

# Fundacja Sanguis

Hemofilia i Pokrewne Skazy Krwotoczne

---

Lublin, 14 marca 2024 r.

**Ewelina Matuszak**

Prezes Zarządu Fundacji Sanguis Hemofilia i Pokrewne Skazy Krwotoczne

**Sz. P. Izabela Leszczyna**

Minister Zdrowia

*Bożenno Pani Minister,*

**w imieniu Zarządu Fundacji Sanguis Hemofilia i Pokrewne Skazy Krwotoczne zwracam się do Pani ponownie z uprzejmą prośbą o spotkanie w sprawie omówienia sytuacji pacjentów pediatrycznych zmagających się z hemofilią.**

W szczególności proszę o rozmowę w sprawie możliwości zapewnienia dostępu do podskórnej profilaktyki krwawień dla dzieci z ciężką postacią hemofilii A bez inhibitorów czynnika VIII oraz długo działających czynników krzepnięcia podawanych dożylnie. Swoje stanowisko w sprawie sytuacji polskich pacjentów oraz niezaspokojonych potrzeb dzieci z hemofilią, przedstawiliśmy również w piśmie z 29 lutego 2024 r.

Wiążemy ogromne nadzieje z obietnicą Pana Premiera Donalda Tuska oraz Pani Minister skierowania do Narodowego Funduszu Zdrowia dodatkowych 3 mld zł na leczenie pacjentów pediatrycznych w ramach ustawy o budżecie. Wskazywaliście Państwo m.in. na choroby rzadkie jako na jeden z trzech obszarów terapeutycznych, które otrzymają dodatkowe wsparcie. Według zapowiedzi Pani Minister w Sejmie RP miał zostać powołany zespół, którego celem było określenie zadań, które mogłyby być realizowane w ramach tego dodatkowego finansowania.

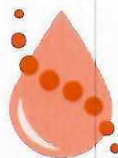
Oczekujemy z niecierpliwością na publikację informacji w tej sprawie. Rodzice małych pacjentów z hemofilią od dawna zabiegają bowiem o zapewnienie dostępu do wspomnianych technologii tj. podskórnej profilaktyki krwawień dla dzieci z ciężką postacią hemofilii A bez inhibitorów czynnika VIII oraz długo działających czynników krzepnięcia podawanych dożylnie. To skuteczne i bezpieczne rozwiązania, pozwalające na prowadzenie normalnego życia przez dzieci i młodzież, którzy w innym przypadku są zmuszeni korzystać z trudnego i intensywnego

---

tel. 501 234 700

[www.skazykrwotoczne.pl](http://www.skazykrwotoczne.pl)

KRS: 0001041805



leczenia. Opinie specjalistów w tej dziedzinie są jednoznaczne i były wielokrotnie podnoszone publicznie. Liczyliśmy, że dodatkowe środki będą mogły być spożytkowane właśnie na zabezpieczenie tej niewielkiej grupy dzieci.

Zakup podskórnej profilaktyki krwawień u pacjentów z ciężką postacią hemofilii A bez inhibitorów czynnika VIII przekracza możliwości rodziców. Wyłącznie finansowanie tego rozwiązania ze środków publicznych jest dla nas szansą. Ze wspomnianego leczenia rocznie mogłoby skorzystać kilkadziesiąt dzieci, a łączny koszt jego udostępnienia jest porównywalny lub niższy od innych terapii refundowanych w chorobach rzadkich. Z zazdrością spoglądamy na pacjentów z rdzeniowym zanikiem mięśni (SMA), którzy mają dostęp do wszystkich zarejestrowanych technologii lekowych. Uważnie przyglądamy się też sytuacji chorych z mukowiscydozą, którzy korzystają z nowoczesnego leczenia przyczynowego finansowego z Funduszu Medycznego.

Szansą dla naszych dzieci w ramach programu profilaktycznego B.15 mogą być też rekombinowane koncentraty czynnika krzepnięcia. W rzeczywistości pacjenci nie mają do nich dostępu ze względu na źle przygotowane kryteria przetargowe. Oznacza to, że dzieci muszą dożylnie przyjmować czynnik krzepnięcia kilka razy w tygodniu, zamiast np. jeden raz w tygodniu lub nawet rzadziej. Dla naszych podopiecznych konieczność tak częstych iniekcji jest traumatyzująca, a leczenie wiąże się z występowaniem licznych powikłań. Polska jest jedynym krajem w Unii Europejskiej, w którym dzieci z hemofilią nie mają realnego dostępu do czynników krzepnięcia o przedłużonym działaniu.

Apelujemy o przeznaczenie środków na pomoc kilkudziesięcioosobowej grupie dzieci zmagających się z hemofilią. Co do zasadności klinicznej takiej decyzji, wypowiedzi ekspertów są jednoznaczne – w obu przypadkach jest to leczenie skuteczne i bezpieczne. Dla nas oznacza to skokowy wzrost jakości życia, a dla naszych dzieci zmniejszenie negatywnych skutków suboptymalnego leczenia.

Mam nadzieję, że znajdzie Pani Minister czas na spotkanie oraz omówienie trudnej sytuacji dzieci. Jestem głęboko przekonana, że kwadrans wystarczy, aby przedstawić nasze problemy. Jeżeli Pani obowiązki nie pozwolą na spotkanie, bardzo proszę o odpowiedzi na pytania, które zadają nam, jako reprezentującej ich organizacji, rodzice dzieci chorych na hemofilię, którzy przedstawili swoją sytuację w ramach kampanii „Codzienne wyzwania dzieci chorych na hemofilię i ich rodziców”<sup>1</sup>:

---

<sup>1</sup> <https://www.youtube.com/@HemofiliaiPokrewneSkazyKrwotoc>





# Fundacja Sanguis

Hemofilia i Pokrewne Skazy Krwotoczne

1. Jakie są rzeczywiste, merytoryczne powody braku udostępnienia podskórnej profilaktyki oraz profilaktyki długo działającym rekombinowanym koncentratem czynnika krzepnięcia dla dzieci zmagających się z hemofilią?
2. Czy w ramach dodatkowych 3 mld zł, które trafią w tym roku do Narodowego Funduszu Zdrowia Ministerstwo Zdrowia planuje przekazanie środków na zgodne z europejskimi standardami leczenie dzieci z hemofilią?
3. Warunków, które należy spełnić, aby dzieci zmagające się z hemofilią miały możliwość na równie skuteczne leczenie jak chorzy zmagający się z innymi chorobami rzadkimi, aby nie czuły się wykluczone z opieki państwa?

*Z wyrazami szacunku,*

*Ewelina Matuszak*

*Prezes Fundacji Sanguis*

*Hemofilia i Pokrewne Skazy Krwotoczne*

**Do wiadomości:**

Agnieszka Sanojca, Dyrektor Biura Ministra Zdrowia.

---

tel. 501 234 700

[www.skazykrwotoczne.pl](http://www.skazykrwotoczne.pl)

KRS: 0001041805