



Prezes:

K. Giannopoulos

Wiceprezesa:

J. Antoniewicz-Papis
(Warszawa)

E. Lech-Marańda
(Warszawa)

T. Szczepański (Zabrze)

Sekretarz Generalny:

T. Wróbel (Wrocław)

Sekretarz:

B. Budziszewska
(Warszawa)

Skarbnik

M. Morawska (Lublin)

Członkowie Zarządu:

G. Basak (Warszawa)

A. Czyż (Wrocław)

P. Grabarczyk
(Warszawa)

I. Hus (Warszawa)

T. Sacha (Kraków)

J. Styczyński

(Bydgoszcz)

J. Zaucha (Gdańsk)

Acta Haematologica

Polonica:

Redaktor Naczelny:

B. Puła (Warszawa)

Warszawa 29.09.2026

**Stanowisko Polskiego Towarzystwa Hematologicznego i Transfuzjologicznego
w sprawie dalszego rozwoju dostępu do terapii CAR-T w Polsce**

Polskie Towarzystwo Hematologiczne i Transfuzjologiczne, w kończącym się miesiącu świadomości nowotworów układu krwiotwórczego, zwraca uwagę zarówno na istotny postęp, jaki dokonał się w ostatnich latach w dostępie polskich pacjentów do nowoczesnych terapii, jak i na obszary, w których nadal występują istotne niezaspokojone potrzeby terapeutyczne. Rozwój programów lekowych, przesuwanie skutecznych terapii do wcześniejszych linii leczenia oraz wprowadzanie nowych mechanizmów działania zasadniczo zmieniły możliwości leczenia wielu nowotworów hematologicznych. Dobrym przykładem kontynuacji tego kierunku są zmiany obowiązujące od 1 lipca 2026 r., które poszerzyły możliwości leczenia chorych na nawrotowego lub opornego szpiczaka plazmocytowego o belantamab mafodotyny w schematach skojarzonych. Rozszerzenie dostępu do kolejnych skutecznych metod leczenia ma szczególne znaczenie w chorobach wymagających kolejnych linii terapii, w których możliwość racjonalnego sekwencjonowania leczenia bezpośrednio przekłada się na czas kontroli choroby i dalsze możliwości terapeutyczne.

PTHiT podkreśla, że nakłady na nowoczesne leczenie hematologiczne powinny być oceniane nie tylko przez pryzmat ceny jednostkowej technologii, lecz przede wszystkim uzyskiwanego efektu zdrowotnego i całej ścieżki leczenia pacjenta. Dane Narodowego Funduszu Zdrowia dotyczące szpiczaka plazmocytowego wskazują na istotny wzrost liczby pacjentów korzystających z programu lekowego B.54, przy jednoczesnym systematycznym rozszerzaniu zakresu dostępnych nowoczesnych terapii. W ocenie PTHiT właśnie taki sposób analizy powinien towarzyszyć decyzjom refundacyjnym, z wykorzystaniem danych NFZ, SMPT i rejestrów klinicznych do monitorowania rzeczywistych efektów zdrowotnych.



Jednym z obszarów wymagających dalszego rozwoju pozostają terapie CAR-T. Ich wprowadzenie do finansowania publicznego było jednym z najważniejszych osiągnięć polskiej hematologii ostatnich lat. Polska dysponuje już znaczącym doświadczeniem w stosowaniu terapii CAR-T. Według najnowszych danych eksperckich w ramach programu lekowego leczeniem objęto około 600 pacjentów, a łącznie z chorymi leczonymi komercyjnie i w badaniach klinicznych – około 700. Liczba akredytowanych ośrodków w najbliższym czasie wzrośnie do około 20. Szczególne znaczenie ma dostęp do CAR-T u chorych na agresywne chłoniaki B-komórkowe, w tym DLBCL, oraz ostrą białaczkę limfoblastyczną. Rozszerzanie wskazań i przesuwanie terapii CAR-T do wcześniejszych linii leczenia zmieniło ich pozycję z metody stosowanej po wyczerpaniu wielu wcześniejszych możliwości w element współczesnego standardu postępowania u wybranych pacjentów. PTHiT pozytywnie ocenia również rozszerzenie dostępnego portfolio o kolejne produkty, w tym lizokabtagen maraleucel. Zwiększenie liczby dostępnych produktów CAR-T ma znaczenie zarówno kliniczne, jak i systemowe, umożliwiając lepsze dopasowanie terapii do charakterystyki chorego i ograniczając zależność od pojedynczego dostawcy.

Odmierna sytuacja występuje nadal w szpiczaku plazmocytowym. Pomimo bardzo istotnego rozwoju programu B.54, refundacji przeciwciał bispecyficznych oraz rozszerzenia możliwości leczenia o belantamab mafodotyny, polscy pacjenci nadal nie mają systemowego dostępu do terapii CAR-T ukierunkowanych na BCMA. Idekabtagen wikleucel i ciltakabtagen autoleucel zostały zarejestrowane w Unii Europejskiej odpowiednio w 2021 i 2022 r., jednak pozostają poza polskim systemem refundacyjnym. Terapie CAR-T należą obecnie do najbardziej skutecznych metod leczenia nawrotowego i opornego szpiczaka plazmocytowego. Szczególnie istotne są wyniki długoterminowej obserwacji ciltakabtagenu autoleucelu, w której po pojedynczej infuzji około jedna trzecia chorych pozostawała bez progresji choroby przez co najmniej 5 lat, bez konieczności leczenia podtrzymującego ani zastosowania kolejnej terapii przeciwszpiczakowej. Wyniki te wskazują na możliwość uzyskania u części chorych wyjątkowo trwałej, wieloletniej kontroli choroby po jednorazowym



podaniu terapii. Jednocześnie należy podkreślić, że ewentualna refundacja CAR-T w szpiczaku plazmocytowym nie dotyczyłaby całej populacji chorych objętych programem B.54, lecz ograniczonej, odpowiednio kwalifikowanej grupy pacjentów, u których oczekiwana korzyść kliniczna jest największa. Ze względu na kryteria kwalifikacji, stan kliniczny chorego oraz miejsce terapii w sekwencji leczenia CAR-T stanowi opcję dla wybranej części pacjentów, a nie rozwiązanie przeznaczone dla wszystkich chorych.

PTHiT zwraca uwagę, że pomimo pozytywnych lub warunkowo pozytywnych rekomendacji Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji dotyczących terapii CAR-T anty-BCMA technologie te nie zostały dotychczas objęte systemowym finansowaniem w programie B.54. Dostępność przeciwciał bispecyficznych i belantamabu mafodotyny nie eliminuje potrzeby zapewnienia dostępu do CAR-T. Są to technologie różniące się mechanizmem działania, profilem bezpieczeństwa, sposobem podawania oraz potencjalnym miejscem w sekwencji leczenia i nie powinny być traktowane jako proste substytuty.

PTHiT konsekwentnie wspiera rozwój terapii CAR-T wytwarzanych w polskich ośrodkach akademickich. Jest to strategicznie ważny kierunek rozwoju polskiej hematologii, technologii ATMP i medycyny translacyjnej. Akademickie terapie mogą zwiększać dostępność leczenia i potencjalnie obniżać jego koszty. PTHiT z satysfakcją przyjmuje informacje o planach dalszego wspierania tego obszaru przez Agencję Badań Medycznych. Akademickie CAR-T powinny jednak stanowić uzupełnienie, a nie substytut systemowego dostępu do zarejestrowanych produktów leczniczych. Model docelowy powinien opierać się na równoległym rozwoju obu ścieżek: stabilnego dostępu do zarejestrowanych terapii CAR-T oraz budowania krajowych kompetencji i własnych technologii.

PTHiT uważa również, że wysoki koszt jednostkowy terapii CAR-T powinien skłaniać do poszukiwania nowoczesnych modeli finansowania, w tym instrumentów dzielenia ryzyka, limitów populacyjnych oraz rozwiązań powiązanych z uzyskaniem i trwałością efektu klinicznego. Warunkiem racjonalnego stosowania takich modeli powinno być równoległe prowadzenie



wysokiej jakości monitorowania wyników leczenia, obejmującego skuteczność, bezpieczeństwo, powikłania, jakość życia i długoterminowe efekty zdrowotne. Potrzeba stworzenia takiego systemu monitorowania była również jednym z kluczowych wniosków raportu dotyczącego terapii CAR-T w Polsce.

W związku z powyższym Polskie Towarzystwo Hematologiczne i Transfuzjologiczne zwraca się o:

- ponowne podjęcie działań zmierzających do zapewnienia systemowego dostępu do terapii CAR-T anty-BCMA u chorych na szpiczaka plazmocytozowego, z wykorzystaniem w procesie refundacyjnym instrumentów dzielenia ryzyka, w tym rozwiązań powiązanych z uzyskaniem i trwałością efektu klinicznego;
- dalsze wspieranie przez Agencję Badań Medycznych rozwoju akademickich terapii CAR-T i krajowych kompetencji w zakresie technologii ATMP, przy zachowaniu ich komplementarnego charakteru wobec refundowanych produktów zarejestrowanych;
- rozwój systemu monitorowania rzeczywistych wyników leczenia oraz modeli finansowania pozwalających oceniać technologie CAR-T przez pryzmat długoterminowego efektu zdrowotnego.

Doświadczenia ostatnich lat pokazują, że konsekwentna polityka refundacyjna może prowadzić do zasadniczej poprawy możliwości leczenia chorych na nowotwory układu krwiotwórczego. Dane NFZ pozwalają coraz lepiej oceniać rzeczywisty efekt tych decyzji i pokazują, że środki przeznaczone na nowoczesne terapie powinny być oceniane w kontekście osiągniętych efektów zdrowotnych i całej ścieżki leczenia pacjenta.

Publikując niniejsze stanowisko w miesiącu świadomości nowotworów układu krwiotwórczego, PTHiT podkreśla, że zwiększaniu świadomości tych chorób powinno towarzyszyć konsekwentne zapewnianie pacjentom dostępu do terapii odpowiadających aktualnym możliwościom współczesnej hematologii.



W imieniu Zarządu Głównego PTHiT

Prof. dr hab. Krzysztof Giannopoulos

Prezes PTHiT