Oświadczenie złożone
przez senator Agnieszkę Gorgoń-Komor
na 63. posiedzeniu Senatu
w dniu 22 lipca 2026 r.

Oświadczenie skierowane do minister zdrowia Jolanty Sobierańskiej-Grendy

Hemofilia jest przewlekłą, uwarunkowaną genetycznie skazą krwotoczną. Jej następstwami są m.in krwawienia samoistne i pourazowe, rozwój artropatii hemofilowej, przewlekły ból, ograniczenie sprawności oraz trwałe obciążenie życia zawodowego, rodzinnego i społecznego pacjentów.

Celem współczesnego leczenia hemofilii nie powinno być wyłącznie reagowanie na występujące krwawienia, lecz przede wszystkim ich skuteczna, długoterminowa profilaktyka, ochrona narządu ruchu oraz zapobieganie nieodwracalnym powikłaniom choroby.

W Polsce pacjenci z hemofilią mają zapewniony dostęp do leczenia w ramach Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne. W ostatnich latach doszło do istotnej poprawy standardów opieki, w tym do objęcia populacji pediatrycznej dostępem do nowoczesnych terapii podskórnych. Nadal jednak nie został rozwiązany problem kontynuacji takiego leczenia po ukończeniu przez pacjenta osiemnastego roku życia.

Pacjent, który w wieku rozwojowym uzyskał dobrą kontrolę choroby dzięki skutecznej i dobrze tolerowanej profilaktyce podskórnej, nie powinien tracić dostępu do leczenia wyłącznie z powodu osiągnięcia pełnoletności. Przerwanie skutecznej terapii może prowadzić do pogorszenia przestrzegania zaleceń, zwiększenia liczby krwawień, postępu artropatii oraz utraty efektów terapeutycznych osiągniętych w dzieciństwie.

Problem dotyczy również dorosłych pacjentów, którzy wcześniej nie korzystali z terapii podskórnej, ale mają jednoznaczne wskazania kliniczne lub funkcjonalne do jej zastosowania. Chodzi w szczególności o pacjentów z inhibitorem czynnika VIII oraz wybranych pacjentów bez inhibitora, u których leczenie dożylne jest niewystarczające, trudne do konsekwentnego prowadzenia albo nadmiernie obciążające ze względu na trudny dostęp naczyniowy, zaawansowaną artropatię, przewlekły ból lub ograniczoną sprawność. Podskórna droga podania, rzadsze dawkowanie oraz stabilny efekt profilaktyczny mogą mieć dla tych osób szczególne znaczenie.

Jednocześnie dostęp do terapii podskórnych nie powinien być rozumiany jako zastąpienie dotychczasowych metod leczenia u wszystkich dorosłych pacjentów. Koncentraty czynnika VIII, w tym preparaty o wydłużonym czasie działania, oraz inne produkty hemostatyczne pozostają niezbędne m.in. w leczeniu krwawień przełomowych, zabezpieczaniu urazów oraz procedur inwazyjnych.

Zasadne jest zatem stworzenie modelu opieki, który połączy dostęp do nowoczesnych terapii z utrzymaniem pełnego zaopatrzenia w koncentraty czynnika VIII i inne produkty hemostatyczne. Kwalifikacja do leczenia powinna odbywać się w wyspecjalizowanych ośrodkach leczenia hemofilii, na podstawie historii krwawień, stanu narządu ruchu, odpowiedzi na dotychczasowe leczenie, dostępu naczyniowego, preferencji pacjenta oraz indywidualnego ryzyka klinicznego.

Konieczne jest również prowadzenie systematycznego monitorowania skuteczności i bezpieczeństwa terapii, zużycia leków oraz jakości życia pacjentów. Przy ocenie kosztów leczenia nie należy ograniczać się do ceny jednostkowej leku. Powinno się uwzględniać całkowity koszt choroby, obejmujący hospitalizacje, rehabilitację, zabiegi ortopedyczne, absencję zawodową, niepełnosprawność i opiekę długoterminową.

W związku z tym zwracam się do minister zdrowia z następującymi pytaniami.

1. Kiedy pacjentom z hemofilią, którzy ukończyli osiemnasty rok życia, zostanie zapewniona możliwość kontynuowania terapii podskórnej rozpoczętej w wieku rozwojowym?

2. Na jakim etapie znajdują się prace nad wprowadzeniem nowoczesnych terapii dla pacjentów z hemofilią A, u których dotychczas stosowane leczenie nie pozwala na uzyskanie optymalnych wyników?

Zapewnienie ciągłości skutecznego leczenia młodym dorosłym oraz stworzenie racjonalnych i przejrzystych zasad dostępu do nowoczesnych terapii jest działaniem medycznie uzasadnionym, społecznie odpowiedzialnym i zgodnym z kierunkiem rozwoju współczesnej opieki nad pacjentami z hemofilią.

Z poważaniem
Agnieszka Gorgoń-Komor
senator RP