



Opinia Rady Przejrzystości
nr 130/2026 z dnia 7 września 2026 roku
w sprawie objęcia refundacją leków zawierających substancję
rurioktokog alfa pegol w zakresie wskazań do stosowania
lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone
w Charakterystyce Produktu Leczniczego

Rada Przejrzystości uważa za zasadną kontynuację refundacji leków zawierających substancję czynną rurioktokog alfa pegol we wskazaniu pozarejestacyjnym: zapobieganie krwawieniom u dzieci poniżej 12 r.ż. z hemofilią A (ICD-10: D66) w ramach programu lekowego B.15.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Hemofilia A jest wrodzoną skazą krwotoczną spowodowaną zmniejszeniem aktywności czynnika VIII. W obrazie ciężkiej postaci choroby, w której aktywność czynnika VIII spada poniżej 1% normy, dominują samoistne krwawienia do stawów (z powikłaniem w postaci tzw. artropatii hemofilowej), krwawienia do mięśni, krwimocz, krwawienia z przewodu pokarmowego i wewnątrzczaszkowe. Rurioktokog alfa pegol jest pegylowanym, rekombinowanym ludzkim czynnikiem VIII o wydłużonym okresie półtrwania. Rurioktokog alfa pegol to koniugat oktokogu alfa z glikolem polietylenowym (PEG). Aktywność terapeutyczna rurioktokogu alfa pegol pochodzi od oktokogu alfa, który został kowalencyjnie sprzężony z odczynnikiem PEG w celu wydłużenia okresu półtrwania w osoczu. W 2023 r. Rada Przejrzystości wydała pozytywną opinię (167/2023) dotyczącą zasadności objęcia refundacją leków zawierających substancję czynną rurioktokog alfa pegol we wskazaniu: zapobieganie krwawieniom u dzieci poniżej 12 r.ż. z hemofilią A (ICD-10 D 66) w ramach programu lekowego B.15, powołując się na pozytywne opinie ekspertów klinicznych, wyniki badań naukowych i zgodność z najnowszymi rekomendacjami towarzystw naukowych.

Nowe dane naukowe dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa terapii u dzieci poniżej 12 r.ż. pozostają skąpe (małe grupy badane). Nie stanowią jednak podstawy do zmiany wcześniejszej decyzji Rady Przejrzystości.

W przeglądzie systematycznym (Feng et al. 2025) stwierdzono, że wśród produktów EHL rFVIII, pacjenci pediatryczni z HA, którzy stosowali rurioktokog

alfa pegol, mieli niski odsetek rozwoju inhibitora. W badaniu Kim et al. 2025 obejmującego 338 pacjentów z HA w Korei Południowej, w tym dzieci poniżej 12 roku życia (n=54), wykazano, że profil bezpieczeństwa rurioktokog alfa pegolu był zgodny z wcześniejszymi doniesieniami.

Główny argument decyzji

Brak podstaw do zmiany wcześniejszej decyzji Rady Przejrzystości.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2026 r. poz. 253), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2025 r. poz. 1461).