

The Roche logo, consisting of the word "Roche" in a white, sans-serif font, enclosed within a white hexagonal border.

# HEMLIBRA w Narodowym Programie Leczenia Hemofilii i Pokrewnych Skaz Krwotocznych na lata 2019 - 2023

---

Krystyna Zawilska

Uniwersytet Medyczny im. Karola Marcinkowskiego;  
Centrum Diagnostyczno-Lecznicze INTERLAB w Poznaniu

*Warszawa 22-23.03.2019 r.*

The logo for HEMLIBRA emicizumab, featuring a stylized graphic of three curved lines in red, orange, and blue above the text "HEMLIBRA" and "emicizumab".

**HEMLIBRA**  
emicizumab

AKCEPTUJĘ  
Z upoważnienia  
MINISTRA ZDROWIA  
PODSEKRETARZ STANU  
*Sławomir Gademski*  
19.10.2018  
.....  
dnia

Minister Zdrowia

PROGRAM POLITYKI ZDROWOTNEJ

Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię  
i Pokrewne Szkazy Krwotoczne

OKRES REALIZACJI

Lata 2019-2023

Podstawa prawna: art. 48 ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r. poz. 1530, t.j. z 9 sierpnia 2018 r.)

Warszawa, 2018 r.

 Ministerstwo  
Zdrowia

AKCEPTUJĘ  
Z upoważnienia  
MINISTRA ZDROWIA  
PODSEKRETARZ STANU  
*Sławomir Gademski*  
19.10.2018  
.....  
dnia

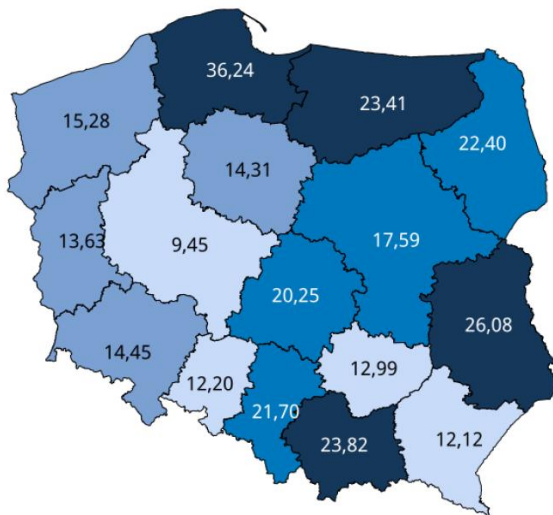
# Autorzy Programu

1. prof. dr hab. n. med. Jerzy Windyga - Kierownik Kliniki Zaburzeń Hemostazy i Chorób Wewnętrznych Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie,
2. dr n. med. Joanna Zdziarska - Oddział Kliniczny Hematologii Szpitala Uniwersyteckiego w Krakowie
3. prof. dr hab. n. med. Krystyna Zawilska - Grupa ds. Hemostazy Polskiego Towarzystwa Hematologów i Transfuzjologów,
4. **prof. dr hab. Jerzy Robert Ładny - Konsultant Krajowy w dziedzinie medycyny ratunkowej,**
5. **prof. dr hab. n. med. Piotr Marek Radziwon - Konsultant Krajowy w dziedzinie transfuzjologii klinicznej,**
6. **prof. dr hab. n. med. Wiesław Wiktor Jędrzejczak - Konsultant Krajowy w dziedzinie hematologii,**
7. dr hab. n. med. Paweł Łaguna - Oddział Kliniczny Hematologii i Pediatrii Samodzielnego Publicznego Dziecięcego Szpitala Klinicznego w Warszawie,
8. dr n. med. Magdalena Górską-Kosicka - Klinika Zaburzeń Hemostazy i Chorób Wewnętrznych Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie,
9. **Bogdan Gajewski - Prezes Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię,**
10. **Zbigniew Babiak- Prezes Stowarzyszenia Chorych na Wrodzone Skazy Krwotoczne,**
11. **mgr farm. Joanna Królak-Buzakowska - Specjalista w Wydziale Refundacyjno-Analitycznego w Departamencie Polityki Lekowej i Farmacji w Ministerstwie Zdrowia,**
12. lek. med. Mirosława Stocka-Mirońska - Naczelnik Wydziału Ratownictwa Medycznego w Departamencie Ratownictwa Medycznego i Obronności w Ministerstwie Zdrowia,
13. **dr n. farm. Beata Rozbicka – Dyrektor Narodowego Centrum Krwi,**
14. **Krystyna Bylicka - Kierownik Wydziału Programowania, Analiz i Programów Polityki Zdrowotnej w Narodowym Centrum Krwi,**
15. **mgr Ryszard Jakubowski - Starszy specjalista w Wydziale Programowania, Analiz i Programów Polityki Zdrowotnej w Narodowym Centrum Krwi**

# Wskaźnik zapadalności rejestrowanej na wrodzone zaburzenia krzepnięcia i skazy krwotoczne /100 tys. osób w 2014 roku w Polsce

(zgodnie z mapami potrzeb zdrowotnych)

Liczbę chorych w analizowanej podgrupie w Polsce oszacowano na **7 200**  
(19,0/ 100 000 mieszkańców)



Na podstawie danych NFZ i GUS

# Wrodzone skazy krwotoczne

	A	B
<b>Hemofilia</b>	2 253	399
<b>Chorzy z inhibitorem</b>	<b>148</b>	4
<b>Nosicielki hemofilii</b>	41	24
<b>Inne wrodzone skazy krwotoczne w Polsce</b>		
<b>choroba von Willebranda</b>		1 978
<b>niedobór czynnika VII</b>		309
<b>niedobory fibrynogenu</b>		116
<b>niedobór czynnika XI</b>		72
<b>inne skazy osoczowe</b>		71
<b>wrodzone trombocytopatie</b>		244
<b>Razem</b>		<b>4277</b>

Institut Hematologii i Transfuzjologii, marzec 2019 r.

## Łączna liczba chorych, którzy w 2017 roku przynajmniej raz pobrali koncentrat czynnika krzepnięcia lub desmopresynę w ramach „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2012-2018”

Rok	Podział wg wieku	Hemofilia A	Hemofilia B	Choroba von Willebranda	Nabyta hemofilia A	Inne skazy krwotoczne
2017	Dorośli	1243	193	437	44	181
	Dzieci	297	54	200	0	64
	Razem dorośli i dzieci	1540	247	637	44	245
	Razem wszystkie skazy krwotoczne	2713				

<https://www.gov.pl/web/zdrowie/narodowy-program-leczenia-chorych-na-hemofilie-i-pokrewne-skazy-krwotoczne-na-lata-2019-2023>

## Liczba chorych, którzy otrzymują koncentrat czynnika krzepnięcia w ramach programu „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B” (stan na czerwiec 2018 roku)

Grupa pacjentów	Liczba pacjentów
Pacjenci z hemofilią A leczeni czynnikiem VIII osoczopochodnym	180
Pacjenci z hemofilią A leczeni czynnikiem VIII rekombinowanym	125
Pacjenci z hemofilią B leczeni czynnikiem IX osoczopochodnym	34
Pacjenci z hemofilią B leczeni czynnikiem IX rekombinowanym	23

<https://www.gov.pl/web/zdrowie/narodowy-program-leczenia-chorych-na-hemofilie-i-pokrewne-skazy-krwotoczne-na-lata-2019-2023>

## Roczne zużycie poszczególnych koncentratów czynników krzepnięcia w ramach „Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne” na mieszkańca kraju

Produkty lecznicze	Roczne zużycie poszczególnych koncentratów czynników krzepnięcia na mieszkańca kraju				
	2019	2020	2021	2022	2023
czynnik VIII <sup>5</sup> (j.m.)	5,30	5,99	6,68	7,58	8,00
czynnik IX <sup>5</sup> (j.m.)	0,75	0,86	0,97	1,04	1,11
czynnik VIII zawierający czynnik von Willebranda (j.m.) <sup>6</sup>	0,53	0,61	0,64	0,7	0,76
koncentrat aktywowanych czynników zespołu protrombiny (aPCC) (j.m)	0,59	0,66	0,79	0,79	0,79
koncentrat czynników zespołu protrombiny (PCC) (j.m.)	0,03	0,03	0,03	0,04	0,04
koncentrat czynnika VII (j.m.)	0,02	0,02	0,02	0,02	0,02
koncentrat rekombinowanego czynnika VIIa (mcg)	0,82	0,88	0,92	0,92	0,92
koncentrat fibrynogenu (mcg)	6,58	7,24	7,89	8,68	9,21
koncentrat czynnika XIII (j.m.)	0,005	0,005	0,005	0,005	0,005

<https://www.gov.pl/web/zdrowie/narodowy-program-leczenia-chorych-na-hemofilie-i-pokrewne-skazy-krwotoczne-na-lata-2019-2023>



# Cele Programu polityki zdrowotnej

## Cel główny:

Zapewnienie opieki i poprawa standardu leczenia chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne

## Cele szczegółowe:

1. Poprawa jakości życia osób chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, zmniejszenie chorobowości poprzez objęcie opieką w specjalistycznych ośrodkach dedykowanych tej grupie chorych
2. Zaopatrzenie w leki niezbędne dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, poprawa jakości obsługi tej grupy chorych poprzez zmniejszenie uciążliwości związanych z odbiorem produktów leczniczych, celem prowadzenia profilaktyki i leczenia domowego

<https://www.gov.pl/web/zdrowie/narodowy-program-leczenia-chorych-na-hemofilie-i-pokrewne-skazy-krwotoczne-na-lata-2019-2023>

## Cele Programu polityki zdrowotnej (2)

### Cele szczegółowe (d.c.):

3. Wzmocnienie nadzoru nad stosowaniem produktów leczniczych u ww. grupy chorych, skoordynowanie działań na szczeblu ogólnopolskim
  - podniesienie wiedzy personelu medycznego zaangażowanego w sprawowanie specjalistycznej opieki nad tą grupą chorych
  - monitorowanie leczenia z wykorzystaniem **rejstru medycznego** chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne

<https://www.gov.pl/web/zdrowie/narodowy-program-leczenia-chorych-na-hemofilie-i-pokrewne-skazy-krwotoczne-na-lata-2019-2023>

# Sposób realizacji programu

- Powołanie i funkcjonowanie **Ośrodków Leczenia Hemofilii i Pokrewnych Skaz Krwotocznych** i objęcie pacjentów kompleksową opieką w tych ośrodkach
- Powołanie i funkcjonowanie **Rady Programu**
- Rada Programu zostanie powołana przez Ministra Zdrowia i będzie składać się z przedstawicieli ośrodków leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, stowarzyszeń chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne, Ministerstwa Zdrowia oraz Narodowego Centrum Krwi.  
Rada Programu może zaprosić do udziału w posiedzeniach dodatkowe osoby
- Rada Programu będzie obradować co najmniej dwa razy w roku.  
Obsługę techniczną Rady zapewni Narodowe Centrum Krwi
- Utworzenie i prowadzenie rejestru medycznego chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne

<https://www.gov.pl/web/zdrowie/narodowy-program-leczenia-chorych-na-hemofilie-i-pokrewne-skazy-krwotoczne-na-lata-2019-2023>

# Wybrane zadania Rady Programu

- 1) Doradzanie i tworzenie rekomendacji dla ministra właściwego do spraw zdrowia w aspekcie hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, z własnej inicjatywy lub na polecenie ministra
- 4) Określenie szczegółowych kryteriów kwalifikacji do dostaw domowych koncentratów czynników krzepnięcia i kwalifikowanie pacjentów do tych dostaw
- 5) **Przyjmowanie i opiniowanie zgłoszeń pacjentów do leczenia wybranych terapii**
- 7) Inicjatywa w zakresie proponowania Ministrowi Zdrowia rekomendacji dotyczących wprowadzenia do Programu nowych zadań oraz odstępowania od kontynuowania zadań już realizowanych, **w tym wprowadzania do Programu nowo rejestrowanych produktów leczniczych dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne**

<https://www.gov.pl/web/zdrowie/narodowy-program-leczenia-chorych-na-hemofilie-i-pokrewne-skazy-krwotoczne-na-lata-2019-2023>

## Wybrane zadania Rady Programu (d.c.)

- **Wdrażanie nowo rejestrowanych leków, emicizumabu, rekombinowanego wieprzowego czynnika VIII oraz czynników krzepnięcia o przedłużonym działaniu w uzasadnionych przypadkach w ramach budżetu Programu**
- Z uwagi na spodziewane przez środowisko ekspertów w zakresie leczenia hemofilii i pokrewnych skaz krwotocznych, rejestracje i wejście na rynek nowych produktów leczniczych, dopuszcza się modyfikację Programu przez ministra właściwego do spraw zdrowia
- Rada Programu będzie monitorowała rejestrację nowych terapii i ich wejście na rynek, a następnie w razie zasadności, będzie proponowała ministrowi właściwemu do spraw zdrowia, modyfikację Programu

<https://www.gov.pl/web/zdrowie/narodowy-program-leczenia-chorych-na-hemofilie-i-pokrewne-skazy-krwotoczne-na-lata-2019-2023>

# Rejestracja nowych terapii i modyfikacja Programu

- Modyfikacja Programu będzie odbywała się w ramach środków przeznaczonych na Program, a wprowadzenie nowych leków będzie odbywało się poprzez zmniejszenie wolumenu produktów leczniczych dotychczas stosowanych. Rozwiązanie to pozwoli na wprowadzenie konkurencyjności pomiędzy produktami leczniczymi dotychczas stosowanymi, a nowymi
- Warunkiem modyfikacji Programu będzie wykazanie **efektywności medycznej lub kosztowej** w ramach możliwości budżetu Programu, przy stosowaniu nowo zarejestrowanych terapii wobec dotychczas dostępnych w Programie koncentratów czynników krzepnięcia i desmopresyny
- Aktualizacja Programu w tym zakresie będzie przedmiotem opinii AOTMiT

<https://www.gov.pl/web/zdrowie/narodowy-program-leczenia-chorych-na-hemofilie-i-pokrewne-skazy-krwotoczne-na-lata-2019-2023>

# Koszty zakupu produktów leczniczych i koszty całkowite w poszczególnych latach

INTERWENCJA	FINANSOWE DZIAŁANIE	2019	2020	2021	2022	2023
Zakupy produktów leczniczych dla chorych na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne oraz zapewnienie pacjentom zakupionych produktów leczniczych zgodnie z kryteriami kwalifikacji i wyłączenia w rozdziale III. 2. Programu	Finansowanie produktów leczniczych zgodnie z tabelą 14	282 700 000 zł	314 000 000 zł	351 700 000 zł	369 600 000 zł	381 900 000 zł
łącznie		284 690 000 zł	318 851 000 zł	354 134 000 zł	372 034 000 zł	384 334 000 zł

<https://www.gov.pl/web/zdrowie/narodowy-program-leczenia-chorych-na-hemofilie-i-pokrewne-skazy-krwotoczne-na-lata-2019-2023>

## Ilości wybranych koncentratów czynników krzepnięcia przewidywane do zakupu w kolejnych latach realizacji Programu

Nazwa produktu leczniczego <sup>11</sup>	2019	2020	2021	2022	2023
koncentrat czynnika VIII (j.m.)	200 000 000	225 000 000	250 000 000	280 000 000	290 000 000
koncentrat rekombinowanego czynnika VIII (j.m.)	1 500 000	2 500 000	4 000 000	8 000 000	14 000 000
koncentrat czynnika VIII zawierającego czynnik von Willebranda o proporcji VWF:FVIII co najmniej 1:1 (j.m. czynnika von Willebranda)	10 000 000	12 000 000	12 500 000	13 500 000	15 000 000
koncentrat aktywowanych czynników zespołu protrombiny (aPCC) (j.m.)	22 500 000	25 000 000	30 000 000	30 000 000	30 000 000
koncentrat rekombinowanego czynnika VIIa (mg)	31 000	33 500	35 000	35 000	35 000

<https://www.gov.pl/web/zdrowie/narodowy-program-leczenia-chorych-na-hemofilie-i-pokrewne-skazy-krwotoczne-na-lata-2019-2023>



**WNIOSEK DO RADY PROGRAMU  
O FINANSOWANIE NOWEJ TERAPII W RAMACH  
NARODOWEGO PROGRAMU LECZENIA HEMOFILII I  
POKREWNYCH SKAZ KRWOTOCZNYCH NA LATA 2019-2023**

**DOTYCZY LEKU (nazwa chemiczna lub nazwa klasy leków):**

**(projekt)**

# Wniosek do Rady Programu o finansowanie nowej terapii dla pacjenta (1)



Lekarz zgłaszający pacjenta (imię i nazwisko, telefon / email kontaktowy)	
<u>Ośrodek leczenia hemofilii</u>	
<u>Imię i nazwisko pacjenta</u>	
<u>PESEL pacjenta</u>	
<u>Województwo zamieszkania pacjenta</u>	
<u>Aktualna masa ciała</u>	
<u>Typ i postać skazy krwotocznej (w tym aktywność niedoborowego czynnika krzepnięcia, obecność inhibitora)</u>	
<u>Data i okoliczności rozpoznania skazy krwotocznej, przebieg kliniczny choroby (w tym obecność i rodzaj krwawień, przebyte krwawienia zagrożające życiu)</u>	

# Wniosek do Rady Programu o finansowanie nowej terapii dla pacjenta (2)

<b>Wyniki badań laboratoryjnych istotnych dla kwalifikacji do nowej terapii</b>	
<b>Choroby towarzyszące, przyjmowane leki</b>	
<b>Dotychczasowe leczenie pacjenta (preparaty, schemat leczenia, dawkowanie)</b>	
<b>Dostęp naczyniowy pacjenta</b>	

# Wniosek do Rady Programu o finansowanie nowej terapii dla pacjenta (3)



<b>Opis bezpieczeństwa i skuteczności dotychczasowej terapii (np. liczba krwawień w ciągu ostatnich 12 miesięcy, krwawienia zagrażające życiu, zużycie koncentratów czynników krzepnięcia w ciągu ostatnich 12 miesięcy)</b>	
<b>Planowane dawkowanie nowego leku, schemat leczenia</b>	
<b>Uzasadnienie wniosku (wykazanie efektywności medycznej lub kosztowej nowej terapii u pacjenta)</b>	
<b>Uzasadnienie pilności wniosku</b>	
<b>Dodatkowe uwagi</b>	
<b>Lista załączników do wniosku</b> <i>(sugerowane załączniki: kopia ostatniej karty postępowania, kopia legitymacji chorego, istotnych wypisów z hospitalizacji)</i>	

# Wniosek do Rady Programu o finansowanie nowej terapii dla pacjenta (4)

<b>Uzasadnienie pilności wniosku</b>	
<b>Dodatkowe uwagi</b>	
<b>Lista załączników do wniosku</b> <i>(sugerowane załączniki: kopia ostatniej karty postępowania, kopia legitymacji chorego, istotnych wypisów z hospitalizacji)</i>	

# Droga służbowa wniosku o finansowanie nowej terapii w ramach Narodowego Programu Leczenia Hemofilii i Pokrewnych Skaz Krwotocznych na lata 2019-2023

1. Wystawienie wniosku w Ośrodku Leczenia Hemofilii i Pokrewnych Skaz Krwotocznych

2. Rada Programu

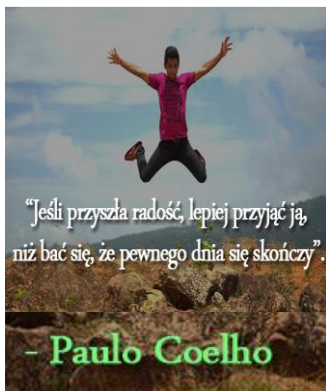
3. Minister zdrowia

4. Agencja Ochrony Technologii Medycznych i Taryfikacji

5. Minister Zdrowia

6. Narodowe Centrum Krwi

7. Pacjent



**Dziękuję za uwagę**

**kontakt: [k.zawilska@interia.pl](mailto:k.zawilska@interia.pl)**