewielkie uderzenie, potrącenie czy przypadkowe stłuczenie mogą wywołać rozległe krwawienie wymagające natychmiastowej interwencji medycznej. Nawracające krwawienia do stawów powodują ich uszkodzenie i postępującą niepełnosprawność u pacjentów wraz z ilością nowych wylewów. Zarówno na co dzień, jak i w sytuacji zagrożenia zdrowia, chory jestem całkowicie uzależniony od dostępu do specjalistycznych preparatów krzepnięcia.

Dane epidemiologiczne wskazują, że w Polsce z tą chorobą żyje 3424 osób - z czego u 2925 pacjentów występuje hemofilia typu A, a u 499 typu B. Szacunki epidemiologiczne wskazują również, że u około 100-110 pacjentów ich choroba powikłana jest inhibitorem¹. Oznacza to, że u tych pacjentów organizm – w wyniku ekspozycji na podawany dożylnie czynnik krzepnięcia – zaczyna produkować przeciwciała neutralizujące go. W efekcie prowadzi to do powikłań w leczeniu (braku skuteczności leczenia hemostazy, a co za tym idzie zwiększonego ryzyka krwawień). Obecnie w Polsce system opieki nad pacjentami z hemofilią bazuje na dwóch programach – pierwszy z nich to program polityki zdrowotnej „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028” (NPLCH), drugi to program lekowy B.15 „Zapobiegania krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”. Wyzwania związane z systemem leczenia stały się przyczynkiem do dyskusji zainicjowanej przez Federację Przedsiębiorców Polskich, która zorganizowała debatę „System leczenia hemofilii w Polsce – rekomendacje zmian”.

¹ Raport: „Systemowa analiza organizacji i funkcjonowania leczenia pacjentów z hemofilią wraz z implementacją”, Fundacja Zdrowia Publicznego, 2025

Perspektywa klinikystów

Od dekad podstawą leczenia hemofilii w Polsce są koncentraty czynników krzepnięcia, wytwarzane z ludzkiego osocza lub czynniki rekombinowane będące efektem inżynierii biotechnologicznej. Dostęp do koncentratów zapewniony jest w ramach NPLCH i oceniany jest przez klinikystów jako dobry. Eksperti zwracają również uwagę na widoczny postęp terapeutyczny i nowe terapie, które udostępnione zostały populacji pediatrycznej z hemofilią A z inhibitorem i bez inhibitora w ramach programu lekowego. Zdaniem klinikystów obserwowany postęp medycyny w tym obszarze i rozwój nowych technologii zmienia jakość życia pacjentów z hemofilią.

W trakcie debaty klinicyści nakreślili trzy istotne elementy definiujące dobrze skonstruowane leczenie pacjentów z hemofilią. Pierwszym z nich jest osiągnięcie przez chorych na hemofilię wskaźników długości życia takich samych, jak te obserwowane w populacji ogólnej. Kolejnym - uzyskanie u pacjentów możliwie wysokiej jakości życia. Trzecim elementem jest wzmacnianie sprawczości i umożliwienie pacjentom współdecydowania o wdrażanej u nich terapii – chodzi o to by pacjent wspólnie z lekarzem mógł dokonać wyboru terapii spośród kilku dostępnych (personalizacja). W ocenie prof. Jerzego Windygi oraz prof. Jacka Trelińskiego lekarze hematolodzy zajmujący się leczeniem dorosłych pacjentów z hemofilią nie dysponują pełnym wachlarzem terapii w

przypadku pacjentów bez inhibitora, co ogranicza możliwości indywidualizacji leczenia i wykorzystania nowoczesnych terapii. W efekcie pacjenci leczeni standardowymi koncentratami czynnika VIII wymagają bardzo częstych dożylnych podań – nawet 150–180 wstrzyknień rocznie. Stanowi to poważne obciążenie terapeutyczne, obniża jakość życia pacjentów, a wielu chorym utrudnia leczenie – szczególnie w sytuacjach, w których dochodzi do pojawienia się problemów z dostępem żylnym (będącego m.in. efektem wcześniej prowadzonej terapii i zniszczenia naczyń krwionośnych).

Klinicyści zwrócili również uwagę na nierówność w dostępie do nowoczesnych terapii i ograniczoną w populacji dorosłych pacjentów możliwość skorzystania z czynników krzepnięcia o przedłużonym działaniu oraz nieczynnikowych terapii podskórnych. Problem nierówności w dostępie do nowoczesnych terapii w sposób szczególny dotyka pacjentów, u których hemofilia nie jest powikłana inhibitorem (tzw. organizm pacjenta nie wytwarza przeciwciał neutralizujących podawany czynnik krzepnięcia). W trakcie dyskusji podkreślono, że jeden z leków (emicizumab) przeznaczony dla pacjentów z ciężką i umiarkowaną postacią hemofilii A niepowikłaną inhibitorem otrzymał pozytywną rekomendację Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, natomiast kolejne dwie terapie znajdują się

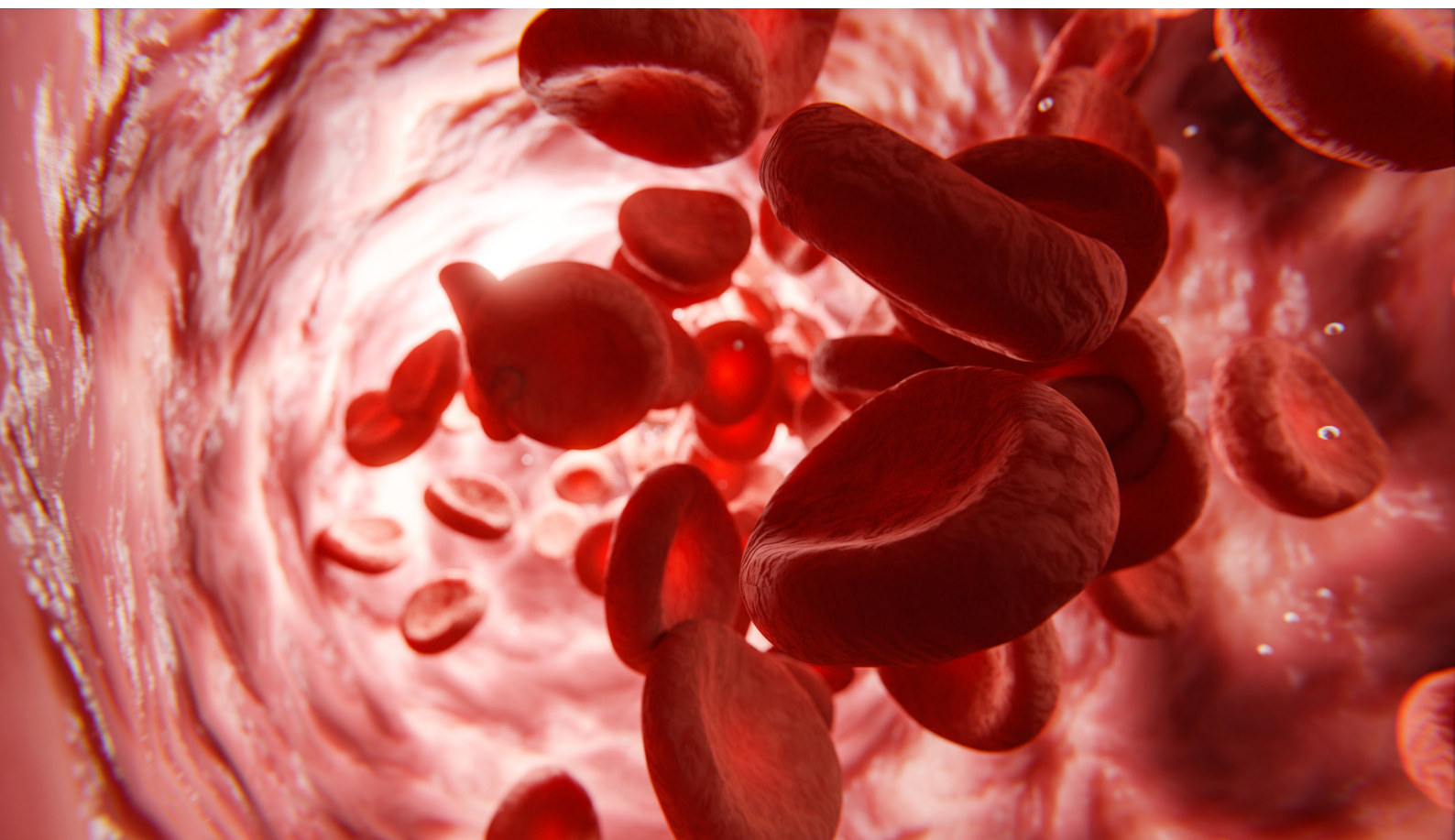
w procesie oceny. W ramach Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne nowe terapie nie są włączane do finansowania na bieżąco, tak jak ma to miejsce w programach lekowych. Czas oczekiwania jest ponadto powiązany z procesami oceny kolejnych molekuł, co powoduje znaczące opóźnienia w udostępnianiu terapii tej grupie pacjentów.

Istotnym tematem związanym z nowymi opcjami terapeutycznymi jest kwestia ich skuteczności, a także bezpieczeństwa ich stosowania. Praktyka kliniczna krajo-

wych ośrodków pokrywa się w tym obszarze z danymi naukowymi oraz doświadczeniami ośrodków zagranicznych.

Jednocześnie zwrócono uwagę, że nie każdy dorosły pacjent będzie kandydatem kwalifikującym się do terapii podskórnej, a dodatkowo część chorych preferuje klasyczne formy leczenia (profilaktyki) z wykorzystaniem czynników podawanych drogą dożylną. Dlatego, zarówno dla klinicystów, jak i pacjentów – kluczowa jest personalizacja terapii i możliwość wspólnego wyboru metody zapobiegania krwawieniom.

Wniosek: Nowoczesne terapie redukują liczbę krwawień, poprawiają jakość życia pacjentów i redukują obciążenie pacjentów chorobą. Najważniejszym celem systemu powinno być zapewnienie lekarzom i pacjentom dostępu do szerokiego wachlarza opcji terapeutycznych oraz możliwości ich indywidualnego wyboru (personalizacja terapii).



Perspektywa pacjentów

W ocenie chorych na ciężką hemofilię A niepowikłaną inhibitorem – choroba znacząco obniża jakość życia. Standardowo stosowana profilaktyka ograniczała aktywność chorych m.in. z powodu ryzyka samoistnych wylewów do stawów. Ponadto negatywnie wpływała na życie społeczne pacjentów, a tym samym definiowała życie ich najbliższych.

Pacjenci, którzy skorzystali z nieczynnikowej terapii podskórnej podkreślali jakościową zmianę, jaka nastąpiła w ich życiu. Zwrócili uwagę na fakt, że od momentu rozpoczęcia terapii krwawienia samoistne do stawów praktycznie ustały – to zmieniło komfort ich życia oraz postrzeganie choroby. W dyskusji podkreślono, że zmiana leczenia miała istotny wpływ na aktywność zawodową dorosłych pacjentów, którzy deklarowali większą swobodę w wyborze zawodu oraz brak obaw związanych z podejmowanymi wyzwaniami

związanymi m.in. z rozwojem w danej dziedzinie.

W trakcie spotkania głos zabrała również mama pacjenta z ciężką hemofilią A niepowikłaną inhibitorem, który pod koniec ubiegłego roku ze względu na osiągnięcie pełnoletności stracił możliwość stosowania terapii podskórnej i przeszedł z programu lekowego B.15, z którego korzystają dzieci, do „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilią i Pokrewne Skazy Krwotoczne na latach 2024-2028”. W efekcie konieczny był powrót do leczenia dożylnymi czynnikami krzepnięcia. Niestety powrót do wcześniejszej formy terapii znacznie obniżył komfort życia pacjenta, zwiększył ryzyko kolejnych wylewów do już zniszczonego stawu skokowego. W ocenie bliskich pacjenta okres leczenia podskórnego był dla nich „złotym czasem”, a utrata tej możliwości wyłącznie z powodu osiągnięcia pełnoletności jest dla nich bardzo bolesna i niezrozumiała.

Wniosek: Doświadczenia osób leczonych terapią podskórną pokazują, że dostęp do niej istotnie poprawił komfort ich życia i ograniczył krwawienia. W przypadku osób osiągających pełnoletność, konieczne jest zapewnienie ciągłości leczenia po przejściu z programu lekowego B.15 do „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilią i Pokrewne Skazy Krwotoczne na latach 2024-2028”.

Perspektywa instytucji publicznych

System leczenia hemofilii w Polsce to narzędzie, które w ocenie Magdaleny Kramskiej, zastępczyni Dyrektora Departamentu Lecznictwa w Ministerstwie Zdrowia, spełnia swoją rolę – zabezpiecza terapię dla szerokiego grona pacjentów, ma stabilne finansowanie, gwarantuje pacjentom stopniową poprawę dostępności do terapii, umożliwia centralną dystrybucję koncentratów czynników krzepnięcia, a także pozytywnie stymuluje rozwój wyspecjalizowanych ośrodków leczenia w każdym województwie. Zarówno Narodowy Program Leczenia Hemofilii, jak i program lekowy zabezpieczają podstawowe potrzeby pacjentów, ale jednocześnie wymagają ciągłego dostosowywania do nowych terapii, zmieniającej się populacji pacjentów i postępu medycyny. Oba programy mają zarówno zalety, jak również wady, których resort jest świadomy.

W katalogu zalet programu lekowego wymienia się m.in. precyzyjne kryteria kwalifikacji pacjentów, możliwość skrupulatnego monitorowania efektów leczenia, większą przewidywalność wydatków dla budżetu Narodowego Funduszu Zdrowia, możliwość negocjowania ceny zakupu leków oraz stabilniejszą ścieżkę finansowania w ramach kwoty refundacji. Wśród ograniczeń związanych z realizacją programu lekowego, przedstawicielka Mini-

sterstwa Zdrowia wskazała na sztywność zasad, wymogi raportowania w systemie SMPT (wyzwanie biurokratyczne dla lekarzy), ale również większe trudności i czasochłonność procesu w przypadku konieczności zmiany kryteriów refundacyjnych oraz zależność refundacji od procesów legislacyjnych i decyzji producentów leków (podmiotów odpowiedzialnych).

Wśród zalet Narodowego Programu Leczenia Hemofilii i Pokrewnych Skaz Krwotocznych znalazły się m.in.: większa elastyczność decyzyjna związana z przyznawaniem terapii, szerszy zakres działania wykraczający poza dystrybucję produktów leczniczych (w ramach programu finansowane są m.in. specjalistyczne zabiegi ortopedyczne czy stomatologiczne), a także możliwość zastosowania nadzwyczajnego trybu zaopatrzenia pacjenta (na podstawie indywidualnej zgody Ministra Zdrowia). Wadami są mniejsze możliwości negocjacyjne w odniesieniu do ceny produktu (z uwagi na konieczność organizowania przetargów) oraz mniejsza dostępność do terapii.

Dodatkową wartością NPLH jest to, że funkcjonuje on jako model opieki kompleksowej koordynowanej i nadzorowanej przez Instytut Hematologii i Transfuzjologii. Dzięki finansowaniu programu poli-

tyki możliwe było utworzenie 27 wyspecjalizowanych ośrodków leczenia hemofilii (sieć ośrodków referencyjnych), a także stworzenie systemu szkoleń dla personelu medycznego (co roku korzysta z nich około 180 osób).

Celem ministerstwa jest obecnie znalezienie takiego modelu finansowania i organizacji opieki, w którym wykorzystana zostałaby synergia obu mechanizmów. W obecnym, dychotomicznym systemie jednym z dylematów resortu jest wybór priorytetów terapeutycznych, który uwzględniałby możliwość personalizacji terapii.

Obecni na spotkaniu eksperci, dr Katarzyna Sejbuk-Rozbicka z Uczelni Łazarzkiego- współautorka raportu: Hemofilia. Stan obecny i kierunki rozwoju” oraz dr Michał Seweryn z EconMed Europe- współautor opracowania „Systemowa analiza organizacji i funkcjonowania leczenia pacjentów z hemofilią wraz z implementacją”, zwrócili uwagę na niewykorzystany potencjał związany z dużą ilością danych gromadzonych przez instytucje publiczne nadzorujące realizacje programu lekowego oraz Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne (NPLH). Dane te powinny stać się elementem analizy skuteczności terapii w oparciu o rzeczywiste dane kliniczne (Real

World Data). Jednocześnie pacjenci z hemofilią żyją coraz dłużej, dlatego system ochrony zdrowia powinien być gotowy do świadczenia im skoordynowanej opieki wielospecjalistycznej uwzględniającej różnorodne potrzeby związane z m.in. fizjoterapią, opieką pielęgniarską oraz wsparciem psychologicznym. Niestety w obecnych realiach pacjenci odczuwają brak interdyscyplinarnego modelu opieki nad chorymi z hemofilią. Jednocześnie należy podkreślić, że w ostatnich latach widoczne są działania decydentów zmierzające do poprawy organizacji opieki i stopniowego wdrażania bardziej kompleksowych rozwiązań systemowych w tym obszarze jakim było uruchomienie programu lekowego sprzed kilku lat.

Michał Seweryn podkreślił również wagę danych związanych z całkowitymi kosztami hemofilii w Polsce – które zgodnie z analizami przeprowadzonymi przez EconMed Europe - znacząco wykraczają poza finansowanie leków i procedur medycznych. Tylko w 2024 roku bezpośrednie koszty związane z leczeniem hemofilii, a pokrywane przez MZ i NFZ, wyniosły 521 mln zł, podczas gdy bezpośrednie nakłady pacjentów w tym samym czasie pochłonęły 10 mln zł, a społeczne koszty hemofilii oszacowano na 433 mln złotych.

Wniosek: Ministerstwo Zdrowia postrzega obecny system leczenia hemofilii jako stabilny i skuteczny. Jednocześnie widzi wyzwania jakim są konieczność pogodzenia rozszerzających się dynamicznie możliwości terapeutycznych z ograniczeniami finansowymi oraz stworzenie modelu opieki nad pacjentami, łączącego elastyczność, kontrolę kosztów i szeroki dostęp do innowacji.

Postulaty:

1. Polski system leczenia hemofilii osiągnął znaczący postęp organizacyjny jednak dalszy rozwój powinien koncentrować się na kompleksowej opiece nad dorosłymi pacjentami, efektywnym wykorzystaniu danych klinicznych do zarządzania systemem oraz strategicznym przygotowaniu systemu ochrony zdrowia na nadchodzącą erę terapii innowacyjnych i genowych.
2. Koniecznym jest jak najszybsze zapewnienie szerszego dostępu populacji dorosłych pacjentów do już zarejestrowanych, nowoczesnych terapii w leczeniu hemofilii – w tym do terapii podskórnych czy czynników krzepnięcia o długim i ultradługim czasie działania.
3. Nadrzędnym celem systemu opieki nad pacjentami z hemofilią powinno być zapewnienie lekarzom i pacjentom nie tylko dostępu do szerokiego wachlarza opcji terapeutycznych, ale również wprowadzenie modelu umożliwiającego większy poziom personalizacji terapii. Decyzje kliniczne powinny uwzględniać zarówno jego stan kliniczny, jak również preferencje chorego oraz styl życia wspierając tym samym optymalizację efektów terapeutycznych i jakość życia.
4. Konieczne jest zapewnienie ciągłości terapii pacjentom pediatrycznym wkraczającym w dorosłość w szczególności poprzez zagwarantowanie kontynuacji dotychczasowego leczenia, realizowanego w ramach programu lekowego B.15 po osiągnięciu 18. roku życia.
5. Dalsze wzmocnienie roli wyspecjalizowanych ośrodków leczenia hemofilii oraz przygotowanie kompleksowego wsparcia opieki wielodyscyplinarnej nad dorosłymi pacjentami, zapewniającego skoordynowane wsparcie na wszystkich etapach terapii.
6. Niezbędne jest wzmocnienie dialogu pomiędzy kluczowymi interesariuszami systemu – przedstawicielami Ministerstwa Zdrowia – radą Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilią i Pokrewne Skazy Krwotoczne, środowiskiem klinicznym oraz organizacjami pacjenckimi.

