



Opinia Rady Przejrzystości
nr 201/2025 z dnia 17 listopada 2025 roku
w sprawie wprowadzenia produktu leczniczego Hemlibra
(emicizumab) do programu polityki zdrowotnej „Narodowy Program
Leczenia Chorych Na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata
2024-2028”

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wprowadzenie produktu leczniczego:

- Hemlibra (emicizumab), roztwór do wstrzykiwań, 30 mg/ml, 1 fiol. 0,4 ml, GTIN: 07613326059008;
- Hemlibra (emicizumab), roztwór do wstrzykiwań, 30 mg/ml, 1, fiol. 1 ml, GTIN: 07613326004756;
- Hemlibra (emicizumab), roztwór do wstrzykiwań, 150 mg/ml, 1, fiol. 0,4 ml, GTIN: 07613326004442;
- Hemlibra (emicizumab), roztwór do wstrzykiwań, 150 mg/ml, 1, fiol. 0,7 ml, GTIN: 07613326004534;
- Hemlibra (emicizumab), roztwór do wstrzykiwań, 150 mg/ml, 1, fiol. 1 ml, GTIN: 07613326004763;

do modułu programu polityki zdrowotnej „Narodowy Program Leczenia Chorych Na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028” we wskazaniu: dla pacjentów z ciężką lub umiarkowaną postacią hemofilii A bez inhibitora, pod warunkiem zrównania kosztów terapii profilaktycznej z kosztami terapii profilaktycznej preparatami czynnika VIII.

Problem zdrowotny

Hemofilia A to genetyczna choroba krwi, wynikająca z mutacji genu F8, czego skutkiem jest niedobór lub brak czynnika VIII (FVIII). Choroba objawia się predyspozycją do krwawień samoistnych i pourazowych.

Szacuje się, że częstość występowania hemofilii A wynosi około 1 na 10 000 urodzeń płci męskiej. Według danych NFZ liczba pacjentów z rozpoznaniem ICD-10 D.66 (dziedziczny niedobór czynnika VIII) w ostatnich latach w Polsce utrzymywała się na zbliżonym poziomie, z niewielką tendencją wzrostową. W 2024 roku w populacji dorosłych było 1 613 osób z hemofilią A.

Klasyfikuje się trzy główne postacie choroby:

- ciężka: < 1 % FVIII – ryzyko samoistnych krwawień do stawów i mięśni, czasem krwotoków wewnątrzczaszkowych;
- umiarkowana: 1-5 % – krwawienia pourazowe;
- łagodna: 5-40 % – głównie po urazach.

Rokowanie poprawiło się dzięki profilaktyce i terapii substytucyjnej.

Główne objawy hemofilii to samoistne, często bolesne krwawienia do stawów (ok. 70-80 %), mięśni (ok.10-20 %) oraz rzadziej do ośrodkowego układu nerwowego czy narządów. U niemowląt pierwsze, przedłużone krwawienia pojawiają się już po szczepieniach, później typowo krwawienia stawowe (po 1 roku życia).

Objawy skazy krwotocznej ujawniają się zwykle na przełomie 1. i 2. roku życia. Ciężka hemofilia A często ujawnia się w pierwszych miesiącach życia, podczas gdy łagodna lub umiarkowana postać choroby zwykle pojawia się później w dzieciństwie lub okresie dojrzewania, często przypadkowo lub po urazie.

Wśród powikłań długoterminowych wymienia się: artropatię, przewlekły ból, zakażenia wirusowe związane ze stosowaniem składników krwi, guz rzekomy, pogorszenie jakości życia.

Profilaktyka i leczenie

Podstawą leczenia pacjentów hemofilią A jest profilaktyka czynnikowa, polegająca na regularnym podawaniu preparatów czynnika VIII. Prowadzi to do dużego spadku liczby krwawień, zmniejszenia hospitalizacji oraz poprawy funkcji stawów i jakości życia.

W leczeniu na żądanie, stosowanym w ostrych epizodach krwawień – dożylnie podaje się koncentraty czynnika VIII, często z dodatkiem kwasu traneksamowego.

Emicizumab jest humanizowanym przeciwciałem monoklonalnym, zmodyfikowaną immunoglobuliną G4 (IgG4) o budowie bispecyficznego przeciwciała. Emicizumab stanowi łącznik pomiędzy aktywowanym czynnikiem IX a czynnikiem X, w celu odtworzenia czynności brakującego FVIIIa, który jest niezbędny dla skutecznej hemostazy.

Dowody naukowe

Dane pochodzące z badań HAVEN 3, 4 i 6 oraz dokumentu EMA z 2019 roku wskazują, że roczny wskaźnik wszystkich krwawień u chorych stosujących emicizumab, w ramach profilaktyki, był o kilkadziesiąt procent niższy niż w przypadku profilaktyki prowadzonej z zastosowaniem czynnika VIII. Przedstawiono dowody wskazujące na poprawę jakości życia u pacjentów stosujących emicizumab.

Analizy ekonomiczne

Przy uwzględnieniu ceny leku proponowanej przez Podmiot Odpowiedzialny, szacunkowy koszt terapii profilaktycznej przy zastosowaniu emicizumabu jest kilkukrotnie wyższy od terapii preparatami czynnika VIII.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Według oszacowań Agencji, objęcie refundacją wnioskowanej technologii medycznej w populacji wnioskowanej będzie związane ze

obowiązywania decyzji w wariancie z uwzględnieniem RSS.

Rekomendacje refundacyjne dotyczące ocenianej technologii medycznej

Odnaleziono pięć rekomendacji pozytywnych (HAS 2019, HAS 2023, TLV 2018, TLV 2022, PHARMAC 2023), trzy rekomendacje pozytywne warunkowo (CADTH 2020, ZIN 2020, ZIN 2023), rekomendację negatywną (TLV 2019) oraz dwie negatywne oceny korzyści przeprowadzone przez IQWiG (IQWiG 2019, IQWiG 2023).

Ogółem, trzy spośród odnalezionych ocen dotyczyły hemofilii A z inhibitorami czynnika VIII, siedem ocen dotyczyło ciężkiej hemofilii A bez inhibitorów czynnika VIII, zaś trzy oceny – umiarkowanej hemofilii A z ciężkim fenotypem krwawienia. W przypadku trzech rekomendacji podano, że dotyczą stosowania emicizumabu we wszystkich przedziałach wiekowych, w pozostałych ośmiu nie odniesiono się osobno do tej kwestii.

W rekomendacjach pozytywnych warunkowo zaleca się, aby koszty leczenia emicizumabem nie przekraczały kosztów leczenia profilaktycznego czynnikiem VIII.

Główne argumenty decyzji:

- Dowody naukowe wskazują na równe, jak profilaktyki czynnikiem VIII, korzyści profilaktycznego stosowania emicizumabu u chorych na hemofilię A;
- Na korzyść emicizumabu przemawia sposób jego dawkowania – podskórnie, jeden raz w tygodniu, a nawet jeden raz na 2 lub 4 tygodnie, co stanowi alternatywę dla chorych, którzy nie mogą przyjmować preparatów dożylnie;
- Terapia jest wyjątkowo droga; koszt profilaktycznej terapii emicizumabem jest kilkukrotnie wyższy od kosztu profilaktyki preparatami czynnika VIII.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 31s ust. 6 pkt 4 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 146), z uwzględnieniem opracowania nr: DAS.422.2.3.2025 „Ocena zasadności włączenia produktu leczniczego Hemlibra (emicizumab) do modułu programu polityki zdrowotnej »Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028« we wskazaniu: dla pacjentów z ciężką lub umiarkowaną postacią hemofilii A bez inhibitora, wraz ze wskazaniem kryteriów włączenia (w przypadku zasadności włączenia)”, data ukończenia: 7 listopada 2025 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinie przedstawiciela pacjentów i eksperta przedstawione w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Roche Polska Sp. z o.o.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2022 r., poz. 902) w zw. z art. 11 ust. 2 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2022 r., poz. 1233), art. 35 ust. 4a - 4b ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2025 r., poz. 907) i art. 35a ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2025 r., poz. 907).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Podmiot, w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: Roche Polska Sp. z o.o.