



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 06.07.2026

**Stanowisko Polskiego Towarzystwa Hematologicznego
i Transfuzjologicznego w sprawie zapewnienia ciągłości leczenia
i racjonalnego dostępu dorosłych chorych na hemofilię A
do nowoczesnych terapii, w tym terapii podskórnych**

Polskie Towarzystwo Hematologiczne i Transfuzjologiczne z uznaniem odnosi się do działań, które w ostatnich latach doprowadziły do poprawy standardów opieki nad chorymi na hemofilię i pokrewne skazy krwotoczne w Polsce, w tym do objęcia populacji pediatrycznej dostępem do nowoczesnych terapii podskórnych. Jednocześnie Towarzystwo wskazuje na potrzebę dalszego uporządkowania zasad dostępu dorosłych chorych na hemofilię A do nowoczesnego leczenia, szczególnie w zakresie kontynuacji terapii rozpoczętej w wieku rozwojowym oraz kwalifikacji pacjentów, u których dotychczasowa profilaktyka nie zapewnia optymalnej kontroli choroby.

Hemofilia A jest przewlekłą, uwarunkowaną genetycznie skazą krwotoczną, której następstwa obejmują krwawienia samoistne i pourazowe, rozwój artropatii hemofilowej, przewlekły ból, ograniczenie sprawności oraz trwałe obciążenie życia zawodowego, rodzinnego i społecznego. Celem współczesnej opieki jest skuteczna, długoterminowa profilaktyka krwawień, ochrona narządu ruchu i zapobieganie nieodwracalnym powikłaniom choroby, a nie wyłącznie leczenie epizodów krwotocznych. Podstawą leczenia hemofilii A pozostają koncentraty czynnika VIII, w tym preparaty o standardowym i wydłużonym czasie działania. Rozwój terapii nieczynnikowych, podawanych podskórnie, istotnie poszerzył jednak możliwości personalizacji leczenia. Emicizumab, jako przeciwciało dwuswoiste naśladujące funkcję aktywowanego czynnika VIII poprzez jednoczesne wiązanie aktywowanego czynnika IX i czynnika X, umożliwia wsparcie generacji trombiny bez konieczności dożylniej substytucji



czynnika VIII. Podskórna droga podania, rzadsze dawkowanie i stabilny efekt profilaktyczny mają szczególne znaczenie u chorych z trudnym dostępem naczyniowym, zaawansowaną artropatią, przewlekłym bólem, ograniczoną mobilnością lub istotnym obciążeniem leczeniem dożylnym. Dostępne badania kliniczne oraz dane z rzeczywistej praktyki potwierdzają skuteczność emicizumabu w redukcji częstości krwawień i korzystny profil bezpieczeństwa, przy konieczności właściwej organizacji opieki, edukacji pacjentów i personelu oraz jasnych zasad postępowania w przypadku krwawień przełomowych, urazów i procedur inwazyjnych.

Towarzystwo podkreśla, że postulowany dostęp do terapii podskórnych nie powinien być rozumiany jako zastąpienie dotychczasowych metod leczenia u wszystkich dorosłych pacjentów. Koncentraty czynnika VIII oraz inne produkty hemostatyczne pozostają niezbędne w leczeniu krwawień przełomowych, zabezpieczeniu urazów i procedur inwazyjnych oraz w sytuacjach wymagających indywidualnego postępowania hemostatycznego. Właściwy model opieki powinien zatem łączyć dostęp do nowoczesnych terapii z utrzymaniem sprawnego systemu zabezpieczenia czynnikiem VIII i innymi produktami hemostatycznymi.

Najpilniejszym problemem systemowym jest zapewnienie ciągłości leczenia u pacjentów przechodzących z opieki pediatrycznej do opieki dla dorosłych. Chory, który w wieku rozwojowym uzyskał dobrą kontrolę choroby dzięki skutecznej i dobrze tolerowanej profilaktyce podskórnej, nie powinien tracić dostępu do leczenia wyłącznie z powodu ukończenia 18. roku życia. Przerwanie skutecznej terapii może prowadzić do pogorszenia adherencji, wzrostu liczby krwawień, progresji artropatii oraz utraty efektów terapeutycznych osiągniętych w dzieciństwie.

Racjonalnego rozwiązania wymaga również sytuacja dorosłych chorych, którzy nie korzystali wcześniej z terapii podskórnej, ale mają jednoznaczne przesłanki kliniczne lub funkcjonalne do jej zastosowania. Dotyczy to w szczególności chorych z inhibitorem czynnika VIII oraz wybranych pacjentów bez inhibitora,



u których leczenie dożylne jest niewystarczające, trudne do konsekwentnego prowadzenia lub nadmiernie obciążające ze względu na dostęp naczyniowy, zaawansowaną artropatię, ból, ograniczoną sprawność albo ryzyko pogorszenia po zmianie skutecznego leczenia.

Kwalifikacja do nowoczesnych terapii powinna odbywać się w wyspecjalizowanych ośrodkach leczenia hemofilii, z uwzględnieniem historii krwawień, stanu narządu ruchu, dotychczasowej odpowiedzi na leczenie, dostępu naczyniowego, preferencji pacjenta oraz ryzyka klinicznego. Niezbędne pozostają edukacja pacjentów i personelu, jasne zasady postępowania w przypadku krwawień, urazów i procedur inwazyjnych oraz monitorowanie skuteczności i bezpieczeństwa leczenia w rejestrze.

Finansowanie leczenia hemofilii powinno łączyć bezpieczeństwo dostaw i zalety zakupów centralnych z możliwością kontrolowanego wprowadzania nowych technologii medycznych. Ocena zasadności terapii nie powinna ograniczać się do ceny jednostkowej leku, lecz powinna uwzględniać całkowity koszt choroby, obejmujący leczenie krwawień, hospitalizacje, rehabilitację, zabiegi ortopedyczne, absencję zawodową, niepełnosprawność i opiekę długoterminową. Skuteczna profilaktyka jest inwestycją w utrzymanie sprawności chorego i ograniczanie trwałych powikłań.

W związku z powyższym Polskie Towarzystwo Hematologiczne i Transfuzjologiczne rekomenduje:

- zapewnienie ciągłości terapii podskórnej pacjentom z hemofilią A kończącym 18. rok życia, jeżeli leczenie było wcześniej skuteczne i dobrze tolerowane, niezależnie od statusu inhibitora;
- stworzenie przejrzystej ścieżki kwalifikacji dorosłych chorych do nowoczesnych terapii, w tym terapii podskórnych, w przypadkach medycznie uzasadnionych, ze szczególnym uwzględnieniem chorych z inhibitorem czynnika VIII oraz wybranych pacjentów bez inhibitora;
- utrzymanie pełnego dostępu do koncentratów czynnika VIII, preparatów o



wydłużonym czasie działania oraz innych produktów hemostatycznych, niezbędnych w leczeniu krwawień, urazów i procedur inwazyjnych;

- prowadzenie decyzji terapeutycznych w wyspecjalizowanych ośrodkach, z udziałem lekarza i pacjenta, przy systematycznym monitorowaniu skuteczności, bezpieczeństwa, zużycia leków i jakości życia w danych rejestrowych;
- wypracowanie modelu finansowania, który pozwoli korzystać z zalet zakupów centralnych i jednocześnie umożliwi odpowiedzialne wprowadzanie kolejnych nowoczesnych terapii w hemofilii.

Tak ukształtowany model nie prowadzi do niekontrolowanego rozszerzania leczenia, lecz porządkuje zasady dostępu do terapii zgodnie z potrzebami klinicznymi pacjentów i możliwościami systemu. Zapewnienie ciągłości skutecznego leczenia młodym dorosłym oraz stworzenie racjonalnych zasad dostępu do nowoczesnych terapii dla dorosłych chorych na hemofilię A jest działaniem medycznie uzasadnionym, społecznie odpowiedzialnym i zgodnym z kierunkiem rozwoju współczesnej opieki nad chorymi na skazy krwotoczne.

W imieniu Zarządu Głównego PTHiT

Prof. dr hab. Krzysztof Giannopoulos

Prezes PTHiT