



FUNDACJA
ZDROWIA
PUBLICZNEGO

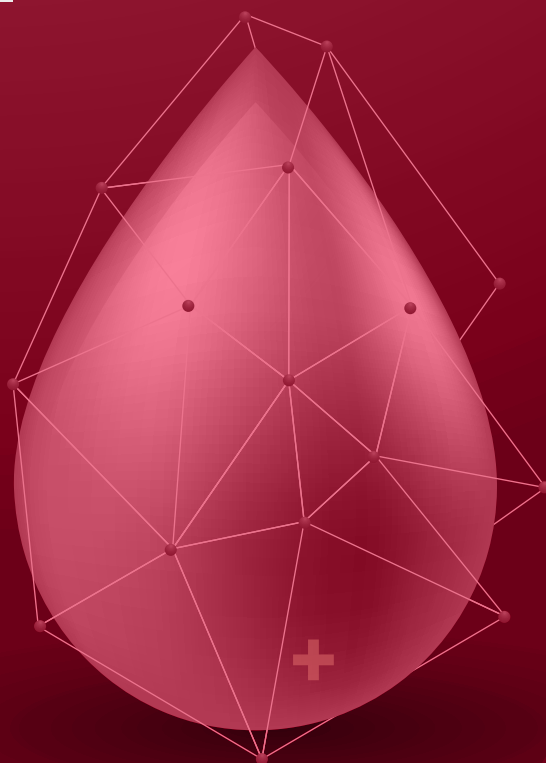
Roche

Systemowa analiza organizacji i funkcjonowania leczenia pacjentów z hemofilią wraz z implementacją

ORGANIZACJA I FUNKCJONOWANIE SYSTEMU

KOSZTY CHOROBY

WYZWANIA I PROPOZYCJE ZMIAN





RAPORT

Systemowa analiza organizacji i funkcjonowania leczenia pacjentów z hemofilią wraz z implementacją

- Organizacja i funkcjonowanie systemu
 - Koszty choroby
- Wyzwania i propozycje zmian



ZESPÓŁ AUTORSKI

Elżbieta Romańska

Beata Rękawek

Agnieszka Leszczyńska

Joanna Augustyńska

Michał Seweryn

ECONMED EUROPE SP. Z O.O



Patronat naukowy:

Fundacja Zdrowia Publicznego

Partner raportu:

Roche Polska

I Spis treści

Wstęp	4
Wyzwania w opiece pacjentów z hemofilią	5
Epidemiologia hemofilii w Polsce	5
Opieka nad chorymi z hemofilią w Polsce	7
Jakość życia pacjentów z hemofilią	15
Leczenie hemofilii w Polsce	21
Leczenie hemofilii w ramach poszczególnych rodzajów świadczeń	21
Program lekowy B.15	35
Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne	44
Nowoczesne metody leczenia	52
Europejskie standardy opieki nad osobami z hemofilią	61
Hemofilia i wykorzystanie czynników krzepnięcia w Europie	66
Wyniki badania ankietowego pacjentów	73
Charakterystyka badanej populacji	75
Powikłania hemofilii i ich następstwa kliniczne	77
Wpływ choroby i leczenia na aktywność zawodową oraz życie społeczne	79
Ekonomiczne konsekwencje hemofilii	82
Psychospołeczne konsekwencje hemofilii – wyzwania dla pacjentów i ich rodzin	84
Koszty hemofilii w Polsce	86
Koszty bezpośrednie – Koszty medyczne	86
Koszty pośrednie	89
Zestawienie kosztów	101
Transfery systemu ubezpieczeń społecznych	102
Model opieki nad pacjentem z hemofilią	103
Obecna sytuacja dotycząca leczenia hemofilii w Polsce	103
Opracowany model	105
Prognozowane korzyści z wdrożenia modelu	108
Bibliografia	110

WSTĘP

Hemofilia jest rzadką, przewlekłą chorobą krwotoczną, która wymaga stałego monitorowania, profilaktyki oraz kompleksowej, wyspecjalizowanej opieki medycznej. W Polsce pacjenci mają zapewniony dostęp do skutecznych terapii dzięki Narodowemu Programowi Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne oraz Programowi Lekowemu B.15, a standard leczenia jest utrzymywany na wysokim poziomie.

Pomimo postępów w terapii farmakologicznej system opieki nad pacjentami z hemofilią nadal napotyka na szereg wyzwań organizacyjnych i strukturalnych. Do najważniejszych z nich należą: niedobór wykwalifikowanych hematologów i pielęgniarek, ograniczona możliwość dostaw leków bezpośrednio do domu, brak kompleksowej i skoordynowanej opieki w przypadku chorób współistniejących, utrudniony dostęp do rehabilitacji oraz ograniczone możliwości korzystania z innowacyjnych terapii. Te bariery wpływają negatywnie na efektywność opieki, pogarszają komfort życia pacjentów i zwiększają obciążenie ich rodzin.

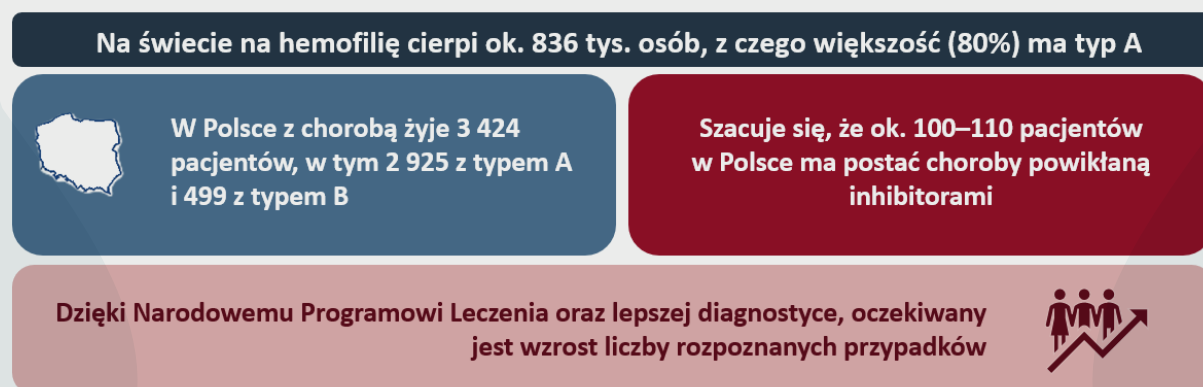
Hemofilia generuje również istotne koszty ekonomiczne i społeczne. Roczne koszty bezpośrednie ponoszone przez system (NFZ i MZ) wynoszą 521 mln zł. Pacjenci i ich rodziny ponoszą znaczące obciążenia finansowe – 10 mln zł wydatków bezpośrednich oraz 134 mln zł kosztów pośrednich, wynikających z obniżonych przychodów gospodarstw domowych. Łącznie daje to ponad 140 mln zł rocznie ponoszonych bezpośrednio przez chorych i ich bliskich. Analiza struktury całkowitych kosztów pokazuje, że wydatki pośrednie (433 mln zł) stanowią znaczącą część całości obciążeń i choć są niższe od kosztów bezpośrednich, pozostają na zbliżonym poziomie, co dowodzi, że hemofilia wywiera szeroki i wielowymiarowy wpływ nie tylko na system ochrony zdrowia, lecz także na gospodarkę i życie społeczne. W odpowiedzi na te wyzwania konieczne jest wprowadzenie nowoczesnego, kompleksowego modelu opieki, opartego na czterech filarach: indywidualizacji terapii dostosowanej do potrzeb pacjenta, rozwoju sieci skoordynowanych ośrodków referencyjnych, zapewnieniu dostaw leków do domu oraz cyfryzacji opieki i edukacji pacjentów. Model ten powinien być uzupełniony rehabilitacją, wsparciem psychologicznym i społecznym oraz aktywizacją zawodową chorych.

Tylko takie interdyscyplinarne podejście – łączące nowoczesną, skuteczną terapię farmakologiczną z kompleksową opieką, edukacją i wsparciem psychospołecznym – pozwoli nie tylko poprawić wyniki kliniczne, ale także zoptymalizować koszty systemowe i znacząco podnieść jakość życia osób z hemofilią w Polsce. Dobrym leczeniem nie jest więc jedynie podawanie leków, lecz całościowa opieka skoncentrowana na pacjencie i jego codziennych potrzebach.

WYZWANIA W OPIECE PACJENTÓW Z HEMOFILIĄ

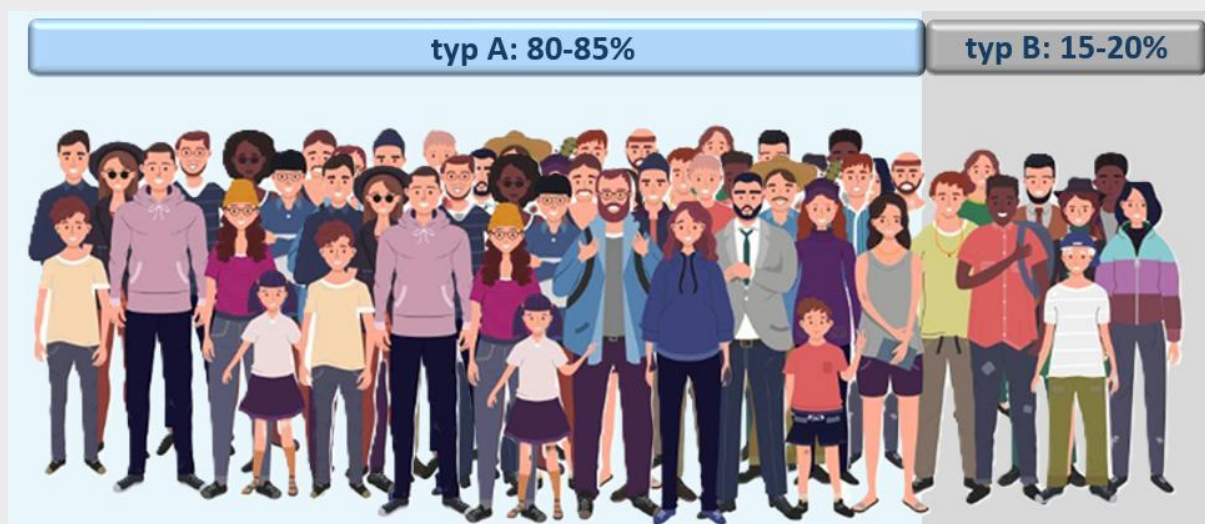
Hemofilia to wrodzona choroba krwi, w której dochodzi do niedoboru jednego z czynników odpowiedzialnych za krzepnięcie (najczęściej czynnika VIII – hemofilia A, lub IX – hemofilia B). W efekcie pacjenci są narażeni na przedłużające się, trudne do opanowania krwawienia – zarówno zewnętrzne, jak i wewnętrzne (np. do stawów), które mogą prowadzić do powikłań ortopedycznych, przewlekłego bólu i niepełnosprawności. Choroba ta dotyczy głównie mężczyzn, ponieważ jest dziedziczona w sposób sprzężony z chromosomem X. Kobiety są zazwyczaj nosicielkami, ale część z nich również może doświadczać objawów klinicznych – od łagodnych po pełnoobjawową hemofilię [1]. W Polsce, podobnie jak w innych krajach, opieka nad osobami z hemofilią napotyka szereg wyzwań, zarówno w obszarze diagnostyki i dostępu do nowoczesnych terapii, jak i organizacji kompleksowego, skoordynowanego leczenia.

Epidemiologia hemofilii w Polsce



Rysunek 1. Podsumowanie: Epidemiologia hemofilii w Polsce

Hemofilia, mimo że jest chorobą rzadką, stanowi istotne wyzwanie zdrowotne. Szacowana liczba pacjentów na całym świecie wynosi 836 000, z czego około 284 000 to osoby z ciężką postacią choroby [2]. Przyjmuje się, że aż czterech na pięciu chorych charakteryzuje się brakiem czynnika krzepnięcia VIII (typ A), reszta należy do typu B. Typ C jest zjawiskiem marginalnym (Rysunek 2) [3,4].



Rysunek 2. Zdecydowana większość chorych reprezentuje hemofilię typu A

Według najnowszego raportu *World Federation of Hemophilia*, w Polsce żyje aktualnie prawie 3,5 tys. pacjentów z niedoborami FVIII oraz FIX [2]. Bazując na globalnych wyliczeniach dotyczących odsetka chorych z postacią powikłaną inhibitorami można oszacować, że w populacji polskich pacjentów żyje około 100-110 chorych, których układ odpornościowy wytwarza przeciwciała neutralizujące działanie podawanych czynników krzepnięcia.

W Polsce, wg danych za 2023 rok, z hemofilią żyją 3 424 osoby, z czego:

- 2 925 reprezentuje typ A, w tym szacunkowo 102 osoby (ok. 3,5%) ma postać choroby powikłaną inhibitorem;
- 499 osób posiada hemofilię typu B, w tym szacunkowo 4-5 osób (ok. 0,9%) ma inhibitor [2].

Prognoszowana epidemiologia

Dzięki wdrożeniu Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię oraz Programu Lekowego B.15, a tym samym poprawą dostępności do diagnostyki i leczenia, przewiduje się wzrost liczby zdiagnozowanych przypadków. Wzrost ten będzie wynikać z lepszej identyfikacji nosicieli oraz wcześniejszego wykrywania choroby u dzieci.

Opieka nad chorymi z hemofilią w Polsce

Wyzwania w zakresie opieki nad pacjentami z hemofilią w Polsce



Niedobór personelu medycznego

- Braki kadrowe wśród hematologów oraz pielęgniarek



Opinie pacjentów

- Długi czas oczekiwania na wizytę u hematologa
- Brak świadomości wśród pacjentów na temat możliwości skorzystania z fizjoterapii lub porad psychologa
- Utrudniony dostęp do specjalistów

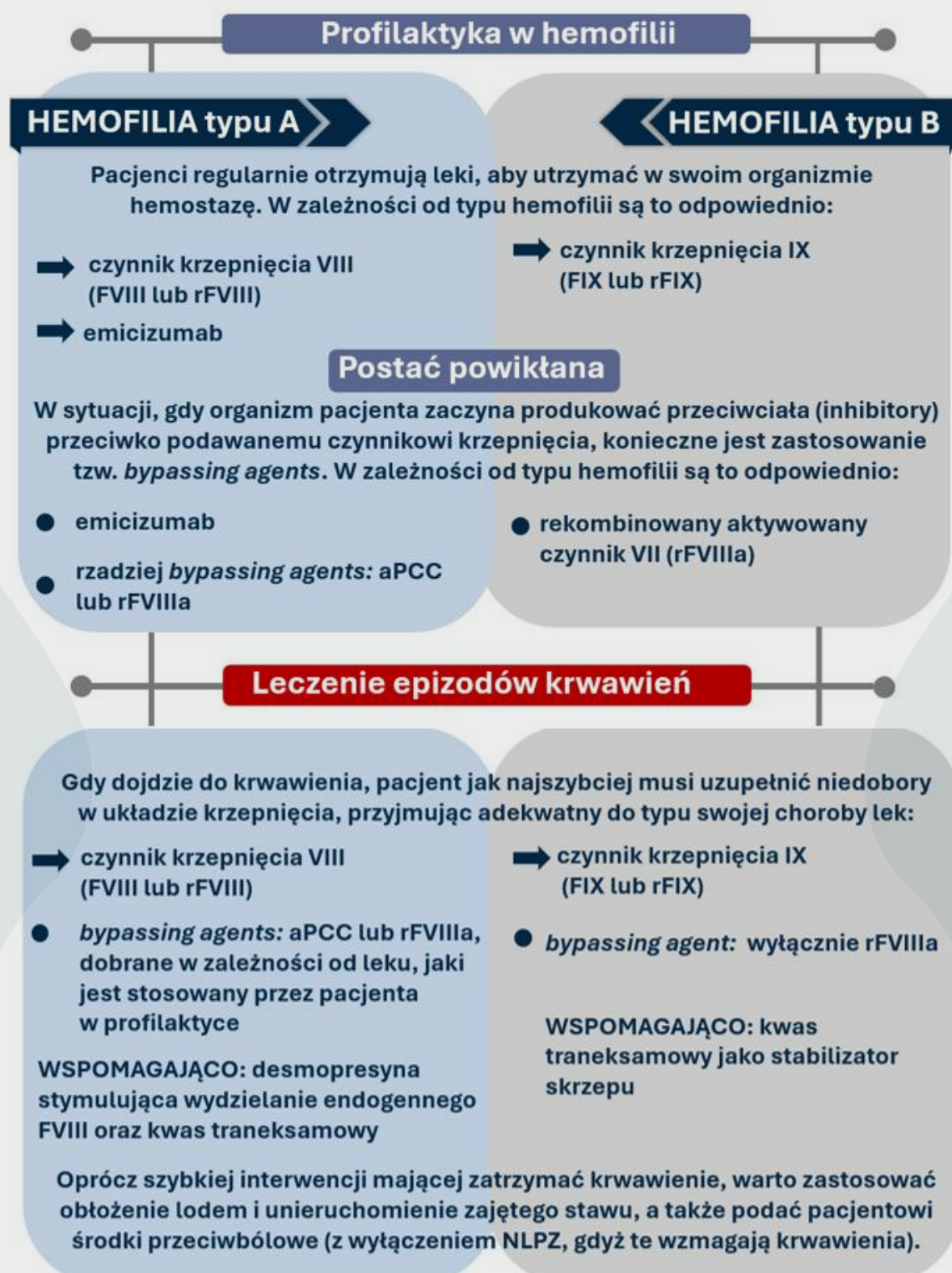


Dalsze działania służące poprawie opieki nad chorymi z hemofilią

- Szersze wdrożenie terapii podskórnych i czynników o wydłużonym działaniu
- Zapewnieniu równych szans w dostępie do nowoczesnych terapii, szczególnie dla pacjentów dorosłych
- Przyspieszeniu wdrażania rozwiązań cyfrowych
- Utrzymaniu wysokiego poziomu kompetencji zespołów terapeutycznych

Rysunek 3. Podsumowanie: Opieka pacjentów z hemofilią

Opieka nad pacjentami z hemofilią opiera się na dwóch równoległych filarach: profilaktyce krwawień oraz interwencyjnym leczeniu epizodów krwotocznych. Profilaktyka polega na regularnym podawaniu brakującego czynnika krzepnięcia w dawkach pozwalających utrzymać hemostazę na bezpiecznym poziomie (około 1-3% aktywności czynnika). Praktyka ta w dużej mierze chroni pacjenta przed niepożądanymi krwawieniami do stawów, mięśni czy narządów wewnętrznych. W przypadku jednak ich wystąpienia, chory wymaga szybkiego podniesienia poziomu czynnika krzepnięcia, adekwatnie do miejsca i ciężkości krwotoku: we wczesnych wylewach do stawów i mięśni należy utrzymać aktywność czynnika na poziomie 20-40% normy, natomiast w krwawieniach śródczaszkowych czy w obrębie dróg oddechowych należy podnieść aktywność czynnika nawet do 100% normy [5]. W łagodniejszych przypadkach wystarczy zastosować leki pomocnicze, takie jak desmopresyna uwalniająca endogenne czynnik krzepnięcia czy kwas traneksamowy stabilizujący powstające skrzepy. Chorzy z niedoborem FVIII mają dodatkowo do dyspozycji innowacyjny lek biologiczny, naśladujący funkcję brakującego czynnika, emicizumab. W Polsce terapia ta jest refundowana od 2020 roku w ramach Narodowego Programu Leczenia Hemofilii, jednak wyłącznie w populacji pacjentów (dzieci i dorosłych) powikłanych inhibitorem. U dzieci niepowikłanych inhibitorem emicizumab dostępny jest jedynie w ramach Programu Lekowego B.15 i obejmuje bardzo ograniczoną grupę pacjentów. Obecnie lek ten nie jest refundowany dla dorosłych pacjentów niepowikłanych inhibitorem. W przypadku chorych, u których doszło do rozwoju inhibitorów, czyli tych, u których układ odpornościowy wytworzył przeciwciała przeciwko podawanemu czynnikowi koagulacyjnemu, klasyczne leczenie zastępują tzw. czynniki ominięcia szlaku krzepnięcia (*bypassing agents*). Pozwalają one "ominać" zablokowany fragment kaskady krzepnięcia i wytworzyć skrzep inną drogą (Rysunek 4).



aPCC – koncentrat aktywowanych czynników zespołu protrombiny; NLPZ – niesteroidowe leki przeciwzapalne; rFVIII – rekombinowany czynnik VIII; rFIX – rekombinowany czynnik IX.

Rysunek 4. Schemat leczenia hemofilii.

Współczesne leczenie hemofilii opiera się więc na indywidualnie dobranych schematach terapeutycznych, dostosowanych do typu choroby, wieku pacjenta, obecności inhibitorów oraz

dostępności leków. Skuteczność takiego leczenia zależy nie tylko od właściwego doboru preparatów i dawek, ale również od sprawnej organizacji opieki zdrowotnej.

Personel medyczny

Lekarze hematolodzy

Pacjenci z hemofilią wymagają stałej, wysoko specjalistycznej opieki hematologicznej, obejmującej regularne monitorowanie poziomów czynników krzepnięcia oraz indywidualne dostosowywanie terapii do zmieniających się potrzeb klinicznych. W Polsce dostęp do takiej opieki jest jednak istotnie ograniczony, głównie z powodu niedoboru wykwalifikowanych specjalistów hematologii. Rosnąca liczba pacjentów oraz nierównomierna dostępność kadr medycznych powodują znaczne obciążenie istniejących ośrodków, co negatywnie wpływa zarówno na jakość leczenia, jak i terminowość wizyt. Braki kadrowe przyczyniają się również do opóźnień w diagnostyce oraz we wdrażaniu odpowiednich terapii, co w przypadku chorób rzadkich, takich jak hemofilia, może prowadzić do pogorszenia rokowań. Szczególnie trudna sytuacja występuje w niektórych regionach kraju, m.in. w województwie warmińsko-mazurskim i zachodniopomorskim, gdzie brakuje wyspecjalizowanych ośrodków zajmujących się leczeniem dorosłych pacjentów z hemofilią. Utrudniony jest także dostęp do świadczeń medycznych niezwiązanych bezpośrednio z chorobą podstawową – przykładem może być przypadek pacjentki z województwa zachodniopomorskiego, której odmówiono przeprowadzenia operacji ze względu na współistniejącą hemofilię [13].

Na początku 2024 roku w Polsce dostępnych było 377 miejsc rezydenckich w zakresie hematologii, z czego 283 zostały obsadzone. Natomiast, w 2019 roku liczba ta wynosiła jedynie 155, co potwierdza wyraźny wzrost zainteresowania specjalizacją i stanowi pozytywny sygnał dla przyszłości kadry hematologicznej. Obecnie w kraju działa łącznie 49 ośrodków hematologicznych, w tym 17 klinik i 32 oddziały szpitalne. [14] Należy przy tym zaznaczyć, że leczenie chorych na hemofilię realizowane jest w ramach ściśle określonej sieci 28 wyspecjalizowanych jednostek wskazanych w Narodowym Programie Leczenia Hemofilii, a także 15 z nich leczy pacjentów w ramach PL B.15 (rozdz. Realizacja NPLH w poszczególnych województwach).

Liczba aktywnych zawodowo hematologów w Polsce jest szacowana na 627 (stan na 01.03.2025), co odpowiada wskaźnikowi 1,67 specjalisty na 100 tys. mieszkańców [15, 16]. Mimo stopniowej poprawy w zakresie kształcenia i zatrudnienia specjalistów, sytuacja nadal odbiega od poziomu uznawanego za optymalny. Jak wskazuje prof. Ewa Lech-Marańda, Konsultant Krajowy w dziedzinie hematologii, rekomendowany poziom to 2-3 hematologów na 100 tys. mieszkańców [14]. Przyjmując wartość referencyjną na poziomie 2,5 specjalisty na 100 tys. mieszkańców, w Polsce brakuje obecnie około 314 hematologów, co wskazuje na istotną lukę kadrową w zakresie opieki hematologicznej.

Obecna sytuacja dotycząca lekarzy hematologów w Polsce



Rysunek 5. Dane dotyczące lekarzy hematologów w Polsce

Pielęgniarki

Pielęgniarki odgrywają niezwykle ważną rolę w opiece nad pacjentami z hemofilią, zarówno w szpitalach, jak i w środowisku domowym. Pacjenci z hemofilią często wymagają regularnych infuzji czynników krzepnięcia, a pielęgniarki muszą być odpowiednio przeszkolone, aby prawidłowo podać lek, monitorować reakcje pacjenta oraz reagować na ewentualne komplikacje. Niestety, także w przypadku pielęgniarek, występują niedobory. Wiele placówek boryka się z brakiem personelu pielęgniarskiego, co prowadzi do przeciążenia istniejących pracowników i spadku jakości opieki. Pielęgniarki często muszą radzić sobie z wieloma obowiązkami, co może wpłynąć na jakość i czas opieki nad pacjentem.

Według najnowszych dostępnych danych z Centralnego Rejestru Pielęgniarek i Położnych (stan na grudzień 2024 r.), w Polsce zarejestrowanych było 326 010 pielęgniarek oraz 43 173 położnych. Jednakże jedynie około 74% pielęgniarek i 71% położnych aktywnie pracuje w zawodzie [17]. Dodatkowo należy zaznaczyć, że ponad połowa pielęgniarek i położnych ma ponad 50 lat. Prognozy wskazują, że do 2030 roku aż 65% obecnie zatrudnionych pielęgniarek i 60% położnych będzie w wieku uprawniającym do świadczeń emerytalnych [18].

Zmiany systemowe w opiece chorych z hemofilią w Polsce

W ostatnich latach opieka nad osobami z hemofilią w Polsce przeszła szereg istotnych zmian systemowych, obejmujących zarówno organizację świadczeń zdrowotnych, dostęp do nowoczesnych terapii, jak i rozwój narzędzi cyfrowych wspierających leczenie. Jednym z najważniejszych osiągnięć jest przejście z modelu interwencyjnego (reakcja na krwawienia) na model profilaktyczny (zapobieganie krwawieniom). Profilaktyczne podawanie czynników krzepnięcia stało się standardem leczenia dzieci i młodzieży, a coraz częściej obejmuje także dorosłych pacjentów.

Obecnie filarami systemowej opieki nad pacjentami z hemofilią są dwa główne mechanizmy wsparcia: Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Skazy Krwotoczne oraz program lekowy B.15 Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B (ICD-10: D66, D67).

Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Skazy Krwotoczne

Program ten funkcjonuje nieprzerwanie od 2005 roku i jest regularnie aktualizowany. Obecna piąta edycja (2024–2028) zapewnia pacjentom dostęp do leków czynnikowych i nieczynnikowych (np. przeciwciał monoklonalnych) stosowanych w leczeniu zarówno profilaktycznym, jak i interwencyjnym.

Mimo to dostęp do innowacyjnych terapii pozostaje istotnie ograniczony, obejmując w praktyce głównie chorych na hemofilię A z inhibitorem. W przypadku dorosłych pacjentów bez inhibitora nadal powszechnie stosuje się osoczipochodne preparaty czynnika VIII, mimo że na rynku dostępne są zarejestrowane terapie o przedłużonym działaniu oraz leki o odmiennym mechanizmie, takie jak emicizumab czy marstacimab. W tej grupie chorych w ostatnich latach nie wprowadzono żadnej nowej refundowanej opcji terapeutycznej, co istotnie ogranicza możliwości optymalizacji leczenia zgodnie z aktualną wiedzą medyczną i międzynarodowymi standardami.

Jednym z kluczowych elementów tej edycji jest wdrażanie ogólnopolskiego systemu informatycznego e-Hemofilia, który ma na celu:

- poprawę koordynacji opieki,
- zwiększenie bezpieczeństwa leczenia,
- zapewnienie lekarzom dostępu do danych medycznych w czasie rzeczywistym.

System pozwoli na bieżące śledzenie historii terapii, przestrzegania zaleceń, analizę skuteczności leczenia i integrację z innymi systemami e-zdrowia (takimi jak e-Krew czy e-Transplant).

Zakres terapii stale się poszerza – od 2020 roku dostępny jest emicizumab, podawany podskórnie według jednego z kilku schematów: raz w tygodniu (1,5 mg/kg), co dwa tygodnie (3 mg/kg) lub co cztery tygodnie (6 mg/kg), pacjentom z inhibitorem czynnika VIII. W najbliższych miesiącach o refundację w Polsce ubiegać się będą producenci kolejnych terapii podskórnych: concizumabu i marstacimabu [19].

Sieć opieki obejmuje 28 wyspecjalizowanych ośrodków współpracujących z regionalnymi centrami krwiodawstwa i Narodowym Centrum Krwi. Równolegle rozwijane są kompetencje personelu medycznego – tylko w 2024 roku przeszkolono blisko 200 hematologów [20].

Program lekowy PL B.15 „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”

Program lekowy B.15 skierowany jest do dzieci z ciężką postacią hemofilii A i B objętych profilaktyką. Zapewnia on refundowany dostęp do koncentratów czynników krzepnięcia – głównie rekombinowanych, choć ich dostępność była dotąd ograniczona. Pacjenci z hemofilią A leczeni są następującymi substancjami: czynnik VIII osoczipochodny (Beriate, Immunate, Octanate), rekombinowany czynnik VIII (moroktokog alfa, oktokog alfa), rekombinowany czynnik VIII o przedłużonym działaniu (eftrenonakog alfa, rurioktokog alfa pegol) oraz od lipca 2024 roku emicizumab podskórny. Pacjenci z hemofilią B mają dostęp do czynnika IX osoczipochodnego (Immunine, Octanine), rekombinowanego czynnika IX (nonakog alfa) oraz rekombinowanego czynnika IX o przedłużonym działaniu (efmoroktokog alfa).

W latach 2016-2025 program przeszedł istotne zmiany, obejmujące stopniowe rozszerzanie listy dostępnych preparatów o przedłużonym czasie działania oraz form podskórnych:

- 2016-2019 – program leczenia hemofilii opierał się głównie na klasycznych koncentratkach czynników VIII i IX, z ograniczonym dostępem do preparatów rekombinowanych (w 2016 roku dostępnych było 5 preparatów, w tym dwa o przedłużonym czasie działania),
- 2023 – do programu włączono kolejny rekombinowany czynnik VIII o przedłużonym działaniu: rurioktokog alfa pegol,

- lipiec 2024 – w odpowiedzi na postulaty organizacji pacjenckich (m.in. Fundacji Sanguis), umożliwiono selektywne stosowanie terapii podskórnych, takich jak emicizumab, u dzieci spełniających ściśle określone kryteria medyczne. Wprowadzenie tej zmiany pozwoliło na prowadzenie leczenia w warunkach domowych, istotnie zwiększając wygodę i bezpieczeństwo terapii.
- lipiec 2025 – zakończono refundację czynnika IX o przedłużonym działaniu: albutrepenonakog alfa.
- październik 2025 – do programu włączono czynnik krzepnięcia VIII o ultra przedłużonym działaniu: efanesoctocog alfa oraz rozszerzono wskazanie dla emicizumabu na pełną populację pediatryczną z ciężką hemofilią A niepowikłaną inhibitorem oraz o pacjentów z umiarkowaną postacią hemofilii A niepowikłanej inhibitorem z ciężkim fenotypem krwotocznym po spełnieniu kryterium dotyczącego liczby krwawień w roku.

Refundacja nowoczesnych leków: czynniki długodziałające i podskórne



Rysunek 6. Zmiany w programie lekowym związane z refundacją czynników krzepnięcia o przedłużonym czasie półtrwania oraz substancji podawanych podskórnie w latach 2016-2025

Rodzice i pacjenci stosujących emicizumab, podkreślają znaczącą poprawę jakości życia – podskórne podanie leku raz na dwa tygodnie zajmuje zaledwie kilka sekund, co umożliwia dzieciom prowadzenie aktywnego, codziennego życia bez ograniczeń. Dotychczas z tej formy terapii skorzystało około 70 dzieci, co przez środowisko pacjenckie określane jest jako prawdziwy „przezwrot o 180 stopni” w opiece profilaktycznej [21].

Program B.15 pełni kluczową rolę w zapobieganiu krwawieniom u dzieci. Aby jednak w pełni wykorzystać jego potencjał, konieczne są:

- szersze wdrożenie terapii podskórnych i czynników o wydłużonym działaniu,
- uproszczenie i maksymalne skrócenie procesu kwalifikacji do leczenia,
- objęcie terapią wszystkich pacjentów spełniających kryteria określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego,
- systematyczne monitorowanie efektów klinicznych i jakości życia pacjentów.

Podsumowanie

Systemowa opieka nad chorymi na hemofilię w Polsce dynamicznie zmierza w kierunku nowoczesnego, skoordynowanego modelu leczenia, odpowiadającego europejskim standardom. Kluczowe filary tej zmiany to:

- stabilne finansowanie w ramach Narodowego Programu,
- rozwój cyfrowej infrastruktury (e-Hemofilia),
- interdyscyplinarna, kompleksowa opieka medyczna,
- wzmocnienie profilaktyki i ograniczenie liczby powikłań.

Należy jednak zaznaczyć, że dostęp do innowacyjnych terapii pozostaje wciąż istotnie ograniczony – szczególnie w przypadku populacji dorosłych pacjentów oraz części dzieci, co stanowi istotną barierę dla osiągnięcia pełnej skuteczności systemu leczenia.

Dalsze działania powinny koncentrować się na:

- zapewnieniu równych szans w dostępie do nowoczesnych terapii, zarówno dorosłych jak i pediatrycznych,
- przyspieszeniu wdrażania rozwiązań cyfrowych,
- utrzymaniu wysokiego poziomu kompetencji zespołów terapeutycznych.

Opinie pacjentów dotyczące leczenia hemofilii w Polsce

Pomimo istotnego postępu w zakresie dostępności terapii dla osób z hemofilią w Polsce, system opieki zdrowotnej nadal wymaga znaczących usprawnień organizacyjnych. Potwierdzają to wyniki ogólnopolskiego badania ankietowego PROBE (*Patient-Reported Outcomes, Burdens and Experiences*), przeprowadzonego w pierwszej połowie 2021 roku przez Polskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię we współpracy z *European Haemophilia Consortium* oraz *Canadian Hemophilia Society*. W badaniu udział wzięło 284 pacjentów z hemofilią [10].

Regularny kontakt z hematologiem stanowi kluczowy element skutecznego leczenia. Tymczasem średni deklarowany czas oczekiwania na wizytę kontrolną wynosił 1,7 miesiąca, przy czym występowały znaczne różnice regionalne. W części ośrodków dostęp do lekarza możliwy był niemal natychmiast, natomiast w skrajnych przypadkach czas oczekiwania przekraczał 2,5 roku. Tego rodzaju opóźnienia w szczególności dotyczą młodych dorosłych, którzy po osiągnięciu pełnoletności są zmuszeni do zmiany ośrodka leczenia, co często prowadzi do przerwania ciągłości terapii. Problemy w dostępie do opieki dotyczą także kobiet będących nosicielkami mutacji genetycznych odpowiedzialnych za hemofilię, które nierzadko nie otrzymują na czas odpowiedniej diagnozy ani właściwego leczenia.

Kolejnym istotnym ograniczeniem systemowym jest brak zapewnionego całodobowego dostępu do pomocy w sytuacjach nagłych. Jedynie 67% respondentów potwierdziło możliwość kontaktu z ośrodkiem leczenia hemofilii poza standardowymi godzinami pracy, podczas gdy 33% pacjentów napotykało trudności w uzyskaniu takiej pomocy. Co więcej, 40% badanych wskazało na problemy z dostępem do wysoko wyspecjalizowanych ośrodków referencyjnych, co w sytuacjach zaostrzenia objawów może prowadzić do poważnych konsekwencji zdrowotnych.

Wyzwaniem pozostaje również ograniczony dostęp do dostaw leków bezpośrednio do miejsca zamieszkania. Jedynie 41% respondentów zadeklarowało, że otrzymuje czynniki krzepnięcia w formie dostawy domowej. Dla osób cierpiących na zaawansowaną artropatię, która ogranicza ich mobilność, konieczność osobistego odbioru leków w ośrodku leczenia lub stacji krwiodawstwa stanowi poważne obciążenie fizyczne i organizacyjne. Taki model dystrybucji niejednokrotnie prowadzi do opóźnień w przyjmowaniu leków, co obniża skuteczność terapii i zwiększa ryzyko powikłań.

Badanie PROBE objęło również ocenę dostępności innych form opieki specjalistycznej. Możliwość kontaktu z pielęgniarką w ośrodkach lokalnych zadeklarowało 71% respondentów, a w ośrodkach referencyjnych – 79%. Znacznie gorsza sytuacja dotyczyła rehabilitacji – jedynie 17% pacjentów korzystało z fizjoterapii w ośrodkach lokalnych, a 28% w placówkach o wyższym stopniu referencyjności. Aż 46% ankietowanych nie potrafiło określić, czy taka forma wsparcia jest w ogóle dla nich dostępna. Tymczasem, jak podkreśla prezes Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię Bogdan Gajewski, rehabilitacja odgrywa kluczową rolę w procesie leczenia. W przypadku wielu dorosłych pacjentów występuje zaawansowana artropatia, prowadząca do sztywności stawów, zaników mięśni oraz przewlekłego bólu. Tylko regularna, indywidualnie dobrana terapia ruchowa prowadzona przez doświadczonego fizjoterapeutę może przynieść zauważalną poprawę funkcjonowania i jakości życia.

Ograniczony dostęp do innych specjalistów również został wyraźnie zidentyfikowany jako bariera systemowa. Brak możliwości skorzystania z chirurgii ortopedycznej zadeklarowało 22% respondentów, przy czym w niektórych regionach problem ten dotyczył aż 50% pacjentów. Tylko 20% kobiet z zaburzeniami krzepnięcia lub matek dzieci z hemofilią miało możliwość konsultacji z ginekologiem lub położnikiem współpracującym z ośrodkiem leczenia. Zaledwie 10% uczestników badania deklarowało dostęp do poradni genetycznej, 14% – do pomocy psychologicznej, a jedynie 5% – do wsparcia pracownika socjalnego. Co istotne, ponad połowa badanych nie była świadoma możliwości uzyskania pomocy psychologa (51%) lub pracownika socjalnego (55%).

Wyniki badań dotyczące opieki nad pacjentami z hemofilią



DŁUGI CZAS OCZEKIWANIA NA WIZYTĘ

- 1,7 miesiąca to średni czas oczekiwania na wizytę u hematologa, w skrajnych przypadkach – 2,5 roku
- 33% pacjentów miało trudności w uzyskaniu pomocy z ośrodkiem poza standardowymi godzinami pracy
- 40% badanych wskazało na problemy z dostępem do wysoko wyspecjalizowanych ośrodków referencyjnych



DOSTAWY DO DOMU

- 41% chorych miało dostawy leków do domu



TRUDNOŚCI Z DOSTĘPEM DO SPECJALISTÓW

- 17% pacjentów korzystało z fizjoterapii w ośrodkach lokalnych, 28% w placówkach o wyższym stopniu referencyjności
- Aż 46% ankietowanych nie potrafiło określić, czy forma wsparcia w postaci fizjoterapii jest w ogóle dla nich dostępna
- 20% kobiet z zaburzeniami krzepnięcia lub matek dzieci z hemofilią miało możliwość konsultacji z ginekologiem lub położnikiem współpracującym z ośrodkiem leczenia hemofilii
- 22% respondentów zadeklarowało brak możliwości skorzystania z chirurgii ortopedycznej
- Ponad połowa badanych nie była świadoma możliwości uzyskania pomocy psychologa (51%) lub pracownika socjalnego (55%)

Rysunek 7. Wyniki badania ankietowego PROBE przeprowadzonego przez Polskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię [10]

Jakość życia pacjentów z hemofilią

Hemofilia znacząco wpływa na jakość życia pacjentów i ich opiekunów



Choroba ogranicza aktywność fizyczną, społeczną i zawodową chorych, a u 95% z nich powoduje przewlekły ból i dyskomfort, które utrudniają codzienne funkcjonowanie

Pacjenci przedwcześnie wycofują się z rynku pracy – nawet 10x częściej, niż ich zdrowi odpowiednicy



Niska aktywność zawodowa przekłada się na częste problemy finansowe

Ograniczenia edukacyjne u dzieci i młodzieży z hemofilią mogą wpływać na ich przyszłe możliwości zawodowe i społeczne



Hemofilia u partnera lub dziecka często zmusza kobiety w jego rodzinie do rezygnacji z pracy i podporządkowania całego życia rytmowi leczenia i codziennych ograniczeń wynikających z choroby



Wprowadzenie terapii podskórnych pozwoliło części pacjentów odzyskać większą samodzielność i poprawić komfort życia, co jednocześnie może zmniejszać także obciążenie ich rodzin

Rysunek 8. Podsumowanie: Jakość życia pacjentów z hemofilią

Hemofilia istotnie wpływa na jakość życia pacjentów, zarówno w wymiarze fizycznym, jak i psychospołecznym. Pacjenci muszą dostosowywać swoje codzienne aktywności do swojego stanu zdrowia, unikając sytuacji zwiększających ryzyko urazów. Konieczność ta znacznie ogranicza ich uczestnictwo w życiu społecznym, edukacyjnym czy zawodowym [22]. Aż 95% osób chorych na hemofilię doświadcza silnego bólu i przewlekłego dyskomfortu, które w istotny sposób ograniczają ich codzienne funkcjonowanie. Dolegliwości te często utrudniają wykonywanie podstawowych czynności życiowych, takich jak poruszanie się, praca zawodowa czy aktywność społeczna, wpływając negatywnie na jakość życia pacjentów oraz ich niezależność (Rysunek 9).



Rysunek 9. Główne ograniczenia hemofilików [22]

Ograniczenia w poruszaniu się są jednym z najdotkliwszych skutków przewlekłych powikłań stawowych u pacjentów z hemofilią. Z danych uzyskanych w badaniu *Open Pharma House* wynika, że aż 62% dorosłych pacjentów z ciężką hemofilią A bez inhibitora ma unieruchomiony co najmniej jeden staw, a 58% wskazuje na obecność tzw. „*target joints*” – miejsc szczególnie podatnych na powtarzające się krwawienia. U 5% pacjentów stwierdzono całkowitą niesamodzielność w poruszaniu się, natomiast co czwarty chory wymaga wsparcia – najczęściej w postaci kul ortopedycznych – aby móc się przemieszczać. Tego typu ograniczenia znacząco wpływają na samodzielność, możliwość wykonywania pracy zawodowej oraz uczestnictwa w życiu społecznym [23].

Chorzy z ciężką hemofilią A, proszeni o ocenę jakości swojego życia, wskazują średnio 50 w skali 0-100 (EQ VAS), podczas gdy wartości dla populacji ogólnej w Europie oscylują w granicach 71-81.



Rysunek 10. Subiektywna ocena jakości życia pacjentów z ciężką hemofilią A [22,24]

Wypowiedzi chorych wskazują na znaczne ograniczenia w postrzeganym stanie zdrowia oraz codziennym funkcjonowaniu (Rysunek 10).

Najniższą jakość życia zgłaszają szczególnie ci, u których współwystępuje wirusowe zapalenie wątroby typu C (prawdopodobny skutek stosowania osoczipochodnych czynników krzepnięcia). Ważnym czynnikiem obniżającym jakość życia jest też niezdolność do pracy zawodowej oraz konieczność utrzymywania się z renty chorobowej [25].

Powikłania wynikające z hemofilii

Hemofilia jest chorobą prowadzącą do szeregu powikłań, spośród których szczególne znaczenie mają nawracające krwawienia, zwłaszcza do stawów. Prowadzą one do nieodwracalnego uszkodzenia chrząstki, przewlekłego bólu oraz postępującego ograniczenia sprawności, określanego jako artropatia hemofilowa. Leczenie zaawansowanej postaci tej choroby często wymaga zastosowania metod chirurgicznych, z których najważniejszą i najczęściej stosowaną jest endoprotezoplastyka stawów [29]. Procedura ta polega na całkowitej wymianie zniszczonego stawu na sztuczny implant, co umożliwia znaczną redukcję dolegliwości bólowych, poprawę zakresu ruchu oraz przywrócenie pacjentowi sprawności i samodzielności w codziennym funkcjonowaniu. Endoprotezoplastyka stanowi kluczowy element postępowania terapeutycznego w sytuacjach, gdy leczenie zachowawcze – takie jak farmakoterapia, rehabilitacja czy ograniczanie przeciążeń – okazuje się nieskuteczne [30].

Artropatia hemofilowa ma charakter postępujący i wieloogniskowy. Dane populacyjne wskazują, że około 7,5% pacjentów z hemofilią wymaga przeprowadzenia endoprotezoplastyki, przy czym około 40% pacjentów z tej grupy przechodzi operacje w więcej niż jednym stawie [32].

Do najczęstszych zabiegów endoprotezoplastyki przeprowadzanych u pacjentów z hemofilią należy wymiana stawu kolanowego. W analizie obejmującej 347 endoprotez zaimplantowanych w tej populacji aż 268 przypadków (około 77%) dotyczyło właśnie tej lokalizacji. Stosunkowo często wymieniane są również stawy biodrowe (około 20% wszystkich przypadków), natomiast pozostałe, znacznie rzadsze interwencje, obejmują stawy skokowe oraz łokciowe [30,31].

Procedura wymiany stawu obarczona jest istotnymi trudnościami technicznymi i wysokim ryzykiem powikłań, ponieważ pacjenci w zaawansowanym stadium choroby często mają znaczne deformacje stawów, przykurcze mięśni oraz skrócenia tkanek miękkich, co istotnie utrudnia dostęp operacyjny i osadzenie implantu. Dodatkowo, zmiany zapalne i zrosty po wieloletnich wylewach stawowych sprawiają, że operacja staje się technicznie bardzo wymagająca, a ryzyko uszkodzenia nerwów, naczyń lub nadmiernego krwawienia śródoperacyjnego znacząco wzrasta w porównaniu do pacjentów bez zaburzeń krzepnięcia [29,33]. Wszystko to przekłada się na większe ryzyko niepowodzenia zabiegu, dłuższy czas rekonwalescencji oraz częste powikłania po zabiegu: wyniki analiz szwajcarskiej kohorty, opublikowane w latach 2022 i 2024, wskazują, że częstość infekcji po zabiegach endoprotezoplastyki wyniosła aż 11,9% w grupie pacjentów z hemofilią, podczas gdy w populacji ogólnej zazwyczaj nie przekracza 2%. Odsetek rewizji lub reoperacji w ciągu pierwszego roku po zabiegu był również istotnie wyższy – 9,5% wśród chorych z zaburzeniami krzepnięcia wobec 2,4% w grupie kontrolnej [33,34].

Ze względu na to, że endoprotezoplastyka u pacjentów z hemofilią jest zabiegiem trudnym technicznie i obciążonym wysokim ryzykiem powikłań, kluczowe znaczenie ma niedopuszczanie do rozwoju zaawansowanej artropatii poprzez wczesną i skuteczną profilaktykę krwawień stawowych.

Aktywność zawodowa pacjentów z hemofilią

Hemofilia istotnie obniża aktywność zawodową osób chorych: wskaźnik zatrudnienia pacjentów z ciężką postacią choroby wynosi 64,3% w porównaniu z 73,2% w ogólnej populacji mężczyzn. Szczególnie niski odsetek zatrudnionych dotyczy osób z hemofilią powikłaną inhibitorem, gdzie

aktywnych zawodowo pozostaje tylko 41,7%. Stan ten znajduje potwierdzenie również we wskaźnikach bezrobocia, które oscylując w granicach 3,4% w ogólnej populacji mężczyzn, a wśród hemofilików sięgają 6,9% [26].

Całkowita niezdolność do pracy dotyka 14,7% mężczyzn z ciężką hemofilią, będących w wieku produkcyjnym, co jest wartością wyższą niż w ogólnej populacji mężczyzn (4,8%). W połowie przypadków przyczyną niepełnosprawności zawodowej jest *stricte* hemofilia, u kolejnych kilkunastu procent jest to połączenie hemofilii i chorób z nią współistniejących, takich jak wirusowe zapalenie wątroby typu C lub zakażenie HIV [26].

Przewlekły i ostry ból, trudności w wykonywaniu codziennych czynności, przebyte zabiegi ortopedyczne oraz konieczność korzystania z pomocy w poruszaniu się – wszystkie te elementy sprawiają, że prawdopodobieństwo wyboru zatrudnienia w ograniczonym wymiarze czasu lub decyzji o wcześniejszym zakończeniu aktywności zawodowej jest wśród hemofilików aż dziesięciokrotnie większe, niż wśród ich zdrowych odpowiedników [27].

Skazy krwotoczne, zwłaszcza w cięższych postaciach, znacząco wpływają nie tylko na aktywność zawodową dorosłych, ale także na edukację dzieci i młodzieży. W badaniu obejmującym 12 kolejnych miesięcy edukacji starszych nastolatków wykazano, że o ile w populacji ogólnej około 38% chłopców miewało nieobecności w szkole, o tyle wśród młodzieży z diagnozą hemofilii odsetek ten sięga 77-80% [26]. Taki poziom absenteizmu może prowadzić do trudności z realizacją podstawy programowej, obniżenia wyników w nauce, izolacji społecznej oraz ograniczonych możliwości kontynuowania edukacji na wyższych szczeblach.

Wpływ hemofilii na życie opiekunów pacjentów

Hemofilia to choroba, która dotyka niemal wyłącznie mężczyzn, a główny ciężar opieki nad nimi spoczywa na kobietach – najczęściej ich matkach, partnerkach lub innych bliskich. To właśnie one przejmują odpowiedzialność za leczenie, organizację codziennego życia i wsparcie emocjonalne całej rodziny. Ich zaangażowanie obejmuje nie tylko codzienną opiekę, ale również monitorowanie terapii, kontakt z lekarzami, koordynację leczenia oraz przejęcie obowiązków domowych i zawodowych w sytuacjach, gdy choroba ogranicza aktywność pacjenta.

W 2021 roku powstał obszerny raport oparty na indywidualnych wywiadach pogłębionych z kobietami, które opiekują się mężczyznami z hemofilią. Badanie to dostarcza głębokiego wglądu w perspektywę kobiet, które są bezpośrednio zaangażowane w opiekę nad chorymi, i pokazuje, jak bardzo hemofilia wpływa na ich życie prywatne, zawodowe i emocjonalne [51].

Z danych przedstawionych w raporcie jasno wynika, że partnerki mężczyzn z hemofilią doświadczają ogromnego obciążenia fizycznego i psychicznego. Żyją w ciągłym lęku przed wystąpieniem wylewu u bliskiej osoby, a codzienność ich rodzin podporządkowana jest rytmowi choroby – od sposobu spędzania wolnego czasu, po plany zawodowe i rodzinne. Kobiety często pełnią funkcję "głosu rozsądku", hamując impulsywność partnerów, którzy mimo ograniczeń chcą realizować się w roli mężczyzny – choćby dźwigając zakupy czy pracując ponad siły. Dodatkowo partnerki biorą na siebie odpowiedzialność za organizację leczenia, zamówienia leków, wizyty lekarskie, a także za dobrostan

psychiczny chorego partnera, często kosztem własnych potrzeb i zdrowia emocjonalnego. Z kolei matki dzieci z hemofilią, zwłaszcza najmłodszych, często całkowicie rezygnują z życia zawodowego i społecznego, poświęcając się wyłącznie opiece. Ich codzienność naznaczona jest czujnością, lękiem i koniecznością podejmowania decyzji medycznych. Odpowiadają nie tylko za terapię i bezpieczeństwo dziecka, ale również za jego funkcjonowanie w środowisku przedszkolnym i szkolnym, co wiąże się z koniecznością edukowania nauczycieli oraz ciągłego nadzorowania sytuacji. W okresie dojrzewania dzieci dochodzi dodatkowe wyzwanie – bunt chorego nastolatka, frustracja związana z ograniczeniami i koniecznością regularnych iniekcji, co rodzi u matek bezradność i pogłębia ich emocjonalne obciążenie.

W oparciu o treści uzyskane podczas wywiadów pogłębionych z bezpośrednimi opiekunkami chorych mężczyzn jasno wynika, że hemofilia znacząco je obciąża – zarówno fizycznie, jak i emocjonalnie – zmuszając je do przejęcia odpowiedzialności za leczenie, codzienne funkcjonowanie rodziny i wsparcie psychiczne pacjenta. Żyją w stałym napięciu, często rezygnując z własnych potrzeb i aktywności zawodowej, by sprostać wymaganiom związanym z chorobą bliskiej osoby.

Sytuacja materialna pacjentów z hemofilią

Jak wykazano powyżej, wielu pacjentów ma trudności ze znalezieniem lub utrzymaniem zatrudnienia z powodu ograniczeń fizycznych lub orzeczeń o niepełnosprawności. Wiąże się to nie tylko z dużym obciążeniem emocjonalnym, ale też finansowym. Wówczas to kobiety często przejmują na siebie odpowiedzialność za utrzymanie rodziny, co wiąże się z koniecznością podejmowania dodatkowej pracy i wzmożonym wysiłkiem [51].

Jeśli chodzi o matki dzieci z hemofilią to w wielu przypadkach rezygnują one z pracy zawodowej, by zapewnić dziecku całodobową opiekę – zwłaszcza w okresie niemowlęcym i przedszkolnym. Opieka nad chorym dzieckiem uniemożliwia im podjęcie lub kontynuację pracy zarobkowej, co obniża dochody rodziny i zwiększa zależność finansową od jednego rodzica [51].

Wpływ formy leku na jakość życia

Forma podawanego leku ma w hemofilii kluczowe znaczenie dla jakości życia chorego. Podania dożylnie są nieprzyjemne i stresujące a u dzieci i osób z utrudnionym dostępem żylnym mogą być szczególnie uciążliwe. Pacjenci otrzymujący terapię w postaci standardowych czynników krzepnięcia (ang. *standard half-life*, SHL), mających krótki okres półtrwania, narażani są na wkłucia nawet co 2-3 dni. W przypadku stosowania czynników o wydłużonym okresie działania (ang. *extended half-life*, EHL) wkłucia są konieczne 1-2 razy w tygodniu (a nawet co 10-14 dni), co już w znacznym stopniu zmniejsza obciążenie leczeniem. Niestety, procedura wkłucia – choć rzadziej – nadal istotnie obciąża chorego, narażając go na stres, ból i ewentualne krwawienie miejscowe. Częste wkłucia są dla niektórych chorych tak bolesnym doświadczeniem, że część z nich podejmuje decyzję o rezygnacji z leczenia profilaktycznego [35].

Dopiero wprowadzenie wysoce innowacyjnej terapii podskórnej umożliwiło realną zmianę codziennego funkcjonowania pacjentów i ich rodzin: lek podawany samodzielnie w domu, nie częściej

niż raz na tydzień (a nawet raz na miesiąc), bez konieczności dostępu do żył, dał pacjentom poczucie niezależności. Chorzy stosujący go raportują poprawę uczestnictwa w życiu społecznym oraz większą swobodę podróżowania, co w konsekwencji istotnie poprawia ich samopoczucie [35]. Mniejsze ryzyko krwawienia i duża elastyczność w przyjmowaniu leku sprawia, że stosujący go chorzy doświadczają poprawy w zakresie podejmowania decyzji dotyczących życia rodzinnego i zawodowego [44]. Dodatkowo, pacjenci otrzymujący lek podskórnie, w zauważalny sposób poprawiają adherencję w jego przyjmowaniu, co jest szczególnie ważne w profilaktyce hemofilii [35].

LECZENIE HEMOFILII W POLSCE

W Polsce świadczenia dla pacjentów z hemofilią realizowane są w różnych formach – od podstawowej opieki zdrowotnej, przez poradnie specjalistyczne, leczenie szpitalne, aż po leczenie w warunkach domowych. Każdy z tych poziomów pełni określoną rolę w systemie opieki nad chorymi na skazy krwotoczne.

Leczenie hemofilii w ramach poszczególnych rodzajów świadczeń

Leczenie hemofilii w ramach poszczególnych rodzajów świadczeń

POZ



W latach 2019-2024 odnotowano spadek liczby świadczeń udzielanych pacjentom z hemofilią A o 14% (2 307 vs 1 988), natomiast w przypadku świadczeń dla pacjentów z hemofilią B - wzrost o 6% (332 vs 353).

AOS



W okresie 2019-2024 liczba pacjentów zwiększyła się o 20%.



Ponad 300% wzrost nakładów finansowych - z 260 tys. zł w 2019 roku do 1,3 mln zł w 2024 roku.



Zwiększył się również udział teleporad udzielanych pacjentom z hemofilią A i B (odpowiednio o 7% i 17%).



W 2024 roku liczba chorych z artropatią hemofilową spadła o 80% w porównaniu z rokiem 2019 (17 vs 85 pacjentów).



W okresie 2019-2024 odnotowano istotny spadek udziału pacjentów z artropatią hemofilową wśród osób z hemofilią leczonych w AOS - z 5% do zaledwie 1%.

LECZENIE SZPITALNE POZA PROGRAMEM LEKOWYM

Szpital

W 2024 roku opieką objęto 530 pacjentów (wobec 693 w 2019 r.), co oznacza średnio 5 pacjentów na jednego świadczeniodawcę.

W latach 2019-2024 nastąpił wzrost nakładów finansowych z 2 mln zł do 5,6 mln zł.

W latach 2019-2024 pacjenci z artropatią hemofilową stanowili 1% do 5% populacji osób hospitalizowanych ze zdiagnozowaną hemofilią.

PROGRAM LEKOWY

W 2024 roku opieką objęto 431 pacjentów (wobec 426 w 2019 r.), co oznacza średnio 27 pacjentów na jednego świadczeniodawcę.

W latach 2019-2024 nastąpił wzrost nakładów z 31 mln zł do 44,7 mln zł.

Rehabilitacja



W 2024 roku liczba pacjentów z hemofilią korzystających z rehabilitacji wzrosła o ponad 50% w porównaniu z rokiem 2023 (57 vs 25).



W 2023 r. nastąpił gwałtowny wzrost kosztów rehabilitacji pacjentów z hemofilią (refundacja wzrosła ponad czterokrotnie). W 2024 r. średni koszt na pacjenta spadł (z 2,6 tys. zł do 1,7 tys. zł.), ale całkowita refundacja nadal rosła do 95,8 tys. zł (vs 65,8 tys. zł w 2023 roku).



W 2024 r. udział pacjentów z artropatią hemofilową wśród hemofilików objętych rehabilitacją spadł do 21%, w porównaniu do 56% w 2023 r.

Rysunek 11. Podsumowanie: Leczenie hemofilii w ramach poszczególnych rodzajów świadczeń

Leczenie hemofilii, jako choroby przewlekłej i rzadkiej, wymaga skoordynowanego i zintegrowanego podejścia, które obejmuje wszystkie poziomy systemu ochrony zdrowia – od podstawowej opieki zdrowotnej (POZ), przez ambulatoryjną opiekę specjalistyczną (AOS), aż po leczenie szpitalne, rehabilitację oraz wsparcie psychologiczne i społeczne. Skuteczne postępowanie terapeutyczne opiera się na wczesnym rozpoznaniu objawów, regularnym monitorowaniu stanu zdrowia oraz indywidualnym doborze terapii profilaktycznej lub interwencyjnej. Kluczową rolę w codziennej opiece nad pacjentem z hemofilią odgrywają wyspecjalizowane ośrodki leczenia hemofilii, które koordynują działania diagnostyczne i terapeutyczne oraz zapewniają dostęp do zespołów wielodyscyplinarnych, w tym hematologów, fizjoterapeutów, ortopedów i psychologów.

Istotnym aspektem opieki nad osobami z hemofilią, szczególnie pacjentami z zaawansowanymi zmianami stawowymi, jest zapewnienie dostępu do profilaktyki wtórnej – zarówno krótkoterminowej, jak i długoterminowej – oraz do opieki ortopedycznej i intensywnej rehabilitacji. Odpowiednio prowadzona fizjoterapia i dostęp do specjalistycznej opieki ortopedycznej mają kluczowe znaczenie w zapobieganiu dalszym uszkodzeniom narządu ruchu oraz poprawie jakości życia chorych.

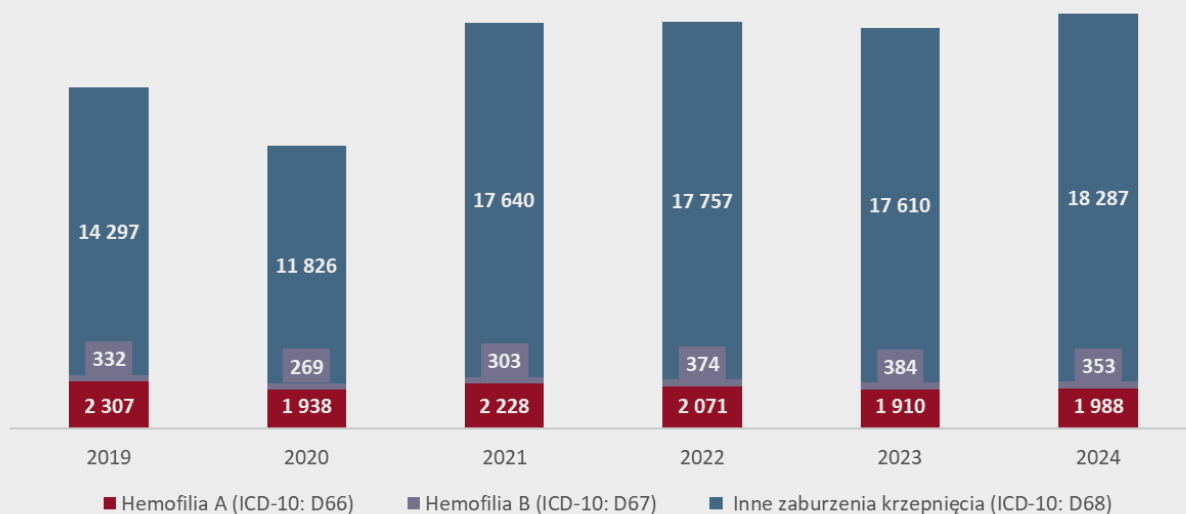
Współpraca pomiędzy różnymi poziomami świadczeń zdrowotnych ma istotne znaczenie dla utrzymania ciągłości leczenia, zapobiegania powikłaniom oraz poprawy jakości życia pacjentów. Coraz większą rolę w tym obszarze mogą odgrywać narzędzia telemedyczne, umożliwiające zdalne konsultacje, monitorowanie terapii domowej oraz skrócenie czasu oczekiwania na kontakt ze specjalistą – co ma szczególne znaczenie dla osób mieszkających z dala od wyspecjalizowanych ośrodków.

Podstawowa Opieka Zdrowotna

W ramach POZ rola lekarza rodzinnego w opiece nad pacjentem z hemofilią koncentruje się głównie na monitorowaniu ogólnego stanu zdrowia, prowadzeniu podstawowej diagnostyki oraz kierowaniu do opieki specjalistycznej. Ze względu na rzadkość i złożoność tej choroby, możliwości diagnostyczno-terapeutyczne na poziomie POZ są ograniczone. Istotne znaczenie ma jednak wczesne rozpoznanie objawów sugerujących zaburzenia krzepnięcia, a także utrzymywanie regularnego kontaktu z pacjentem w celu koordynacji dalszego leczenia.

W latach 2021-2024 liczba świadczeń udzielanych w ramach podstawowej opieki zdrowotnej pacjentom z rozpoznaniem skaz krwotocznych utrzymywała się na zbliżonym poziomie. W analizowanym okresie odnotowano niewielki spadek liczby wizyt związanych z hemofilią A (ICD-10: D66), przy jednoczesnym, nieznacznym wzroście liczby świadczeń dotyczących hemofilii B (ICD-10: D67). Warto podkreślić, że liczba świadczeń dla pacjentów z hemofilią A w 2024 roku nadal była niższa niż w roku 2019 [36].

Świadczenia udzielone w ramach POZ z rozpoznaniem skaz krwotocznych



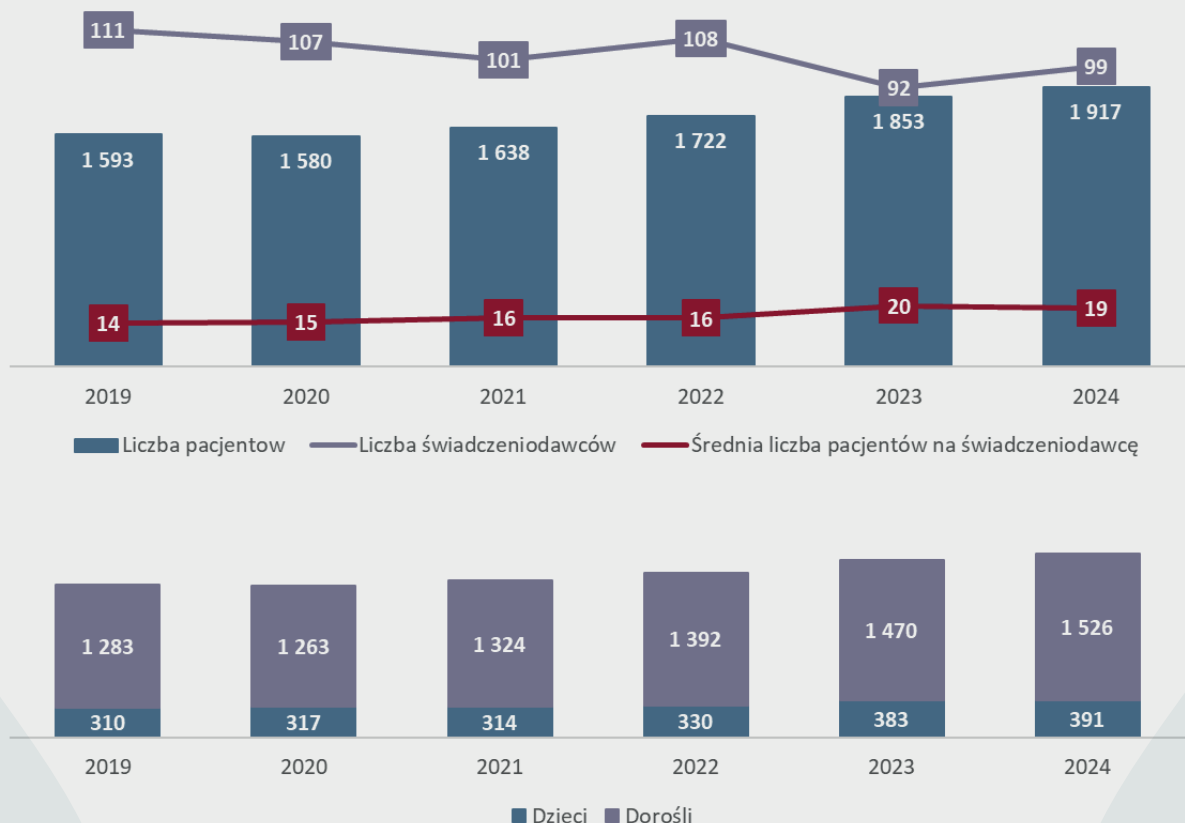
Wykres 1. Liczba świadczeń udzielonych w ramach POZ z rozpoznaniem skaz krwotocznych w latach 2019-2024 wg BASiW [36]

Ambulatoryjna Opieka Zdrowotna

AOS odgrywa kluczową rolę w prowadzeniu pacjentów z hemofilią. W tym zakresie szczególnie istotne są poradnie hematologiczne, w których prowadzi się pogłębioną diagnostykę, kontrolę parametrów krzepnięcia, a także modyfikuje leczenie w zależności od stanu klinicznego chorego. W praktyce dostęp do AOS może być utrudniony ze względu na niewystarczającą liczbę hematologów zajmujących się zaburzeniami hemostazy, szczególnie poza dużymi ośrodkami akademickimi.

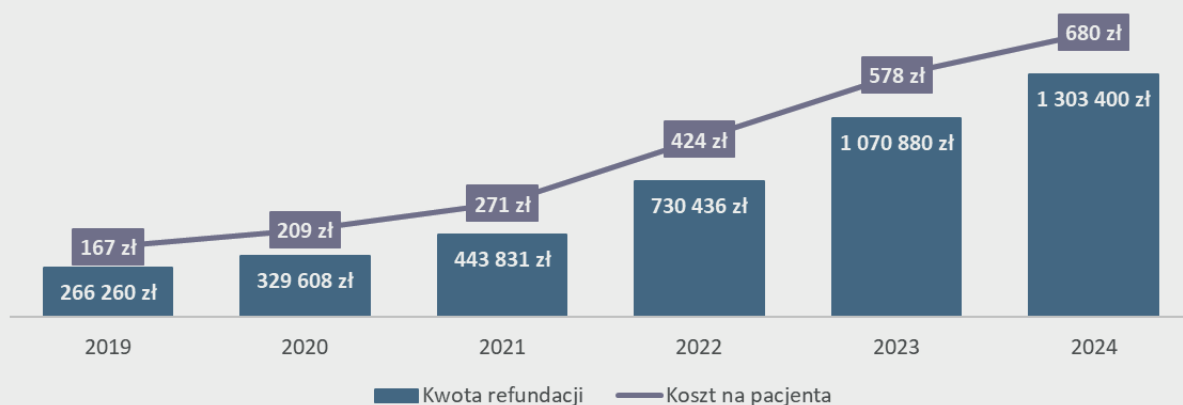
W 2024 roku odnotowano wyraźny wzrost liczby pacjentów objętych leczeniem – z 1 593 osób w 2019 roku do 1 917. Zdecydowaną większość stanowili dorośli, którzy w analizowanym okresie (2019-2024) niezmiennie stanowili około 80% populacji leczonych. Liczba placówek realizujących świadczenia nieznacznie się zmniejszyła – ze 111 w 2019 roku do 99 w 2024. W tym samym czasie średnia liczba pacjentów przypadająca na jeden ośrodek zwiększyła się z 14 na 19 [37].

Liczba pacjentów z hemofilią A i B oraz liczba świadczeniodawców w AOS



Wykres 2. Liczba pacjentów z hemofilią A i B oraz liczba świadczeniodawców w AOS w latach 2019-2024 wg danych NFZ [37]

W analizowanym okresie odnotowano znaczący wzrost nakładów finansowych na leczenie pacjentów z hemofilią w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej. Wartość refundacji w latach 2019–2024 zwiększyła się o ponad 300% – z 266 tys. zł do 1,3 mln zł. Jednocześnie koszt leczenia przypadający na jednego pacjenta był blisko czterokrotnie wyższy, zmieniając się z 167 zł do 680 zł.

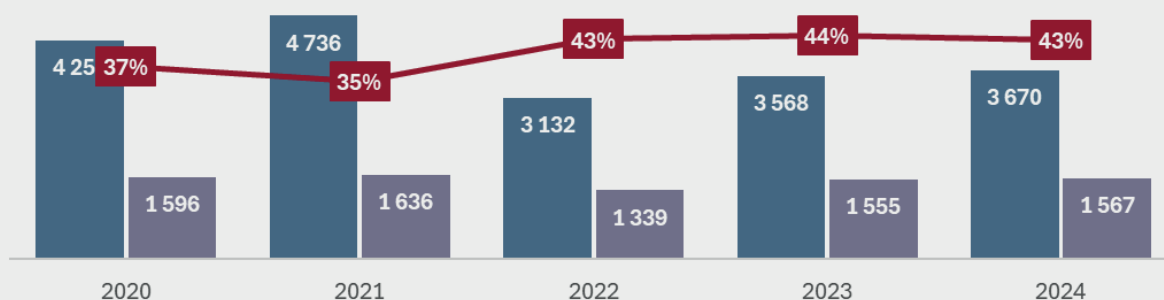


Wykres 3. Kwota refundacji świadczeń udzielanych pacjentom z hemofilią typu A i B w ramach AOS w latach 2019-2024, według danych NFZ [37]

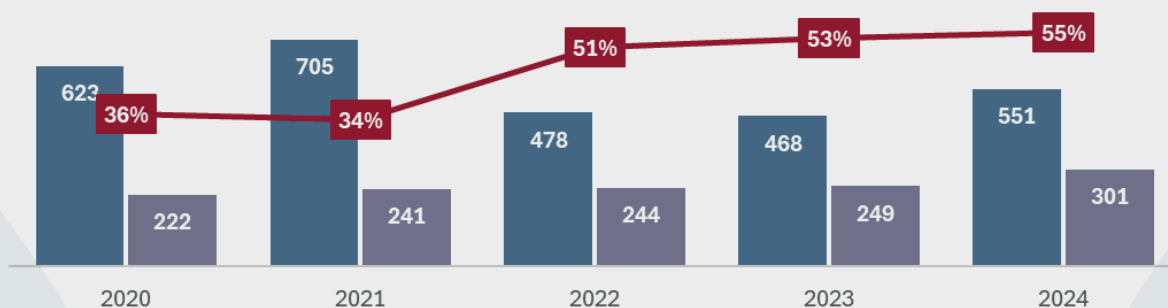
Zarówno w przypadku pacjentów z hemofilią A (ICD-10: D66), jak i B (ICD-10: D67), liczba porad udzielanych w ramach AOS zmniejszyła się w analizowanym okresie. W 2024 roku pacjentom z hemofilią A udzielono łącznie 3 670 porad, z czego 1 567 stanowiły teleporady. Możliwość ich realizacji została wprowadzona w marcu 2020 roku w odpowiedzi na pandemię COVID-19. Dla porównania, pacjentom z hemofilią B świadczone 623 porad w 2019 roku, natomiast w 2024 roku było ich tylko 551. W tym samym czasie systematycznie rósł udział teleporad w ogólnej liczbie świadczeń – w przypadku hemofilii A stanowiły one 37% wszystkich porad w 2020 roku, a w latach 2022-2024 wzrosły do 43%. Podobny trend zaobserwowano u pacjentów z hemofilią B – odsetek teleporad uległ zwiększeniu z 36% w 2020 roku do 55% w roku 2024. Odm inną tendencję zaobserwowano w grupie pacjentów z innymi skazami krwotocznymi (ICD-10: D68), gdzie udział teleporad w świadczeniach AOS zmniejszył się z 27% w 2020 roku do 17% w 2024 roku. [38]

Porady udzielone w ramach AOS z rozpoznaniem skaz krwotocznych

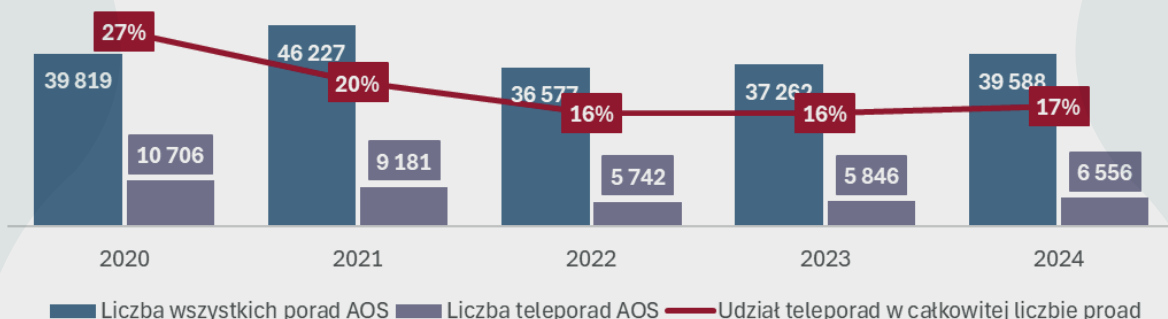
Hemofilia A (ICD-10: D66)



Hemofilia B (ICD-10: D67)



Inne skazy krwotoczne (ICD-10: D68)



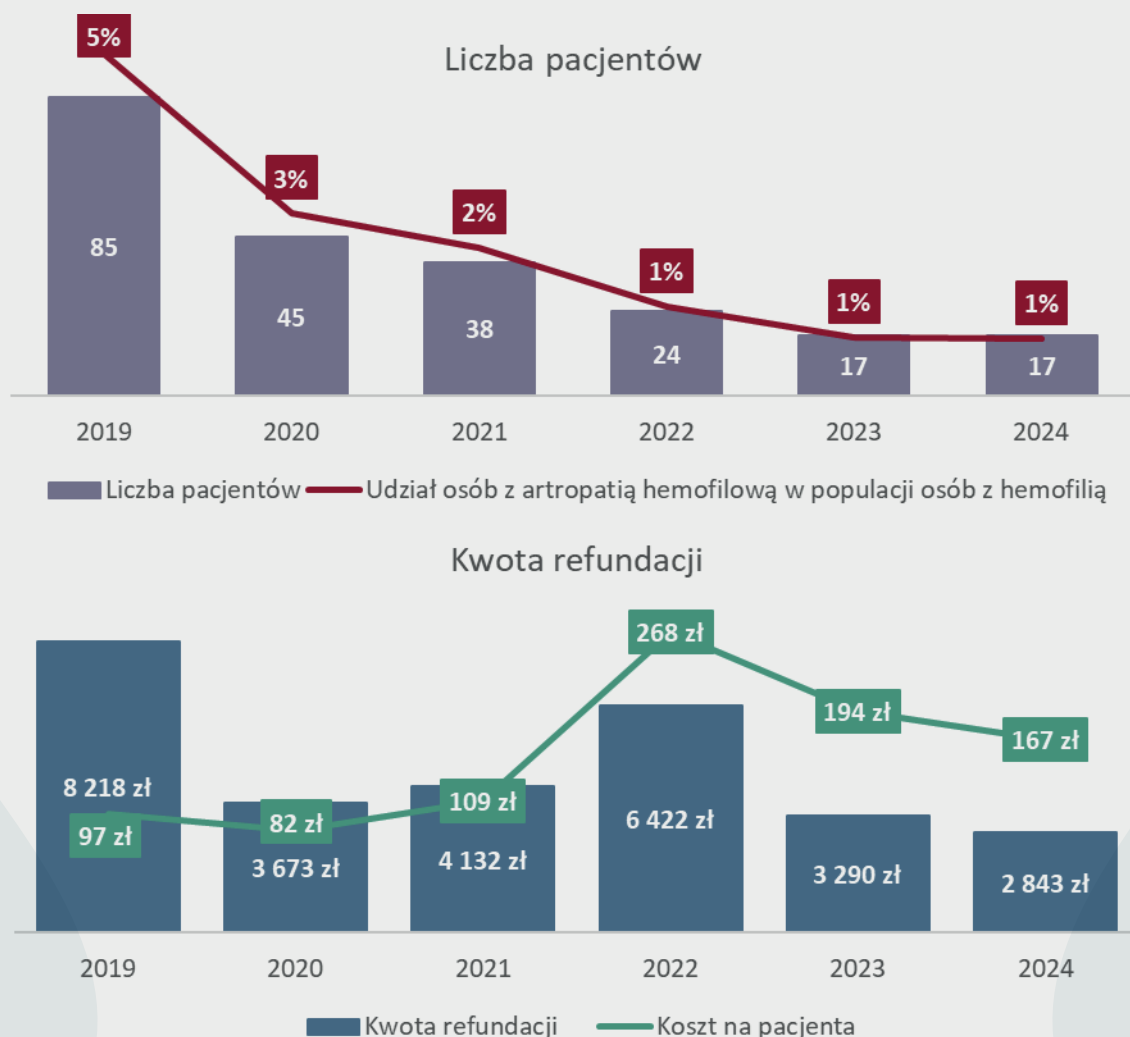
Wykres 4. Liczba porad i teleporad udzielonych w ramach AOS z rozpoznaniem hemofilia A, B oraz pozostałe skazy krwotoczne (ICD-10: D66-D68) w latach 2019-2024 wg BASiW [38]

Wyniki badania przeprowadzonego przez Open Pharma House wśród pacjentów z ciężką postacią hemofilii A bez inhibitora jasno wskazują, że choroba znacząco wpływa na układ ruchu oraz codzienne funkcjonowanie pacjentów, szczególnie dorosłych. Kluczowymi konsekwencjami powtarzających się krwawień do stawów są rozwój artropatii hemofilowej (ICD-10: M36.2), ograniczenia mobilności oraz przewlekły ból. Artropatia hemofilowa – będąca jednym z najpoważniejszych powikłań nawracających wylewów krwi do stawów – występuje: u 8% pacjentów pediatrycznych oraz u aż 90% pacjentów dorosłych [23]. To wskazuje na narastające uszkodzenia stawów wraz z wiekiem i czasem trwania choroby. U 62% dorosłych pacjentów stwierdzono unieruchomienie przynajmniej jednego stawu, a 58% miało tzw. *target joints* (≥ 3 krwawienia do tego samego stawu w ciągu 6 miesięcy), co dodatkowo potwierdza zaawansowanie zmian degeneracyjnych. Dodatkowo, 39% dorosłych

pacjentów (>18 r.ż.) doświadczyło epizodów krwawień zagrażających życiu, co pokazuje, że mimo postępu w leczeniu, ryzyko poważnych powikłań nadal istnieje. Z uwagi na skalę problemu i wpływ artropatii hemofilowej na codzienne funkcjonowanie pacjentów, przeanalizowano również dane dotyczące liczby osób leczonych z tym rozpoznaniem w ramach ambulatoryjnej opieki specjalistycznej, leczenia szpitalnego (szczegóły w rozdz. Leczenie szpitalne) oraz rehabilitacji (szczegóły w rozdz. Rehabilitacja lecznicza). Wyodrębnienie tej grupy umożliwia ocenę dynamiki zachorowań oraz zmian w zakresie opieki nad pacjentami z zaawansowanymi postaciami hemofilii.

W latach 2019-2024 liczba leczonych w ramach AOS pacjentów z rozpoznaniem artropatii hemofilowej zmniejszyła się istotnie – z 85 do 17 osób, co odpowiada pięciokrotnemu spadkowi [37]. W 2024 roku pacjenci leczeni w ramach AOS z rozpoznaniem artropatii hemofilowej stanowili 1% ogółu pacjentów z hemofilią, podczas gdy w 2019 roku odsetek ten wynosił 5% [37]. Zaobserwowany spadek liczby pacjentów z artropatią hemofilową leczonych w AOS może wskazywać na poprawę skuteczności profilaktyki krwawień i ograniczenie powikłań stawowych. Zmiana ta może również wynikać z przesunięcia cięższych przypadków do innych form opieki lub zmian organizacyjnych w systemie raportowania i leczenia [37].

Kwota refundacji świadczeń udzielanych pacjentom z rozpoznaniem M36.2 w latach 2019-2024 wykazywała zmienną tendencję. W 2019 roku wynosiła 8 218 zł, natomiast w kolejnych latach spadała, osiągając najniższy poziom w 2024 roku – 2 843 zł. Spadek ogólnej kwoty refundacji w latach 2019-2024 był prawdopodobnie wynikiem zmniejszającej się liczby pacjentów leczonych z powodu artropatii hemofilowej. Koszt leczenia przypadający na pacjenta był najniższy w latach 2019–2020 (97 zł i 82 zł), po czym nastąpił gwałtowny wzrost w 2022 roku do poziomu 268 zł. W kolejnych latach odnotowano spadek tego kosztu do 167 zł w 2024 roku [37].



Wykres 5. Liczba pacjentów z rozpoznaniem M36.2 leczonych w AOS oraz kwota refundacji udzielanych świadczeń w latach 2019-2024, według danych NFZ [37]

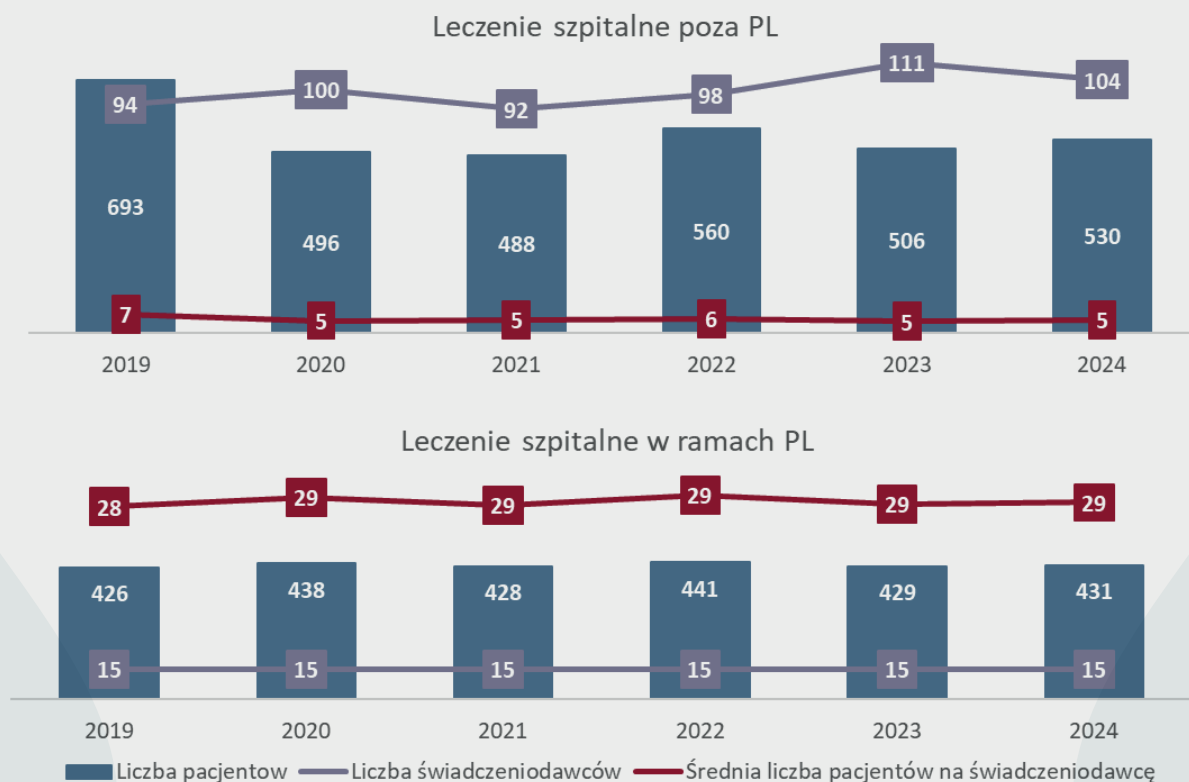
Leczenie szpitalne

Leczenie szpitalne jest niezbędne w przypadku ostrych epizodów krwotocznych, konieczności intensywnej terapii zastępczej czy przeprowadzania zabiegów operacyjnych. Jednym z głównych wyzwań pozostaje jednak zapewnienie pacjentom z hemofilią dostępu do szpitali przygotowanych do prowadzenia leczenia zgodnie z wytycznymi. Choć terapia domowa z użyciem koncentratów czynników krzepnięcia jest w Polsce dobrze rozwinięta i ogólnodostępna, to wciąż zdarzają się sytuacje, w których trudno znaleźć ośrodek mogący bezpiecznie przeprowadzić procedury chirurgiczne u chorego z ciężką postacią hemofilii.

W 2024 roku hospitalizowano 530 pacjentów z rozpoznaniem hemofilii poza programem lekowym B.15 oraz 431 pacjentów w ramach programu lekowego (PL). Najwięcej hospitalizacji pacjentów z hemofilią poza PL odnotowano w 2019 roku – 693 osoby. Średnia liczba pacjentów przypadająca na jednego świadczeniodawcę w latach 2019-2024 utrzymuje się na stabilnym poziomie i wynosi około 5 pacjentów leczonych poza PL oraz około 29 pacjentów leczonych w ramach PL na świadczeniodawcę.

Liczba pacjentów hospitalizowanych w ramach programu lekowego w analizowanym okresie pozostaje stabilna, co wskazuje na stałe zapotrzebowanie na specjalistyczne świadczenia [37].

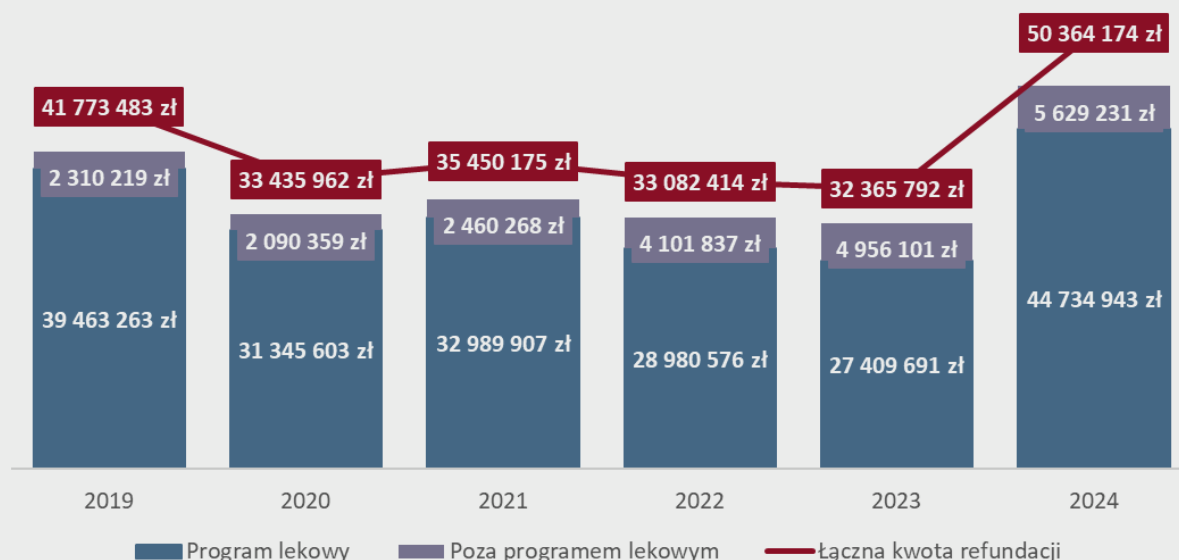
Liczba pacjentów z hemofilią A i B oraz liczba świadczeniodawców w leczeniu szpitalnym



Wykres 6. Liczba pacjentów z hemofilią A i B oraz liczba świadczeniodawców w leczeniu szpitalnym w latach 2019-2024 wg danych NFZ oraz Informatora o umowach NFZ [37]

W analizowanym okresie 2019-2024 kwota refundacji świadczeń udzielanych pacjentom z hemofilią typu A i B w leczeniu szpitalnym wykazuje wyraźne zróżnicowanie, zarówno pod względem wysokości nakładów, jak i ich struktury. Najwyższy poziom refundacji odnotowano w roku 2024, kiedy to łączne środki przeznaczone na świadczenia (zarówno w ramach programu lekowego, jak i poza nim) przekroczyły 50 milionów złotych. Jest to znaczący wzrost w porównaniu do lat poprzednich, szczególnie względem roku 2023, w którym łączna kwota refundacji była najniższa i wyniosła około 32 miliony złotych. Zdecydowaną większość kosztów w każdym roku stanowiły świadczenia realizowane w ramach programu lekowego. W 2024 roku ich wartość osiągnęła najwyższy poziom blisko 45 milionów złotych, co stanowiło ponad 88% całości refundacji. Jednocześnie na przestrzeni analizowanych lat występuje regularne zwiększanie refundacji świadczeń udzielanych poza programem lekowym – od około 2,3 miliona złotych w 2019 roku do ponad 5,6 miliona w roku 2024 [37].

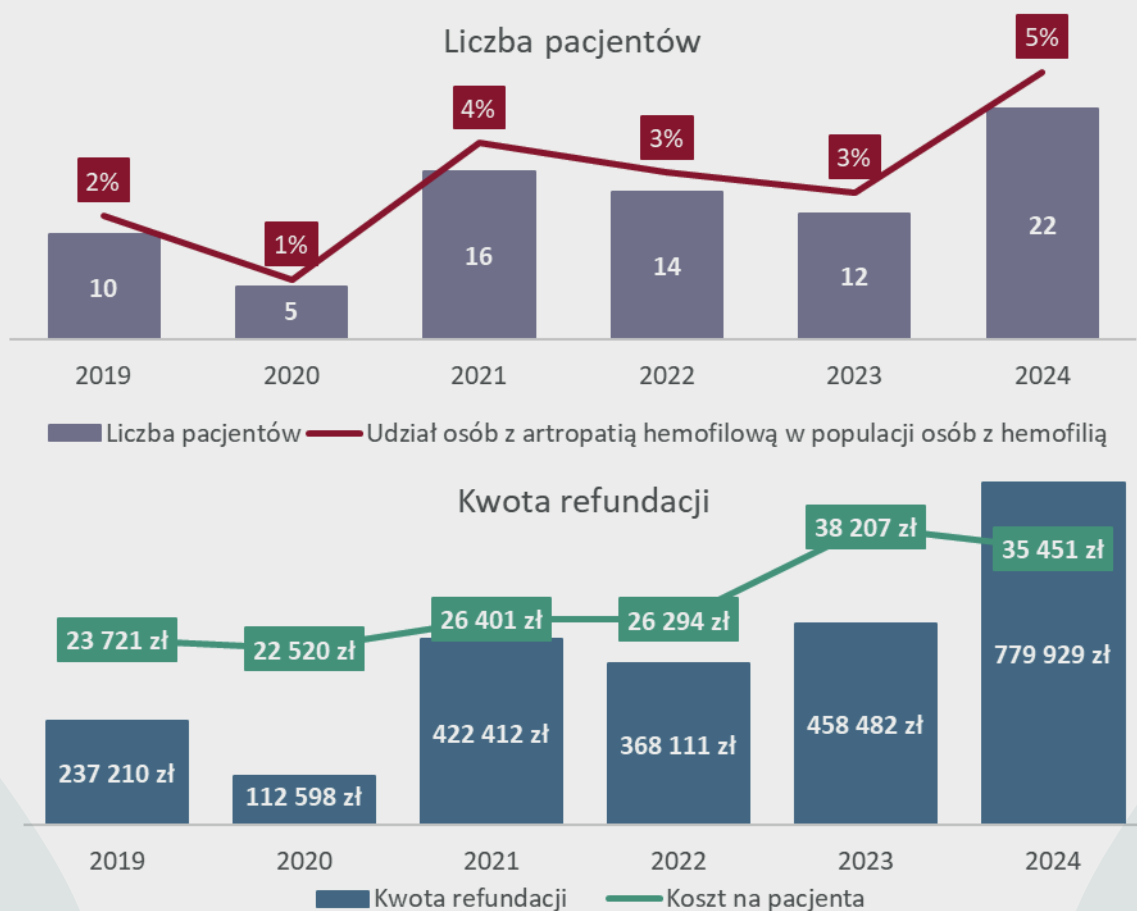
Refundacja i koszt leczenia pacjenta z hemofilią w warunkach szpitalnych



Wykres 7. Refundacja i koszt leczenia pacjenta z hemofilią typu A i B w warunkach szpitalnych w latach 2019-2024 wg danych NFZ [37]

W latach 2019-2024 pacjenci z rozpoznaniem artropatii hemofilowej (ICD-10: M36.2) stanowili od 1% do 5% wszystkich hospitalizowanych z powodu hemofilii. Od 2021 roku obserwowano stopniowy spadek liczby tych pacjentów, z 16 do 12 osób, jednak w 2024 roku nastąpił wyraźny wzrost do 22 przypadków, co najprawdopodobniej wiąże się z ogólnym zwiększeniem populacji chorych na hemofilię [37]. Mimo że stanowią oni niewielki odsetek hospitalizowanych, ich obecność wskazuje na utrzymujące się znaczenie artropatii hemofilowej jako trwałego powikłania wśród pacjentów z hemofilią.

W latach 2019-2024 kwota refundacji związana z leczeniem pacjentów wykazywała istotne wahania, osiągając maksymalną wartość 780 tys. zł w 2024 roku. Najniższy poziom refundacji zanotowano w 2020 roku, a następnie nastąpił wzrost, który utrzymywał się do 2024 roku, kiedy to kwota osiągnęła 780 tys. zł. Koszt leczenia na pacjenta również ulegał zmianom, z najniższą wartością 23 tys. zł w 2020 roku i najwyższą 38 tys. zł w 2023 roku, a w 2024 roku koszt ten wyniósł 35 tys. [37]. Wahania kwoty refundacji w latach 2019-2024 częściowo wynikają ze zmian w wielkości populacji leczonych pacjentów.



Wykres 8. Liczba pacjentów z rozpoznaniem M36.2 leczonych w warunkach szpitalnych oraz kwota refundacji udzielanych świadczeń w latach 2019-2024, według danych NFZ [37]

Rehabilitacja lecznicza

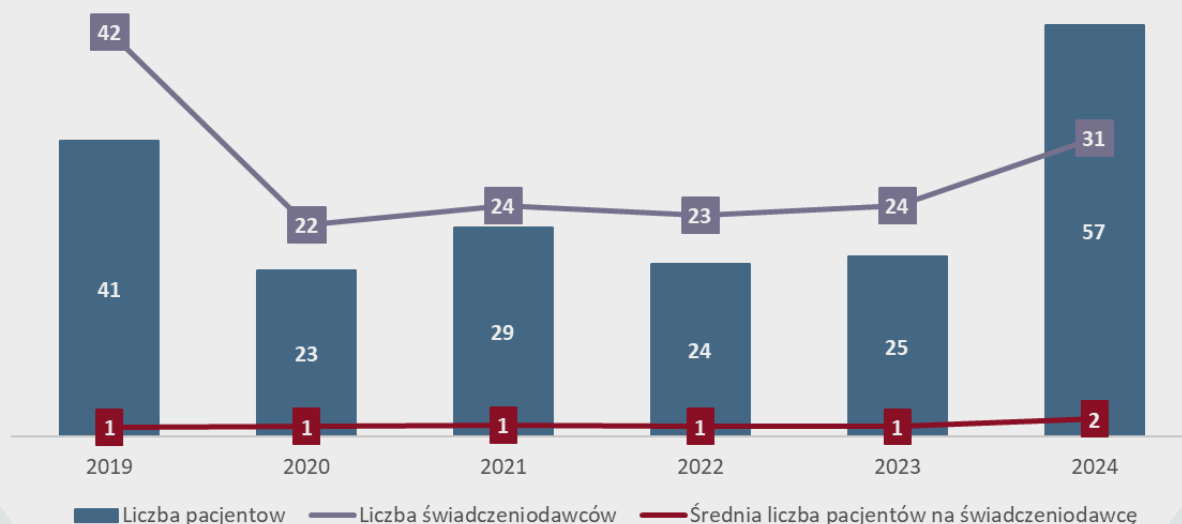
Hemofilia, jako przewlekła choroba krwotoczna o podłożu genetycznym, wiąże się nie tylko z ryzykiem krwawień, ale również z powikłaniami narządu ruchu, szczególnie w postaci artropatii hemofilowej. Nawrotowe wylewy krwi do stawów prowadzą z czasem do trwałych uszkodzeń chrząstki stawowej, deformacji, ograniczeń ruchomości, a także przewlekłego bólu. W związku z tym integralnym elementem kompleksowej opieki nad pacjentem z hemofilią – obok leczenia farmakologicznego – jest rehabilitacja lecznicza.

Celem rehabilitacji w tej grupie pacjentów jest nie tylko przywracanie sprawności ruchowej po epizodach krwawień, ale również zapobieganie wtórnym powikłaniom, utrzymanie samodzielności i poprawa jakości życia. Programy rehabilitacyjne muszą być indywidualnie dostosowane, z uwzględnieniem specyfiki choroby, wieku pacjenta, stopnia zaawansowania zmian stawowych oraz ogólnego stanu zdrowia.

Zauważalny jest wyraźny wzrost liczby pacjentów z hemofilią korzystających z rehabilitacji leczniczej w 2024 roku – w porównaniu do roku poprzedniego liczba ta zwiększyła się o ponad 50% (57 pacjentów). Natomiast w latach 2020-2023 liczba pacjentów utrzymywała się na zbliżonym poziomie, wynoszącym od 23 do 29 osób rocznie. W 2024 roku wzrosła także liczba świadczeniodawców udzielających rehabilitacji pacjentom z hemofilią, choć nadal jest ona niższa niż

w 2019 roku (42 świadczeniodawców) [37]. W latach 2019-2023 średnio na jednego świadczeniodawcę przypadał jeden pacjent, natomiast w 2024 roku liczba ta osiągnęła poziom dwóch pacjentów na świadczeniodawcę.

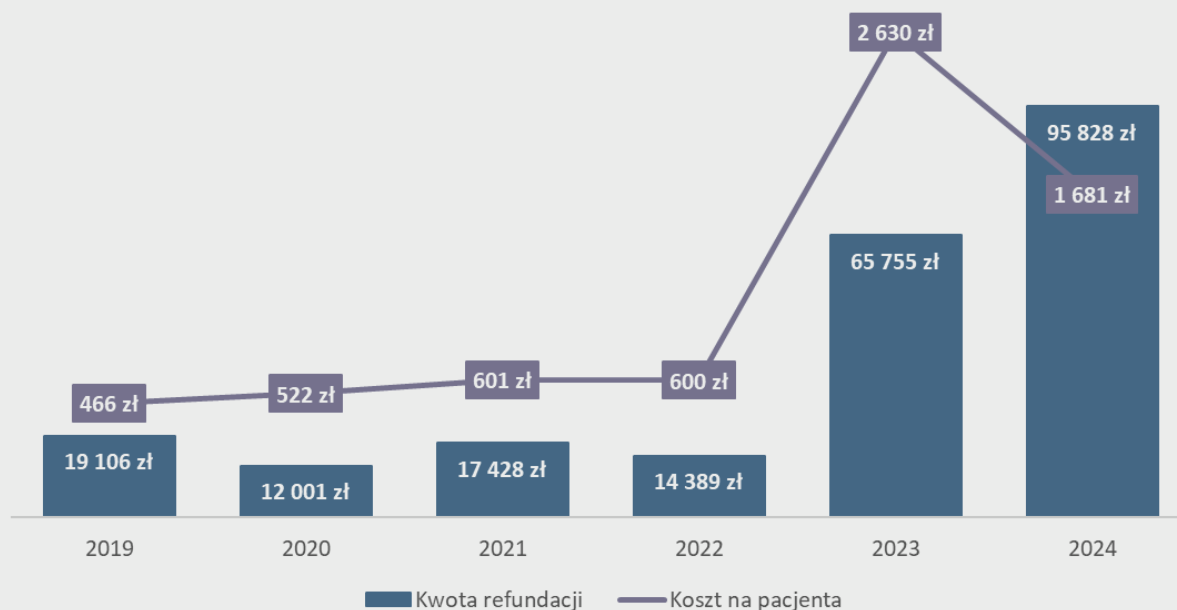
Liczba pacjentów z hemofilią A i B oraz liczba świadczeniodawców udzielających rehabilitację leczniczą



Wykres 9. Liczba pacjentów z hemofilią A i B oraz liczba świadczeniodawców w udzielających rehabilitację leczniczą w latach 2019-2024 wg danych NFZ [37]

W latach 2019-2022 koszty rehabilitacji leczniczej pacjentów z hemofilią pozostawały na względnie stabilnym poziomie, wahając się od 466 zł do 601 zł na pacjenta rocznie. Również kwoty refundacji w tym okresie nie wykazywały istotnych zmian i oscylowały wokół kilkunastu tysięcy złotych rocznie. Jednak w 2023 roku nastąpił gwałtowny wzrost zarówno kosztu na pacjenta, jak i całkowitej kwoty refundacji. Koszt jednostkowy wyniósł wówczas 2 630 zł, co stanowiło ponad czterokrotność wartości z roku poprzedniego, natomiast kwota refundacji osiągnęła wartość 65 755 zł. W 2024 roku obserwujemy dalsze zwiększanie kwoty refundacji do poziomu 95 828 zł, jednak koszt na pacjenta spadł do 1 681 zł [37]. Dane te pokazują dynamiczne zmiany w organizacji i finansowaniu rehabilitacji pacjentów z hemofilią, szczególnie widoczne od roku 2023.

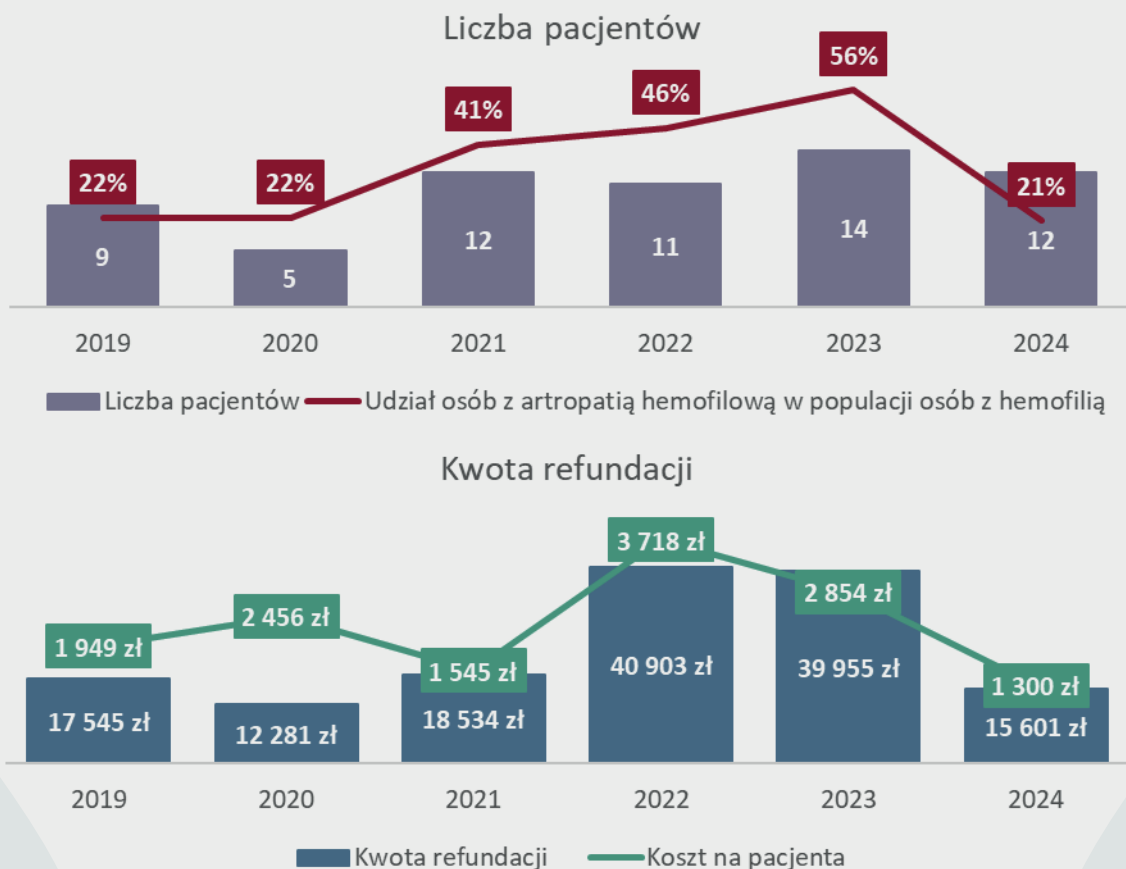
Refundacja i koszty rehabilitacji leczniczej pacjentów z hemofilią A i B



Wykres 10. Refundacja i koszt rehabilitacji leczniczej pacjenta z hemofilią typu A i B w latach 2019-2024 wg danych NFZ [37]

W latach 2019-2024 liczba pacjentów z artropatią hemofilową objętych rehabilitacją wahała się od 5 do 14 osób rocznie. Udział tej grupy w populacji chorych na hemofilię wzrastał z około 22% w latach 2019-2020 do 56% w 2023 roku, by w 2024 roku spaść do 21% [37].

Koszty rehabilitacji pacjentów z artropatią hemofilową w latach 2019–2024 wykazywały zmienną dynamikę, osiągając szczyt w 2022 roku (41 tys. zł), a następnie spadając do 16 tys. zł w 2024 roku. Koszty jednostkowe zmieniały się w zależności od wysokości refundacji, z wyjątkiem 2020 roku, kiedy koszt na pacjenta wyniósł 2,5 tys. zł, a kwota refundacji była najniższa w całym analizowanym okresie [37]. Dane te ilustrują dynamiczne zmiany w organizacji i finansowaniu rehabilitacji pacjentów z artropatią hemofilową.



Wykres 11. Liczba pacjentów z rozpoznaniem M36.2 otrzymujących rehabilitację leczniczą oraz kwota refundacji udzielanych świadczeń w latach 2019-2024, według danych NFZ [37]

Program lekowy B.15

Zmiany w realizacji programu w latach 2019-2024



Liczba pacjentów

426 → 431
(max: 441 w 2019 r.)

Liczba świadczeniodawców

15
(cały okres)



Średnie obciążenie ośrodków

27
(max: 28 w 2019 r.)

Realizacja programu w poszczególnych województwach w 2024 r.



Liczba pacjentów

Średnia: 26
Max: 72 (mazowieckie)
Min: 0 (opolskie)



Liczba świadczeniodawców

Średnia: 1
Max: 1 (wszystkie oprócz opolskiego)
Min: 0 (opolskie)



Średnie obciążenie ośrodków

Średnia: 27,9
Max: 72 (mazowieckie)
Min: 6 (lubuskie)



Odsetek pacjentów spoza województwa

Średnia: 8,0%
Max: 33% (dolnośląskie)
Min: 0% (warmiński-mazurskie, podkarpackie, lubuskie, kujawsko-pomorskie)



Wyższy odsetek pacjentów spoza województwa wiąże się z większym obciążeniem ośrodków.

Dostępność terytorialna programu w 2023 r.



Odległość gminy od najbliższej komórki

Średnia: 74,7 km
Max: 184,2 km



Czas dojazdu do najbliższej komórki

Średnia: 75,82 minut
Max: 184 minuty

Leki dostępne w programie w 2024 r.

Dostępne formy leków w 2024 r.

Czynnik VIII rekombinowany: 4 substancje, 332 pacjentów
Czynnik IX osoczopochodny: 1 substancja, 18 pacjentów
Czynnik IX rekombinowany: 4 substancje, 44 pacjentów
Emicizumab: 1 substancja, 36 pacjentów

Świadczenia udzielane w ramach programu w 2024 r.



Średnia kwota świadczeń na pacjenta

Średnia: 1,3 tys. zł
Min: 0 zł (warunki domowe)
Max: 6,1 tys. zł (diagnostyka)

Udział leczenia w warunkach domowych:
69,2%

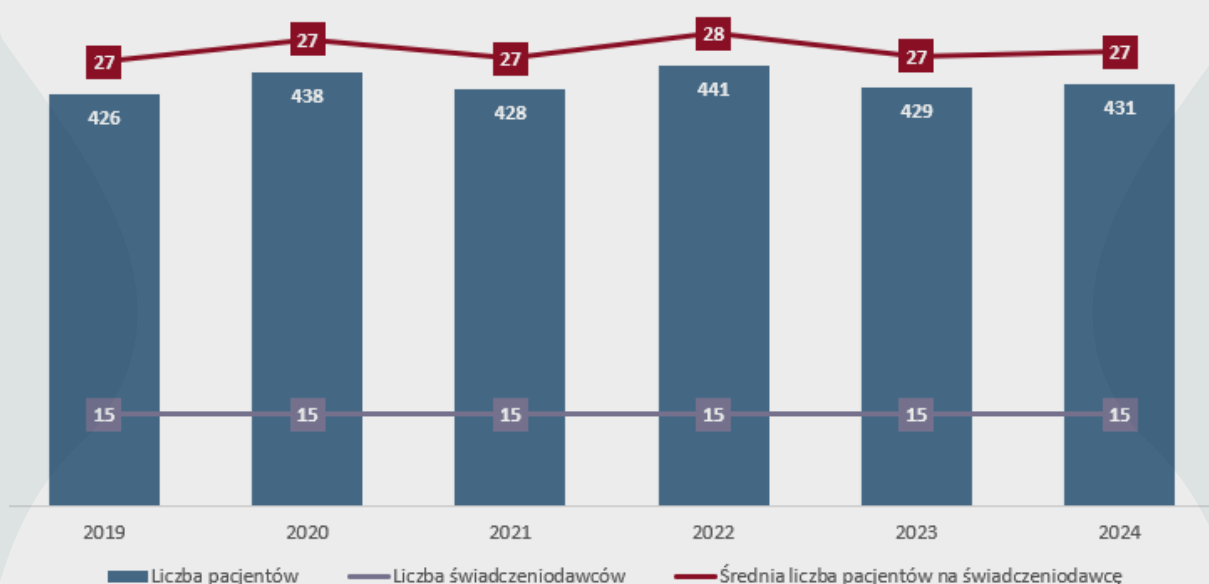
Rysunek 12. Podsumowanie: Program lekowy B.15

Po omówieniu sposobów organizacji opieki nad chorymi z hemofilią w ramach różnych rodzajów świadczeń zdrowotnych, kluczowym aspektem staje się dostęp do nowoczesnych terapii refundowanych w Polsce. Jednym z filarów systemu leczenia hemofilii jest dedykowany program

lekowy B.15, który reguluje zasady stosowania leków hemostatycznych w ramach finansowania ze środków publicznych. Program lekowy B.15 funkcjonuje od 2008 roku pod nazwą „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B” i finansowany jest przez Narodowy Fundusz Zdrowia. Zgodnie z Obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 17 września 2025 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 października 2025 r. [46], w ramach programu lekowego B.15 w profilaktyce pierwotnej i wtórnej krwawień u dzieci z hemofilią refundowane są następujące substancje czynne:

- w leczeniu hemofilii A: czynnik VIII osoczopochodny, czynnik VIII rekombinowany, czynnik VIII rekombinowany o przedłużonym działaniu oraz emicizumab,
- w leczeniu hemofilii B: czynnik IX osoczopochodny, czynnik IX rekombinowany oraz czynnik IX rekombinowany o przedłużonym działaniu.

W niniejszym raporcie przeanalizowano najnowsze dostępne dane dotyczące realizacji Programu lekowego B.15, przekazane przez Narodowy Fundusz Zdrowia. W sytuacjach, gdy dane z NFZ nie obejmowały wszystkich wymaganych informacji, uzupełniono je danymi z systemu BASiW.



Wykres 12. Liczba pacjentów i świadczeniodawców w programie lekowym B.15 w latach 2019-2024 wg danych NFZ [37]

W latach 2019-2024 liczba pacjentów objętych PL B.15 pozostawała na względnie stabilnym poziomie, mieszcząc się w przedziale od 426 do 441 osób rocznie. Największą liczbę pacjentów odnotowano w 2022 roku (441), natomiast najmniejszą w 2019 roku (426) [37]. W analizowanym okresie liczba świadczeniodawców realizujących program była stała i wynosiła 15 rocznie. Przełożyło się to na niewielkie wahania średniej liczby pacjentów przypadających na jednego świadczeniodawcę — wskaźnik ten utrzymywał się na poziomie 27 przez większość lat, osiągając wartość 28 jedynie w 2022 roku.

Realizacja PL B.15. w poszczególnych województwach

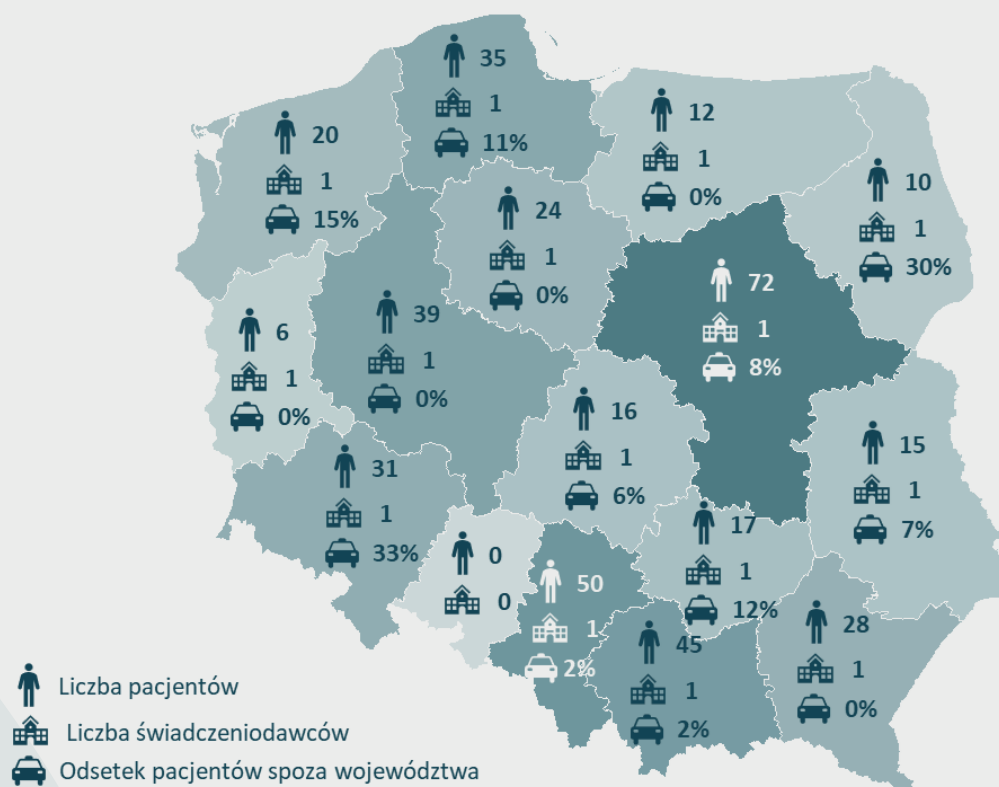
W 2024 roku program lekowy B.15 był realizowany przez 15 świadczeniodawców, obejmujących niemal wszystkie województwa w Polsce. Jedynym wyjątkiem było województwo opolskie, w którym nie zakontraktowano żadnego ośrodka prowadzącego program. W pozostałych regionach działał po jednym świadczeniodawcy.

Najwięcej pacjentów objętych leczeniem odnotowano w województwach: mazowieckim (72 pacjentów), śląskim (50 pacjentów) oraz małopolskim (45 pacjentów). Najmniejszą liczbę chorych – zaledwie 6 – leczono w województwie lubuskim [39].

Zwraca uwagę znaczne zróżnicowanie w liczbie pacjentów przypadających na jednego świadczeniodawcę. W województwie mazowieckim średnie obciążenie ośrodka było niemal trzykrotnie wyższe (72 pacjentów na 1 świadczeniodawcę) niż średnia krajowa (27,9 pacjentów na 1 świadczeniodawcę), co może prowadzić do ryzyka przeciążenia personelu i potencjalnego wpływu na jakość opieki. Jednocześnie w niektórych regionach, takich jak województwo lubuskie, obciążenie to było minimalne (6 pacjentów na świadczeniodawcę), co rodzi pytania o efektywność wykorzystania zasobów.

Okolo 8% pacjentów było leczonych poza miejscem zamieszkania, przy czym w województwach podlaskim i dolnośląskim odsetek ten wyniósł odpowiednio 30% i 33%. Może to świadczyć o ograniczonej lokalnej dostępności świadczeń lub o preferencjach pacjentów związanych z jakością opieki w innych ośrodkach.

Zgromadzone dane wskazują na potrzebę przeanalizowania i ewentualnej optymalizacji geograficznego rozmieszczenia ośrodków realizujących program B.15, tak aby lepiej odpowiadać na rzeczywiste potrzeby pacjentów oraz zrównoważyć obciążenie świadczeniodawców w skali kraju.



Warto podkreślić, że przedstawione wartości dotyczą jedynie odległości lub czasu dojazdu do najbliższej jednostki realizującej program B.15. Analiza programu według województw wskazuje, że część pacjentów korzysta z leczenia poza swoim województwem. W związku z tym, rzeczywiste trasy pokonywane przez pacjentów mogą być znacząco dłuższe.

Dostępność terytorialna PL B.15 w 2023 roku

Rozmieszczenie komórek realizujących PL B.15



<https://basiw.mz.gov.pl/mapy-informacje/mapa-2022-2026/analizy/leczenie-szpitalne/>



Odległość gminy od najbliższej komórki realizującej PL B.15

Średnia

74,7 km

Maksymalna

184,2 km



Czas dojazdu samochodem z gminy do najbliższej komórki realizującej PL B.15

Średni

75,82 minut

Maksymalny

184 minuty

Rysunek 13. Dostępność terytorialna programu lekowego B.15 w 2023 roku wg BASiW [40]

Leki w programie lekowym

Według obwieszczenia Ministra Zdrowia z 17 września 2025 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 października 2025 r., w ramach programu lekowego B.15 refundowanych jest łącznie 12 substancji czynnych [46].

Pacjenci z hemofilią A leczeni są następującymi preparatami:

- czynnik VIII osoczopochodny: Beriate, Immunate, Octanate (ludzki VIII czynnik krzepnięcia),
- czynnik VIII rekombinowany: ReFacto AF (moroktokog alfa), Advate (oktokog alfa),
- czynnik VIII rekombinowany o przedłużonym działaniu: Elocta (eftrenonakog alfa), Adynovi (rurioktokog alfa pegol),
- czynnik VIII rekombinowany o ultra przedłużonym działaniu: Altuvect (efanezoktokog alfa),
- od lipca 2024 roku program leczenia hemofilii został poszerzony o emicizumab (Hemlibra) – pierwszy nieczynnikowy lek podawany podskórnie, który stanowi przełom w profilaktyce u pacjentów z ciężką postacią hemofilii A; od października 2025 roku emicizumab jest również dostępny dla dzieci z umiarkowaną hemofilią A o ciężkim fenotypie krwotocznym, po spełnieniu kryterium dotyczącego liczby krwawień w ciągu roku.

Pacjenci z hemofilią B mają dostęp do następujących leków:

- czynnik IX osoczopochodny: Immunine, Octanine (ludzki IX czynnik krzepnięcia),
- czynnik IX rekombinowany: BeneFIX (nonakog alfa),
- czynnik IX rekombinowany o przedłużonym działaniu: Alprolix (efmoroktokog alfa).

Leki dostępne w PL B.15 w 2025 roku



DOŻYLNIE

Hemofilia A

- czynnik VIII osoczopochodny (Beriate, Immunate, Octanate)
- czynnik VIII rekombinowany (ReFacto AF, Advate)
- czynnik VIII rekombinowany o przedłużonym działaniu (Elocta, Adynovi)
- czynnik VIII rekombinowany o ultra przedłużonym działaniu (Altuvect)

Hemofilia B

- czynnik IX osoczopochodny (Immunine, Octanine)
- czynnik IX rekombinowany (BeneFIX)
- czynnik IX rekombinowany o przedłużonym działaniu (Alprolix)



PODSKÓRNE

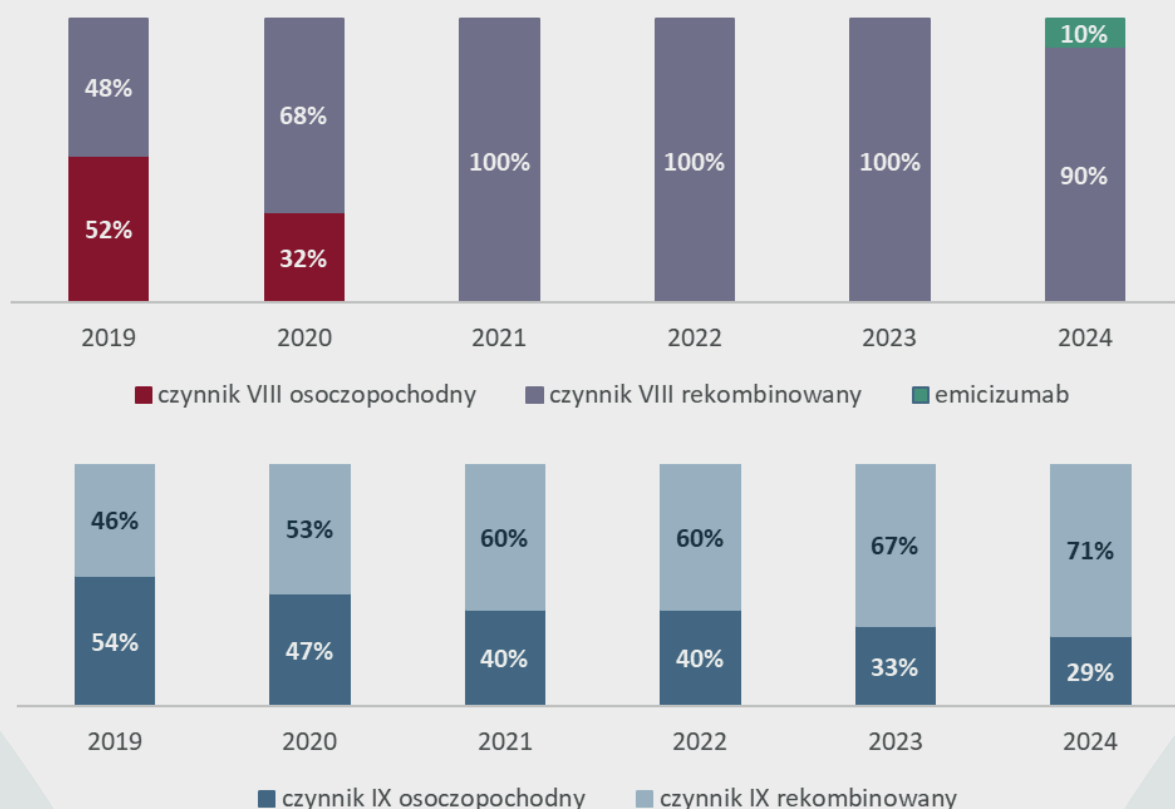
Hemofilia A

Od 1 lipca 2024 roku:

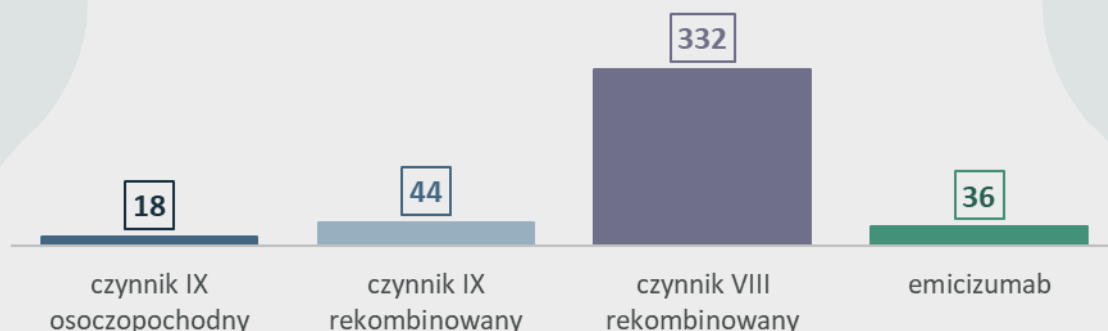
- emicizumab (Hemlibra)

Rysunek 14. Leki refundowane w ramach programu lekowego B.15. wg Obwieszczenia Ministra Zdrowia [46]

Od 2021 roku wszyscy chorzy na hemofilię A w Polsce otrzymują czynniki krzepnięcia wyłącznie pochodzenia rekombinowanego – całkowicie zrezygnowano ze stosowania preparatów osoczopochodnych. Dla porównania, jeszcze w 2019 roku ponad połowa pacjentów była leczona czynnikami osoczopochodnymi, a w 2020 roku – 32% [39]. Podobna tendencja dotyczy pacjentów z hemofilią B – w latach 2019-2024 udział osób leczonych preparatami osoczopochodnymi zmniejszył się z 54% do 29% na rzecz terapii rekombinowanych. W 2024 roku zdecydowana większość pacjentów objętych leczeniem w programie B.15 otrzymywała czynnik VIII – było to 332 osoby [39], 36 osób z hemofilią A - emicizumab. Czynnik IX stosowało 62 chorych, co potwierdza, że dominującą grupę stanowili pacjenci z hemofilią A. Łącznie terapią objęto 430 osób, podczas gdy zgodnie z rejestrami 431 kwalifikowało się do leczenia – oznacza to, że 1 chory nie otrzymał leczenia w danym roku [39]. Od 1 października 2025 roku w ramach programu PL B.15 wprowadzono lek Altuvect, który został objęty refundacją i jest dostępny dla dzieci z hemofilią A. Dzięki przedłużonemu działaniu Altuvect pozwala na rzadsze podawanie – tylko raz w tygodniu – co oznacza mniej wkłuć i większą wygodę dla pacjentów, a tym samym poprawę jakości życia. W tym samym obwieszczeniu rozszerzono również wskazania do stosowania leku Hemlibra. Od 1 października 2025 r. z terapii będą mogli korzystać pacjenci z ciężką postacią hemofilii A niepowikłanej inhibitorem do ukończenia 18. roku życia, bez konieczności spełniania dodatkowych kryteriów. W przypadku umiarkowanej hemofilii A niepowikłanej inhibitorem z ciężkim fenotypem krwotocznym, leczenie będzie dostępne po spełnieniu kryterium dotyczącego liczby krwawień w ciągu roku.



Wykres 14. Zmiana struktury leczenia hemofilii A i B: udział czynników osoczopochodnych w latach 2019-2024 wg BASiW [39]



Wykres 15. Liczba pacjentów z hemofilią leczonych w Polsce w ramach programu B.15 według rodzaju otrzymywanego czynnika krzepnięcia w 2024 roku wg BASiW [39]

Mimo coraz szerszego stosowania nowocześniejszych leków, dzieci chore na hemofilię w Polsce przez długi czas nie miały realnego dostępu do preparatów o przedłużonym działaniu, mimo że figurowały one w oficjalnym wykazie refundacyjnym. Problem ten wynikał głównie ze sposobu konstruowania przetargów publicznych – brakowało w nich mechanizmów uwzględniających specyfikę nowoczesnych terapii. Produkty długodziałające konkurowały na równych zasadach z tradycyjnymi preparatami, co w praktyce ograniczało ich dostępność. Obowiązujący system przetargowy dodatkowo utrudniał elastyczne dostosowanie terapii do indywidualnych potrzeb pacjenta – trudno było precyzyjnie określić zapotrzebowanie na poszczególne czynniki i zakupić je w sposób efektywny. W efekcie najmłodszy pacjenci byli zobowiązani do częstszego dożylnego podawania leków – do dwóch lub trzech razy

w tygodniu – w porównaniu z terapiami o wydłużonym okresie półtrwania, w których liczba podań mogła ograniczać się do jednego lub dwóch tygodniowo. Choć różnica ta może wydawać się nieznaczna w ujęciu tygodniowym, w skali roku oznacza to istotny wzrost liczby podań – przykładowo z około 50 do nawet 150 – co może przekładać się na zwiększone obciążenie zarówno dla pacjenta, jak i jego opiekunów. Przełom nastąpił dopiero w 2024 roku, kiedy to zmieniono zasady finansowania leczenia – zamiast kupowania jednostek czynnika, wprowadzono zakup terapii miesięcznych, co otworzyło nowe możliwości stosowania preparatów o przedłużonym działaniu. To krok w dobrą stronę, jednak wciąż istnieje potrzeba dalszego dostosowania procedur przetargowych, by zapewnić szerszy, bardziej zindywidualizowany dostęp do nowoczesnych metod leczenia.

Kolejnym ważnym wydarzeniem było wprowadzenie z dniem 1 lipca 2024 r. refundacji podskórnej profilaktyki krwawień dla dzieci i młodzieży z ciężką postacią hemofilii. Ta forma leczenia znacząco poprawiła komfort życia pacjentów, ponieważ umożliwiła rzadsze podawanie leku w sposób mniej inwazyjny. Z terapii mogła korzystać jedynie ograniczona liczba dzieci spełniających rygorystyczne kryteria kwalifikacyjne. Kontynuacją tego kierunku zmian było, z dniem 1 października 2025 r., rozszerzenie wskazań dla emicizumabu oraz wprowadzenie leku o ultra wydłużonym czasie działania, co stanowiło kolejny istotny etap w rozwoju terapii hemofilii A, przyczyniając się do zwiększenia skuteczności leczenia i poprawy komfortu pacjentów.

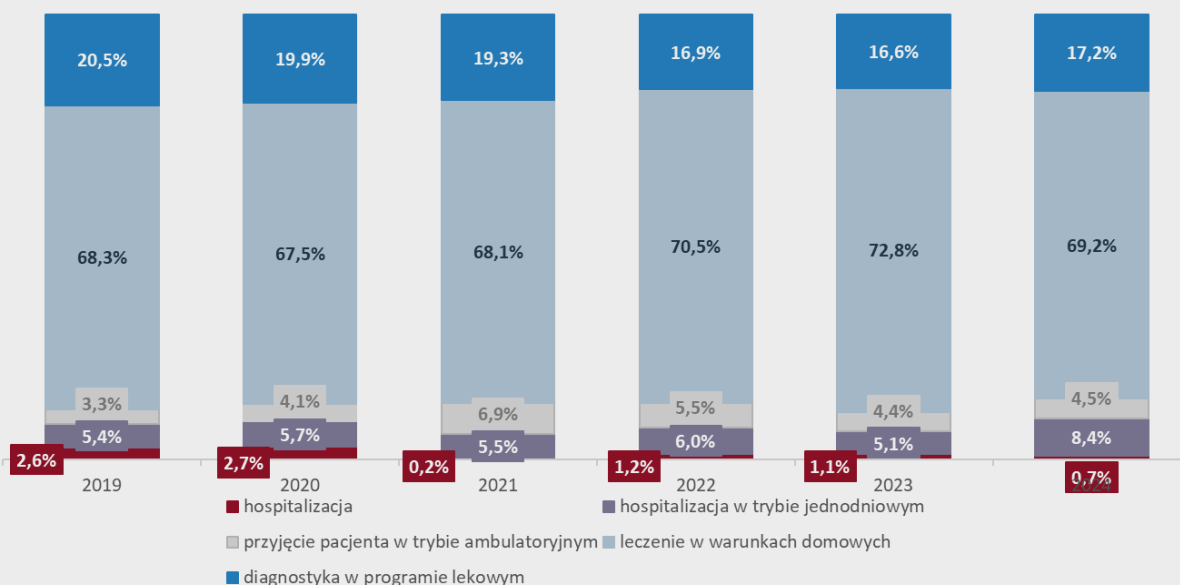
Mimo wyraźnego postępu w leczeniu hemofilii w Polsce, nadal istnieje pilna potrzeba kompleksowych działań, które zapewnią wszystkim dzieciom dostęp do skuteczniejszych, mniej uciążliwych i bardziej dostosowanych do ich potrzeb terapii, znacząco poprawiających jakość życia.

Świadczenia udzielane w ramach programu lekowego

Świadczenia udzielane w ramach programu lekowego B15 obejmują: przyjęcie pacjenta w trybie ambulatoryjnym, hospitalizację, hospitalizację w trybie jednodniowym, leczenie w warunkach domowych a także diagnostykę.

W latach 2019-2024 zauważalna jest zmiana w strukturze udzielanych świadczeń medycznych w ramach programu lekowego. Największy udział w tym okresie miało leczenie w warunkach domowych, którego udział systematycznie wzrastał – z 68,3% w 2019 roku do 72,8% w roku 2023, w 2024 nastąpił niewielki spadek do 69,2%. Jednocześnie w latach 2019-2024 zaobserwowano spadek udziału hospitalizacji w trybie stacjonarnym (z 2,6% do 1,7%). Warto również zwrócić uwagę na diagnostykę w programie lekowym, której udział w ogólnej liczbie świadczeń stopniowo malał z 20,5% w 2019 roku do 16,6% w 2023 roku, następnie znacznie wzrósł do 17,2% [39].

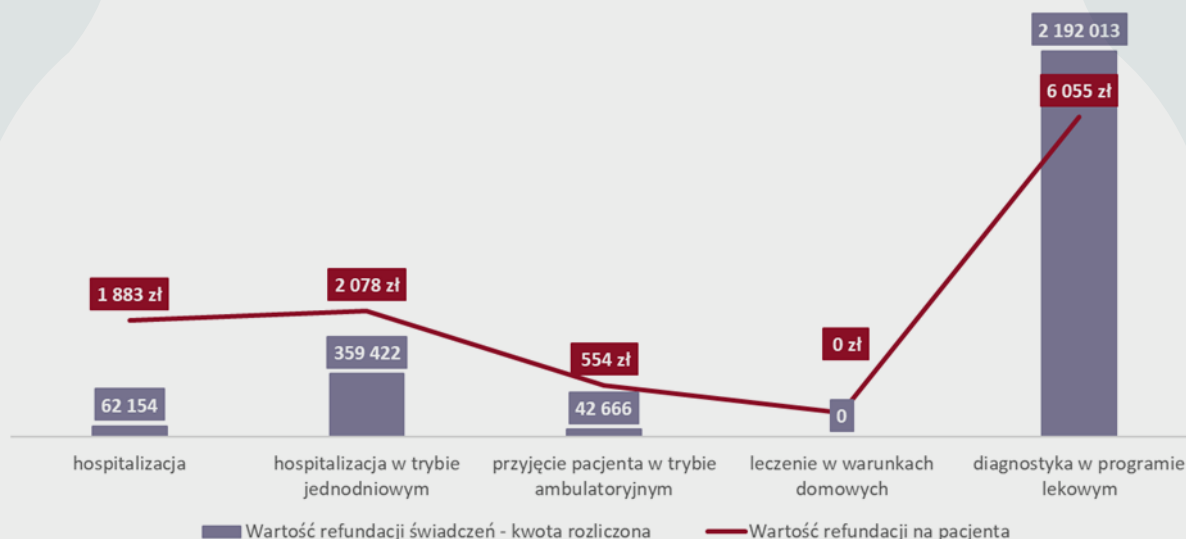
Świadczenia udzielane w ramach PL B.15



Wykres 16. Świadczenia udzielane w ramach PL B.15 w latach 2019-2024 wg danych BASiW [39]

W 2024 roku najwyższy koszt refundacji przypadający na jednego pacjenta dotyczył diagnostyki w programie lekowym – aż 6 055 zł na pacjenta, przy całkowitej kwocie refundacji wynoszącej 2,2 mln zł [39]. Dla porównania, hospitalizacja generowała koszt na poziomie 1 883 zł na pacjenta, a leczenie w warunkach domowych – 0 zł, co potwierdza opłacalność i rosnącą popularność tej formy opieki.

Refundacja poszczególnych świadczeń udzielanych w ramach PL B.15 w 2023 roku



Wykres 17. Refundacja poszczególnych świadczeń udzielanych w ramach PL B.15 w 2024 roku wg danych BASiW [39]

Dane wskazują na wyraźny trend przenoszenia opieki nad pacjentem do środowiska domowego, co jest korzystne zarówno z punktu widzenia efektywności kosztowej, jak i komfortu pacjenta.

Jednocześnie, mimo niższego udziału diagnostyki w ogólnej liczbie świadczeń, pozostaje ona obszarem generującym największe koszty jednostkowe.

Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne

Realizacja Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne



Roczna liczba pacjentów

od 4 500 do 6 000
(2021 – 2023)



Liczba świadczeniodawców

28
(2023 r.)

Rozmieszczenie ośrodków leczenia hemofilii



Braki w strukturze sieci ośrodków leczenia hemofilii wskazują na konieczność rozszerzenia programu o nowe ośrodki w regionach dotychczas nieobjętych lub objętych w sposób niewystarczający

Mniejsza przejrzystość procesu refundacyjnego w porównaniu do PL B.15

Pacjenci z ciężką hemofilią A bez inhibitora w latach 2019 – 2023



Roczna liczba pacjentów

Około 1 000

85% była leczona z wykorzystaniem osoczopochodnych koncentratów czynnika krzepnięcia VIII



Leczenie domowe

91% pacjentów
(2023 r.)



Roczne wydatki na koncentraty czynnika VIII

od 49 mln zł do 96 mln zł
(2019 - 2023)

Rysunek 15. Podsumowanie: Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne

Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne (NPLH) to wieloletni program polityki zdrowotnej, finansowany ze środków publicznych. Do końca 2024 roku był realizowany ze środków pozostających w dyspozycji Ministra Zdrowia, natomiast od 2025 roku jego finansowanie przejął Narodowy Fundusz Zdrowia. Głównym celem programu jest poprawa jakości oraz długości życia pacjentów cierpiących na rzadkie, wrodzone i nabyte zaburzenia krzepnięcia krwi. Program zapewnia kompleksową opiekę medyczną, obejmującą m.in. dostęp do niezbędnych produktów leczniczych, systematycznej profilaktyki, a także działania edukacyjne i wsparcie psychologiczne. Program funkcjonuje nieprzerwanie od 2005 roku, a jego obecna edycja, zaplanowana na lata 2024-2028, stanowi kontynuację oraz rozwinięcie działań realizowanych w latach 2019-2023.

Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne zapewnia pacjentom:

- dostęp do koncentratów czynników krzepnięcia (VIII, IX i innych),
- profilaktykę krwawień (zwłaszcza u dzieci z ciężką hemofilią),

- nowoczesne terapie biologiczne (np. Hemlibra (emicizumab) – przewidziany jest wyłącznie dla pacjentów z hemofilią A powikłaną inhibitorem),
- leczenie na żądanie (w przypadku wystąpienia krwawienia),
- dostawy domowe leków i osprzętu medycznego,
- wsparcie psychologiczne, rehabilitację, edukację pacjentów i ich rodzin [41].

W odróżnieniu od programu lekowego PL B.15, program ten posiada szersze kryteria kwalifikacyjne i obejmuje większą grupę chorych na różne typy skaz krwotocznych, zarówno wrodzonych, jak i nabytych. Co istotne, dotyczy on zarówno dzieci, jak i dorosłych pacjentów, co stanowi jedną z kluczowych różnic w stosunku do programu lekowego.

Programem objęte są osoby chorujące m.in. na:

- hemofilię A i B – w przypadku dzieci wyłącznie z postacią powikłaną inhibitorem; u dorosłych zarówno z inhibitorem, jak i bez inhibitora,
- nabytą hemofilię A,
- zespół von Willebranda (w tym nabyty),
- niedobory czynników krzepnięcia (V, VII, X, XI, XIII),
- złożone niedobory czynników krzepnięcia,
- obecność inhibitorów przeciwko czynnikom krzepnięcia (allo- i autoprzeciwciała),
- trombastenia Glanzmanna, zespół Bernarda-Souliera, inne trombocytopatie,
- nosicielki hemofilii A i B z graniczną aktywnością czynników krzepnięcia i wywiadem krwotocznym,
- osoby z graniczną aktywnością czynnika von Willebranda i dodatnim wywiadem krwotocznym [41].

W Programie szacowano, że do końca 2023 r. wsparciem zostanie objętych około 6 000 pacjentów – była to prognoza opracowana w 2018 r. przez Instytut Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie (zaokrąglona do pełnych tysięcy) i przyjęta w poprzedniej edycji Programu na lata 2019-2023. W latach 2019-2021, wystawiono łącznie 5 989 kart postępowania terapeutycznego, a dostawy produktów leczniczych zrealizowano dla 4 604 pacjentów. Należy przy tym podkreślić, że dane te nie obejmują osób z łagodną postacią choroby, które w danym roku nie wymagały aktywnego leczenia [41].

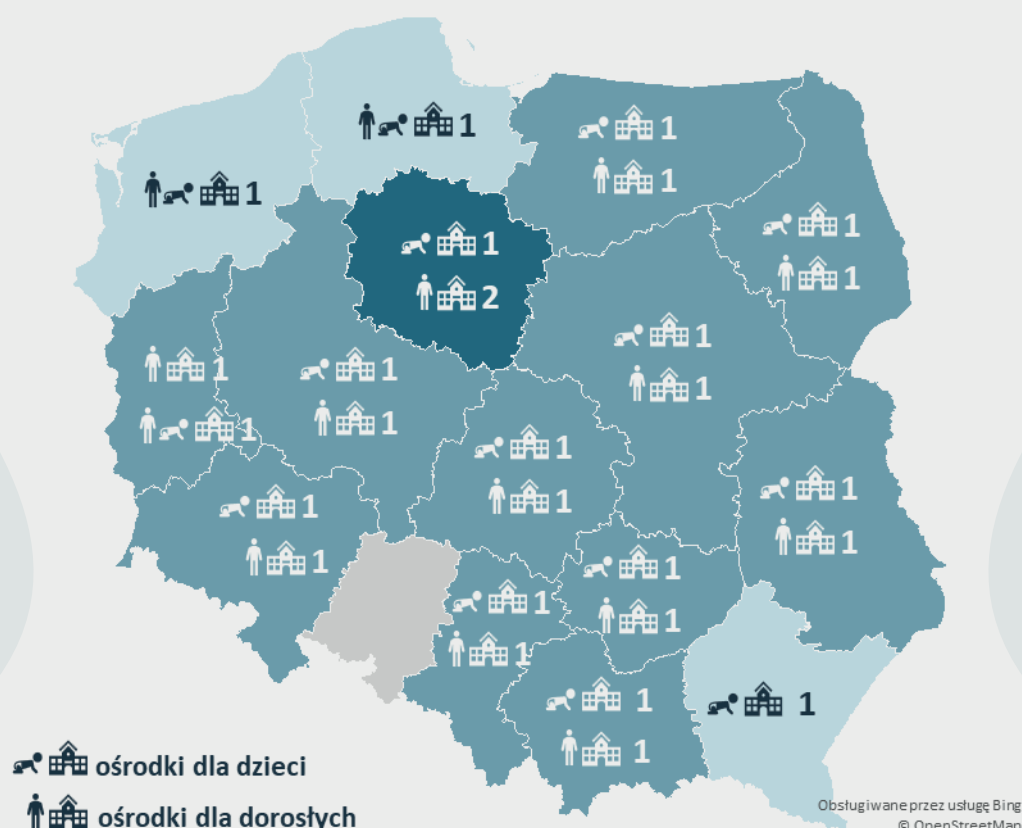
Realizacja NPLH w poszczególnych województwach

Program jest realizowany przez wyspecjalizowaną sieć Ośrodków Leczenia Hemofilii (OLH), oddzielnie dla dzieci i dorosłych. W ramach obecnego programu powołano 28 specjalistycznych ośrodków, których zadaniem jest:

- zapewnienie koordynacji terapii,
- prowadzenie dokumentacji medycznej i diagnostyki,
- organizacja szkoleń dla personelu i pacjentów,
- bieżąca ocena stanu zdrowia chorych (poprzez wystawianie kart postępowania),
- utrzymanie depozytów leków na potrzeby leczenia nagłego.

Większość ośrodków współpracuje bezpośrednio z Regionalnymi Centrami Krwiodawstwa i Krwiolecництва, co umożliwia całodobowy dostęp do koncentratów czynników krzepnięcia. Sieć

Liczba realizatorów NPLH



Braki w strukturze sieci OLH wskazują na konieczność rozszerzenia programu o nowe ośrodki w regionach dotychczas nieobjętych lub objętych w sposób niewystarczający. Umożliwi to poprawę dostępności leczenia, skrócenie czasu reakcji w stanach nagłych oraz zapewnienie równych szans terapeutycznych dla wszystkich pacjentów.

Leki dostępne w NPLH

W ramach Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne pacjenci mają zapewniony dostęp do nowoczesnych, skutecznych terapii stosowanych zarówno w profilaktyce, jak i w leczeniu krwawień. Szczególny nacisk położony jest na bezpieczeństwo pacjentów z ciężką postacią hemofilii oraz osób zagrożonych powikłaniami krwotocznymi – w tym celu

ośrodki leczenia hemofilii utrzymują stałe depozyty leków niezbędnych w terapii stanów nagłych. Program obejmuje dostępność koncentratów czynników krzepnięcia VIII i IX, w tym preparatów rekombinowanych, które stanowią podstawę leczenia substytucyjnego. Uzupełnieniem terapii są leki wspomagające, takie jak desmopresyna, środki antyfibrynolityczne oraz przeciwciała monoklonalne stosowane m.in. u pacjentów z inhibitorem. We współpracy z Regionalnymi Centrami Krwiodawstwa i Krwiolecznictwa zapewnione jest całodobowe zabezpieczenie pacjentów w czynniki krzepnięcia, także w warunkach domowych [41].

Efektywne zarządzanie lekami w ramach OLH opiera się na systematycznym monitorowaniu zużycia preparatów, prowadzeniu szczegółowej dokumentacji medycznej oraz przestrzeganiu jednolitych standardów terapeutycznych. Dzięki tym mechanizmom możliwe jest nie tylko zapewnienie wysokiej jakości opieki, ale również optymalne gospodarowanie zasobami lekowymi na poziomie krajowym.

Procedura wdrażanie nowej terapii

Wdrożenie nowej terapii w ramach NPLH przebiega według następujących etapów:

1. Narodowe Centrum Krwi, na wniosek Przewodniczącego Rady Programu, zwraca się do podmiotu odpowiedzialnego o przygotowanie analiz efektywności medycznej i kosztowej nowej terapii w porównaniu do dotychczas stosowanych leków, zgodnych z wymogami refundacyjnymi.
2. Po zaopiniowaniu wniosku i otrzymaniu analiz, Przewodniczący Rady kieruje do Ministra Zdrowia wniosek o zlecenie Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji (AOTMiT) weryfikacji tych analiz oraz wydania opinii dotyczącej zasadności wprowadzenia terapii.
3. W przypadku terapii dedykowanych pacjentom z chorobami rzadkimi, gdy podmiot odpowiedzialny nie przedstawi wymaganych analiz, Rada może zwrócić się do Ministra o zlecenie AOTMiT wydania opinii na podstawie udokumentowanej efektywności medycznej oraz możliwości realizacji terapii w ramach budżetu programu.
4. Wprowadzenie nowej terapii następuje po uzyskaniu pozytywnej opinii AOTMiT.
5. Podczas głosowania w Radzie Programu członkowie zobowiązani są do złożenia deklaracji o braku konfliktu interesów; w przypadku ujawnienia powiązań z producentami lub odmowy złożenia deklaracji, członek zostaje wyłączony z głosowania [41].

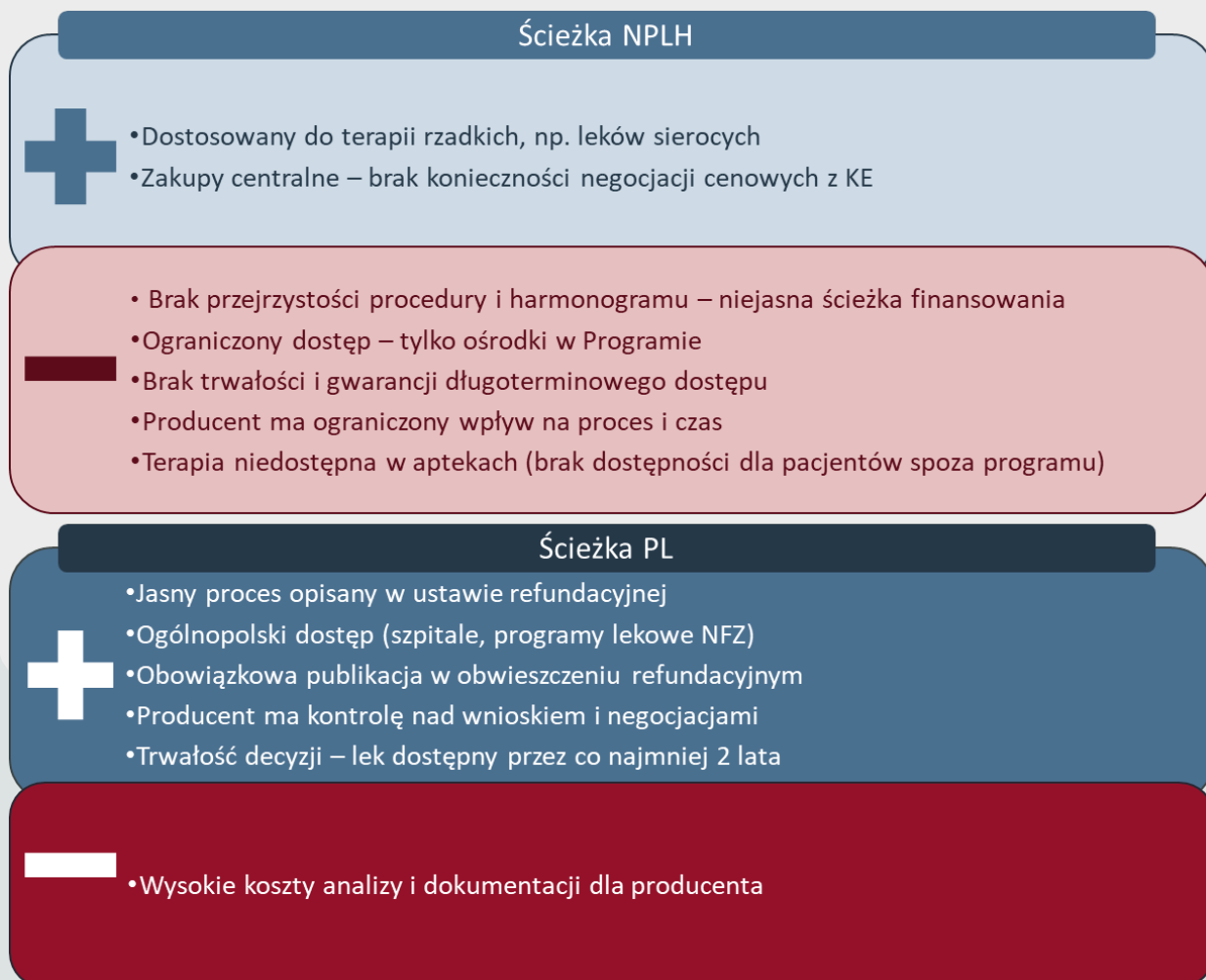
Ścieżka wdrożenia nowej terapii w ramach NPLH różni się istotnie od standardowego procesu refundacyjnego obowiązującego w programie lekowym B.15. Procedura w NPLH cechuje się mniejszą przejrzystością – wniosek o wprowadzenie terapii inicjowany jest przez placówkę medyczną i trafia do oceny AOTMiT za pośrednictwem Rady Programu. W przeciwieństwie do tego, ścieżka refundacyjna w programie lekowym B.15 jest jasno określona i sformalizowana. Producent leku składa wniosek refundacyjny wraz z pełną dokumentacją, która następnie jest poddawana obligatoryjnej ocenie AOTMiT. Na podstawie opinii AOTMiT Ministerstwo Zdrowia podejmuje decyzję o objęciu refundacją. W efekcie oba rozwiązania systemowe nie są równorzędne – ścieżka B.15 zapewnia większą transparentność procesu oraz szerszy i bardziej stabilny dostęp do leków, podczas gdy procedura NPLH jest bardziej zamknięta i ograniczona do wybranych ośrodków, co przekłada się na ograniczony dostęp pacjentów do nowoczesnych terapii.

Tabela 1. Porównanie ścieżki refundacyjnej PL i ścieżki NPLH

Element	NPLH	PL
Inicjator	Rada Programu (przy MZ), ewentualnie lekarze i szpitale	Producent leku (podmiot odpowiedzialny)
Rodzaj analizy	Wymagana analiza efektywności i kosztów	Pełne analizy HTA zgodne z ustawą refundacyjną (wymogi formalne, modele ekonomiczne, analiza wpływu na budżet)
Kto ocenia?	AOTMiT – tylko na zlecenie Ministra Zdrowia (po piśmie od Rady Programu)	AOTMiT – obligatoryjna ocena każdego wniosku złożonego przez firmę
Opinia AOTMiT	Wydawana tylko po uruchomieniu specjalnej ścieżki	Stały element procesu
Decyzja o finansowaniu	MZ na podstawie pozytywnej opinii AOTMiT i decyzji Rady Programu	MZ po opinii AOTMiT i negocjacjach cenowych z Komisją Ekonomiczną
Publikacja w obwieszczeniu	Nie – terapia dostępna w ramach programu zdrowotnego, nie jako refundowana pozycja na liście	Tak – pojawia się w obwieszczeniu refundacyjnym (lista refundacyjna)
Zakup leków	Centralne zakupy przez MZ / NCK, dostarczane do szpitali	Zakup leków realizowany jest w procedurze przetargowej bądź w formie zakupu centralnego, w zależności od charakteru programu

AOTMiT – Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji, MZ – Ministerstwo Zdrowia, NCK – Narodowe Centrum Krwi, NFZ – Narodowy Fundusz Zdrowia, NPLH – Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne, PL – program lekowy

Wady i zalety ścieżek refundacyjnych z perspektywy wnioskodawcy



Rysunek 16. Wady i zalety ścieżek refundacyjnych z perspektywy wnioskodawcy

Świadczenia dostępne w NPLH

Ośrodki uczestniczące w programie realizują kompleksowe świadczenia medyczne obejmujące:

- diagnozowanie i monitorowanie skaz krwotocznych,
- indywidualne planowanie leczenia (m.in. karty postępowania),
- prowadzenie profilaktyki pierwotnej i wtórnej,
- leczenie epizodów krwawień i powikłań,
- wsparcie ortopedyczne i rehabilitacyjne,
- edukację pacjentów i ich rodzin,
- szkolenia dla personelu medycznego.

Każdy pacjent objęty programem pozostaje pod stałą opieką wykwalifikowanego zespołu medycznego, który prowadzi dokumentację w formie elektronicznej oraz regularnie ocenia efektywność leczenia. Świadczenia finansowane są ze środków publicznych, a dostęp do nich zależy od kwalifikacji pacjenta oraz aktualnej lokalizacji ośrodka leczenia hemofilii.

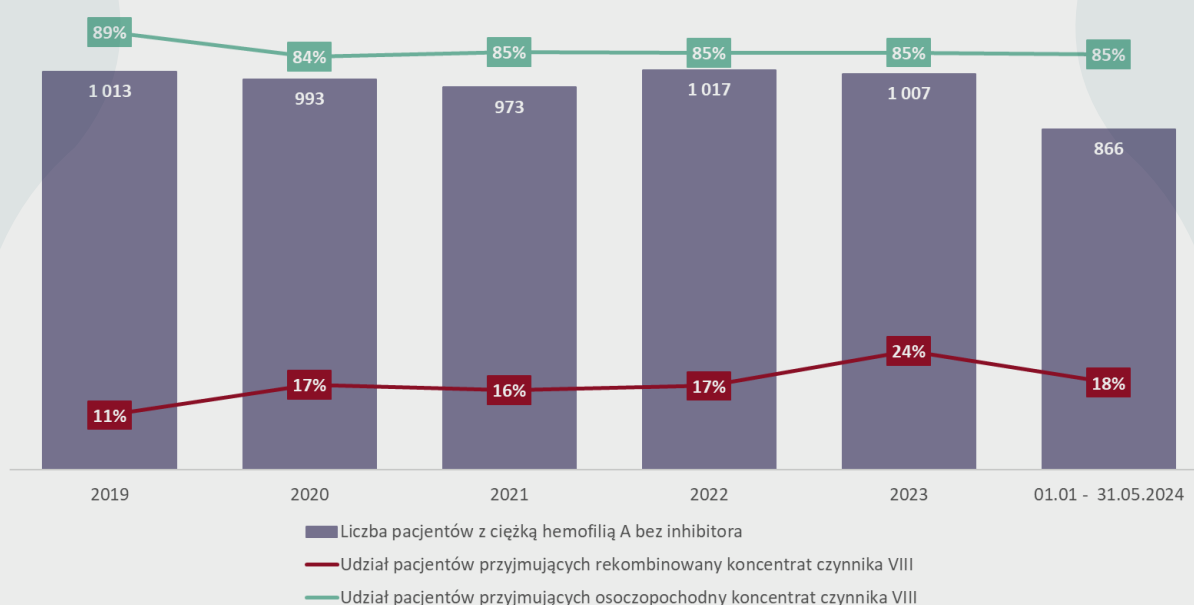
W ramach programu możliwe są także dostawy koncentratów czynników VIII i IX, a także emicizumabu do domu pacjenta. Zgodnie z informacjami przekazanymi przez producenta, wszyscy pacjenci otrzymujący emicizumab mają zapewnioną dostawę leku do domu, niezależnie od tego, czy zostali zakwalifikowani do leczenia profilaktycznego, czy do terapii w schemacie „na żądanie”. Dla pozostałych leków priorytet w dostawach mają pacjenci z ograniczoną mobilnością, mieszkający daleko od ośrodków lub bez dostępu do transportu. Wnioski o udział w programie dostaw domowych składają lekarze prowadzący, a zatwierdzane są przez koordynatorów OLH [41].

Pacjenci z ciężką hemofilią A bez inhibitora

Ciężka postać hemofilii A bez inhibitora stanowi istotne wyzwanie terapeutyczne i organizacyjne w systemie ochrony zdrowia. Skuteczne leczenie tej grupy pacjentów wymaga stałego dostępu do koncentratów czynnika krzepnięcia VIII oraz odpowiednio zorganizowanego modelu opieki, w tym leczenia domowego.

W okresie 2019-2023 liczba pacjentów z ciężką hemofilią A bez inhibitora leczona w ramach NPLH utrzymywała się na stabilnym poziomie, wynoszącym około 1 000 osób rocznie. W ciągu pierwszych pięciu miesięcy 2024 roku zarejestrowano 866 takich pacjentów, co może sugerować zbliżoną całkowitą liczbę chorych w ujęciu rocznym [43].

Zdecydowana większość pacjentów (około 85%) była leczona z wykorzystaniem osoczopochodnych koncentratów czynnika krzepnięcia VIII. Pozostali pacjenci stosowali rekombinowane koncentraty tego czynnika [43].

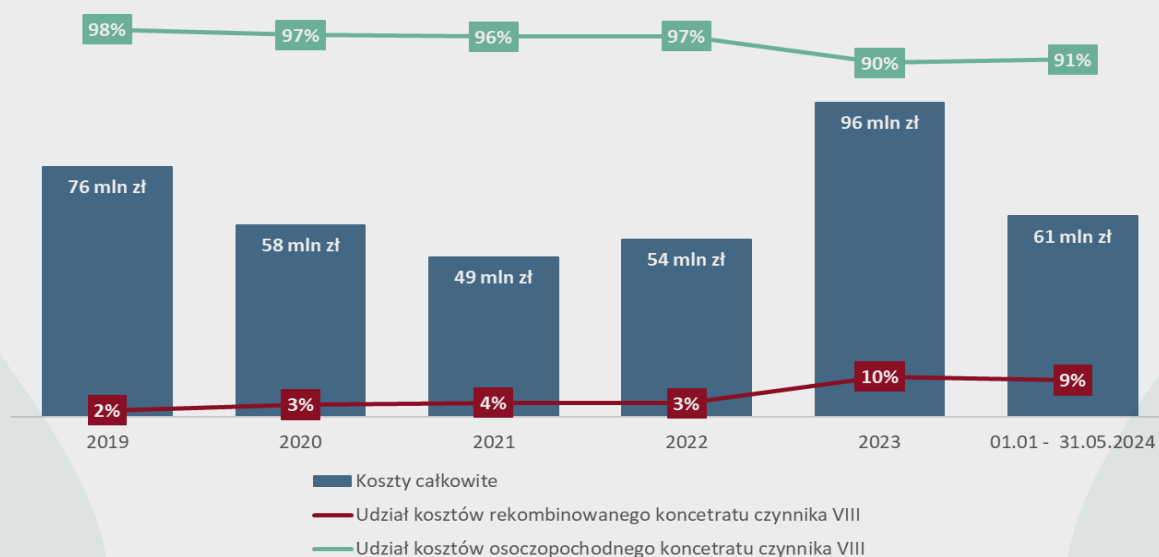


Wykres 19. Liczba pacjentów z ciężką hemofilią A bez inhibitora leczonych w ramach NPLH w latach 2019-05.2024 [43]

W 2023 roku aż 91% pacjentów otrzymywało koncentraty czynnika VIII w ramach leczenia domowego. Wśród tych świadczeń 87% stanowiło profilaktykę, natomiast 13% – leczenie epizodów krwawień [43].

Leczenie domowe, w tym przede wszystkim profilaktyczne, stanowi podstawową formę terapii, co wskazuje na skuteczność i akceptację tego modelu wśród pacjentów i personelu medycznego.

W latach 2019-2023 łączne roczne wydatki na koncentraty czynnika VIII wahały się w przedziale od 49 mln zł do 96 mln zł: zaobserwowano spadek kosztów z 76 mln zł w 2019 roku do 49 mln zł w 2021 roku, jednak w kolejnych latach nastąpił wyraźny wzrost do 96 mln zł w 2023 roku (wzrost o 77% w porównaniu do roku 2022). W okresie styczeń-maj 2024 roku poniesiono już wydatki w wysokości 61 mln zł [43], co sugeruje dalszy wzrost kosztów w skali całego roku. Mimo stabilnej liczby pacjentów, wydatki na leczenie znacząco wzrosły, co może wynikać ze zmiany struktury stosowanych produktów, wzrostu cen lub intensyfikacji leczenia profilaktycznego.



Wykres 20. Łączny koszt koncentratu czynników VIII w NPLH w latach 2019-05.2024 [43]

Nowoczesne metody leczenia



Rysunek 17. Podsumowanie: Nowoczesne metody leczenia

Nowoczesne generacje leków

Hemofilia, jako rzadka, dziedziczna choroba układu krzepnięcia krwi, od dekad wymaga leczenia substytucyjnego z zastosowaniem koncentratów czynników krzepnięcia. Tradycyjne podejście terapeutyczne opierało się na dożylnym podawaniu rekombinowanego lub osoczipochodnego czynnika VIII (dla hemofilii A) lub czynnika IX (dla hemofilii B). Postęp biotechnologiczny oraz rozwój terapii celowanych przyczyniły się do powstania nowej generacji leków, które diametralnie zmieniają podejście do leczenia tej choroby – oferując wyższą skuteczność, większą wygodę stosowania oraz znaczącą poprawę jakości życia pacjentów. Jak podkreśla prof. dr hab. n. med. Jerzy Windyga, kierownik Zakładu Hemostazy i Zakrzepic Instytutu Hematologii i Transfuzjologii w Warszawie, dynamiczny rozwój nowych cząsteczek terapeutycznych – często o innowacyjnych mechanizmach działania – stawia przed Narodowym Programem Leczenia Hemofilii konieczność systematycznej aktualizacji i dostosowywania założeń do zmieniających się realiów klinicznych [47].

Nowoczesne terapie można sklasyfikować w trzech głównych kategoriach:

1. Leki o przedłużonym czasie półtrwania

Leki te zostały zaprojektowane w sposób umożliwiający wydłużoną obecność czynnika krzepnięcia w krwiobiegu, co przekłada się na rzadszą konieczność podań – zazwyczaj raz na 5-7 dni – oraz większą zgodność pacjentów z zaleceniami terapeutycznymi. Aktualnie w Polsce dostępne są następujące preparaty:

- Eftrenonakog alfa (Alprolix®) – hemofilia B,
- Rurioctocog alfa pegol (Adynovi®) – hemofilia A,
- Efmoroctocog alfa (Elocta®) – hemofilia A,
- Efanexoktokog alfa (Altuvoc®) – hemofilia A [46].

W trakcie Zjazdu Rodzin Fundacji Sanguis prof. dr hab. n. med. Wojciech Młynarski wygłosił wykład, w którym podkreślił, że w przypadku pacjentów z hemofilią A, zastosowanie tych preparatów pozwala na zmniejszenie liczby wstrzyknięć średnio o jedno tygodniowo względem terapii klasycznymi koncentratami czynnika VIII [49].

Na rynku terapeutycznym w Polsce pojawił się nowy preparat – efanesoctocog alfa, znany handlowo jako Altuvoc (Altuviiiio w innych krajach), który od 1 października 2025 roku został objęty refundacją w programie PL B.15 dla pacjentów z hemofilią A. Altuvoc to pierwszy rekombinowany czynnik VIII, który nie wiąże się z czynnikiem von Willebranda (vWF), co stanowi istotną innowację w farmakokinetyce leczenia – jego czas działania nie jest już ograniczany naturalnym stężeniem vWF w osoczu. W porównaniu do obecnie stosowanych preparatów o przedłużonym czasie półtrwania, Altuvoc zapewnia stabilną i długotrwałą ochronę przed krwawieniami. Standardowy schemat dawkowania obejmuje podanie dożylnie raz w tygodniu, co znacząco poprawia komfort terapii i może zwiększać przestrzeganie zaleceń przez pacjentów. Regularne, tygodniowe wstrzyknięcia efanesoctocogu alfa skutecznie redukują ryzyko poważnych krwawień i powikłań związanych z hemofilią A, co czyni go obiecującą opcją terapeutyczną w długoterminowym zarządzaniu chorobą.

2. *Terapie podskórne*

Przełom w leczeniu hemofilii A stanowi emicizumab (Hemlibra®) – przeciwciało monoklonalne naśladujące funkcję czynnika VIII, stosowane podskórnie raz na tydzień lub rzadziej. Lek cechuje się wysoką skutecznością oraz znaczącym wpływem na poprawę jakości życia pacjentów, w szczególności tych z inhibitorem.

Obecnie w Polsce emicizumab objęty jest refundacją wyłącznie dla wybranych grup pacjentów::

- u pacjentów z hemofilią A powikłaną inhibitorem, pod warunkiem spełnienia dwóch kryteriów: obecności inhibitora czynnika VIII w hemofilii A oraz niepowodzenia wywołania immunotolerancji lub wystąpienia przeciwwskazań do tego typu leczenia, oraz
- u dzieci i młodzieży do 18 roku życia z ciężką hemofilią A niepowikłaną inhibitorem,
- u dzieci i młodzieży do 18 roku życia z umiarkowaną hemofilią A niepowikłaną inhibitorem z ciężkim fenotypem krwotocznym (po spełnieniu kryterium liczby krwawień).

W najbliższym czasie producenci będą ubiegać się o refundację dla kolejnych terapii podskórnych, takich jak concizumab oraz marstacimab – podawanych raz w tygodniu [19].

Zaawansowane badania kliniczne III fazy dotyczą także kolejnego preparatu – Mim8, będącego bispecyficznym przeciwciałem. Wyniki badania FRONTIER3 (2025 r.) przeprowadzonego wśród dzieci z hemofilią A wykazały bardzo wysoki profil bezpieczeństwa oraz skuteczność – aż 74,3% pacjentów

nie wymagało interwencji z powodu krwawień, a 98% opiekunów wyraziło preferencję dla nowej terapii względem dotychczasowej [48].

3. *Terapie genowe*

Terapie genowe, wykorzystujące wektory wirusowe (najczęściej AAV), oferują możliwość jednorazowego podania, które może zapewnić długotrwałą produkcję brakującego czynnika krzepnięcia. W Europie i USA zarejestrowano już trzy terapie tego typu, które dedykowane są wyłącznie dorosłym pacjentom z hemofilią A i B.

Wciąż jednak istnieją istotne ograniczenia:

- nieprzewidywalność czasu utrzymania efektu terapeutycznego (często wymagająca powtórzenia terapii po kilku-kilkunastu latach),
- obecność przeciwciał przeciwko wektorom AAV, co wyklucza część pacjentów z możliwości skorzystania z leczenia,
- brak danych długoterminowych potwierdzających pełne bezpieczeństwo stosowania.

W Polsce terapia genowa pozostaje na etapie pilotażowym i akademickim. Trwają jednak intensywne przygotowania do jej wdrożenia w ramach systemu publicznego.

Dostawy leków do domu

Zgodnie z założeniami Narodowego Programu Leczenia Hemofilii, rozwijana jest logistyka dostaw leków bezpośrednio do miejsca zamieszkania pacjentów. Obecnie większość chorych odbiera preparaty w Regionalnych Centrach Krwiodawstwa i Krwiolecznictwa. Dla wybranej grupy pacjentów z ciężką postacią choroby dostępne są już dostawy domowe. Jak podkreśla Małgorzata Lorekbyta dyrektor Narodowego Centrum Krwi: „Duża część dorosłych pacjentów zmagających się z dysfunkcjami narządu ruchu, co utrudnia regularne odbieranie dużych objętości leków. Stopniowe rozszerzanie programu dostaw domowych – przy zapewnieniu nadzoru nad leczeniem dzięki systemowi e-Hemofilia – jest jednym z naszych priorytetów.” Celem programu jest objęcie dostawami domowymi wszystkich pacjentów z ciężką postacią hemofilii, co istotnie zmniejszy bariery w dostępie do leczenia oraz poprawi jego ciągłość [47]. W tym kontekście warto podkreślić, że pojęcie leczenia domowego obejmuje samodzielne podawanie przez pacjenta koncentratów czynników krzepnięcia – najczęściej dożylnie – w celu zapobiegania krwawieniom lub ich leczenia. Pacjent jest wcześniej odpowiednio przeszkolony przez lekarza i prowadzi książeczkę leczenia domowego, w której odnotowuje podane dawki oraz powody ich zastosowania. Leki stosowane w ramach leczenia domowego (zarówno profilaktycznego, jak i doraźnego) pacjenci odbierają w Regionalnych Centrach Krwiodawstwa i Krwiolecznictwa; w razie potrzeby możliwe jest również bezpłatne dostarczenie leków do dowolnego szpitala w Polsce, w którym przebywa pacjent z hemofilią. Część chorych otrzymuje leki bezpośrednio do domu – ośrodki leczenia hemofilii zgłaszają do NCK pacjentów spełniających określone kryteria (np. znaczne ograniczenia ruchowe, brak własnego środka transportu, duża odległość od Regionalnego Centrum Krwiodawstwa i Krwiolecznictwa) oraz wyrażających zgodę na dostawy domowe.

W przypadku pacjentów objętych programem emicizumab dostawy domowe realizowane są dla wszystkich chorych, niezależnie od stanu zdrowia.

Narzędzia wspomagające leczenie

Postęp technologiczny i cyfryzacja opieki zdrowotnej otwierają nowe możliwości wspomagania leczenia przewlekłych chorób, takich jak hemofilia. Wśród dostępnych rozwiązań wyróżniają się:

- teleporady,
- e-konsylia,
- dedykowane aplikacje medyczne,
- rejestry pacjentów i systemy zarządzania chorobą,
- webinary ze specjalistami.

Teleporady

W okresie pandemii COVID-19 teleporady zyskały szczególne znaczenie, stając się kluczowym elementem umożliwiającym nieprzerwaną opiekę nad pacjentami z hemofilią. Umożliwiły one nie tylko kontynuację leczenia w warunkach domowych, ale również bieżące monitorowanie terapii oraz kontakt z zespołami medycznymi bez konieczności wizyt w ośrodkach leczenia. Z dostępnych przeglądów literatury wynika, że zarówno pacjenci, jak i personel medyczny wyrażają wysoki poziom satysfakcji z wdrożenia rozwiązań telemedycznych. Wskazuje się również na korzyści organizacyjne i ekonomiczne płynące z ich zastosowania, takie jak lepsze planowanie opieki, redukcja liczby wizyt osobistych i optymalizacja wykorzystania zasobów kadrowych. W badaniach pacjenci wskazywali na szereg istotnych zalet telekonsultacji, w tym prostotę obsługi, łatwiejszy dostęp do lekarzy oraz oszczędność czasu i kosztów związanych z dojazdem. W przypadku młodszych pacjentów dodatkowo podkreślano wzrost poczucia samodzielności i aktywnego udziału w procesie leczenia. Jednocześnie zauważono pewne ograniczenia – najczęściej zgłaszano trudności techniczne, takie jak zakłócenia w połączeniach, problemy z dostępnością odpowiedniego sprzętu oraz bariery językowe i ograniczenia wynikające z niepełnosprawności sensorycznych. Pozytywne doświadczenia odnotowano również wśród pracowników ochrony zdrowia. W jednym z badań aż 88% specjalistów zadeklarowało, że poleciłoby telemedycynę innym, a 79% uznało, że powinna ona na stałe zostać włączona do codziennej praktyki klinicznej. Bardzo wysoko oceniano szczególnie konsultacje wideo prowadzone przez fizjoterapeutów – 94% z nich wyraziło zadowolenie z takiej formy kontaktu. Zwracano jednak uwagę, że niektóre elementy oceny, takie jak precyzyjne badanie zakresu ruchomości stawów, nadal wymagają wizyty osobistej. Pomimo szerokiej akceptacji, istotnym wyzwaniem pozostają ograniczenia techniczne. Zakłócenia odnotowano w 38% konsultacji telefonicznych oraz w 71% wideokonsultacji. Dodatkowo, 67% pracowników medycznych przyznało, że nie czuło się odpowiednio przygotowanych do prowadzenia konsultacji wideo, a 71% wskazało na potrzebę uzupełniających szkoleń w zakresie wykorzystania telemedycyny. [65]

W świetle tych danych, autorzy przeglądu literatury [65] podkreślają, że telemedycyna powinna być traktowana jako narzędzie komplementarne, a nie substytucyjne wobec tradycyjnych form opieki. Jej rola jest szczególnie cenna w obszarach takich jak edukacja terapeutyczna, planowanie leczenia czy

bieżące monitorowanie stanu zdrowia, jednak w przypadkach wymagających bezpośredniego badania fizykalnego – np. oceny stawów lub identyfikacji objawów krwawienia – niezbędne pozostają wizyty osobiste. Zwraca się również uwagę na potrzebę opracowania i wdrożenia jednolitych standardów prowadzenia konsultacji w trybie zdalnym. Brakuje bowiem jasno zdefiniowanych procedur dotyczących m.in. sposobu przeprowadzania oceny klinicznej, doboru narzędzi diagnostycznych oraz dokumentowania przebiegu wizyty. Ustandaryzowanie tych procesów mogłoby nie tylko poprawić jakość świadczonych usług, ale także umożliwić lepsze porównywanie wyników klinicznych oraz ocenę efektywności ekonomicznej zdalnych form opieki.

W kontekście długofalowym, rozwój telemedycyny w leczeniu hemofilii wymaga także inwestycji w infrastrukturę techniczną, zapewnienia szkoleń dla personelu medycznego oraz wdrażania rozwiązań umożliwiających równość dostępu – zwłaszcza wśród pacjentów starszych, osób z niepełnosprawnościami lub zamieszkujących obszary o ograniczonym dostępie do sieci. Przyszłe działania systemowe powinny więc koncentrować się na integracji telemedycyny z opieką koordynowaną, przy jednoczesnym zachowaniu wysokich standardów klinicznych i bezpieczeństwa pacjenta. [65].

Dlaczego warto korzystać z telemedycyny?

Korzyści dla pacjentów



Redukcja liczby wizyt osobistych

Łatwiejszy dostęp do lekarzy



Oszczędność czasu

Mniejsze koszty związane z dojazdem



Opinia lekarzy



88% specjalistów zadeklarowało, że poleciłoby telemedycynę innym

79% uznało, że teleporady powinny stać się częścią codziennej praktyki klinicznej

94% fizjoterapeutów wyraziło zadowolenie z takiej formy kontaktu jak teleporady



67% pracowników medycznych przyznało, że nie czuło się odpowiednio przygotowanych do prowadzenia konsultacji wideo

71% wskazało na potrzebę uzupełniających szkoleń w zakresie wykorzystania telemedycyny

Wnioski

Teleporady powinny być traktowane jako uzupełnienie wizyt stacjonarnych



Rola teleporad szczególnie cenna w obszarach takich jak edukacja terapeutyczna, planowanie leczenia, bieżące monitorowanie stanu zdrowia, jednak w przypadkach wymagających bezpośredniego badania fizykalnego – niezbędne pozostają wizyty osobiste

Przyszłe działania systemowe powinny więc koncentrować się na integracji telemedycyny z opieką koordynowaną, przy jednoczesnym zachowaniu wysokich standardów klinicznych i bezpieczeństwa pacjenta

Rysunek 18. Korzyści dla pacjentów z zastosowania teleporad

E-konsylia

E-konsylia, czyli zdalne konsultacje zespołów specjalistycznych, stają się coraz bardziej istotnym narzędziem w kompleksowej opiece nad pacjentami z hemofilią. Chorzy ci często wymagają współpracy wielu ekspertów – hematologa, ortopedy, fizjoterapeuty, psychologa czy genetyka –

a dostęp do tak szerokiego zespołu w jednym miejscu bywa utrudniony, szczególnie poza dużymi ośrodkami referencyjnymi.

E-konsylium umożliwia lekarzowi prowadzącemu zorganizowanie zdalnej konsultacji z innymi specjalistami z różnych ośrodków w kraju, co znacząco zwiększa dostępność do wyspecjalizowanej opinii i wspólnego planowania leczenia. Z perspektywy pacjenta rozwiązanie to przynosi szereg korzyści – przede wszystkim pozwala uczestniczyć w nadzorze bez konieczności osobistego stawienia się w ośrodku, co ma szczególne znaczenie dla osób z ograniczoną mobilnością lub zamieszkających w znacznej odległości od ośrodka leczenia hemofilii. Zdalne konsylia mogą być szczególnie przydatne w sytuacjach wymagających szybkiego ustalenia planu postępowania w przypadku powikłań ortopedycznych, kwalifikacji do leczenia operacyjnego, wdrażania nowoczesnych terapii (np. genowej, nefaktorowej) lub indywidualnego planowania rehabilitacji.

Znaczenie tego modelu opieki zostało dostrzeżone również na poziomie systemowym. 22 października 2024 r. zatwierdzono do realizacji projekt „E-Konsylium II”, którego celem jest rozwój platformy telemedycznej wspierającej zdalne konsultacje w zakresie m.in. hematologii i chorób rzadkich – w tym hemofilii [66]. Projekt, współfinansowany ze środków Unii Europejskiej w ramach programu Fundusze Europejskie dla Rozwoju Społecznego 2021-2027, ma zostać zakończony do końca 2026 r. [67]

Włączenie e-konsyliów do standardowej opieki nad osobami z hemofilią może znacząco podnieść jakość i szybkość podejmowanych decyzji terapeutycznych, ograniczyć nierówności w dostępie do specjalistów oraz odciążyć ośrodki leczenia, w których liczba specjalistów jest niewystarczająca w stosunku do liczby pacjentów. Jest to tym bardziej istotne w kontekście rozwoju nowych form terapii, które wymagają ścisłej interdyscyplinarnej współpracy.

Korzyści z zastosowania e-konsyliów



Konsultacja ze specjalistami z całego kraju



Zapewnienie równego standardu leczenia niezależnie od miejsca zamieszkania pacjenta



Uczestnictwo w e-konsylium nie wymaga od pacjenta wizyty w ośrodku

Rysunek 19. Korzyści z zastosowania e-konsyliów w leczeniu pacjentów z hemofilią

Dedykowane aplikacje medyczne

Aplikacje mobilne takie jak EMI BAZA, myWAPPS, Florio HAEMO, Haemoassist czy myPKFiT, opracowane z myślą o pacjentach z hemofilią, to zaawansowane narzędzia cyfrowe wspierające zarówno codzienne zarządzanie terapią. Umożliwiają one rejestrowanie kluczowych danych klinicznych, takich jak epizody krwawień czy podania czynnika krzepnięcia, co pozwala na lepsze dostosowanie leczenia do indywidualnych potrzeb pacjenta. Zintegrowane modele farmakokinetyczne pozwalają na prognozowanie poziomu czynnika krzepnięcia w czasie, wspierając planowanie infuzji w sposób precyzyjny i dostosowany do aktywności życiowej chorego. Dodatkowo, aplikacje oferują

funkcje przypomnień o konieczności podania leku oraz alerty ostrzegające o potencjalnym spadku poziomu czynnika, co zwiększa bezpieczeństwo terapii.

Istotnym elementem tych rozwiązań jest możliwość automatycznego przesyłania danych do ośrodków leczenia, co ułatwia monitorowanie przebiegu terapii przez lekarzy i pozwala na szybsze podejmowanie decyzji klinicznych.

Funkcjonalności oferowane przez te aplikacje obejmują m.in.

- prowadzenie elektronicznego dzienniczka krwawień i infuzji,
- monitorowanie przyszłych poziomów czynnika na podstawie spersonalizowanych modeli farmakokinetycznych,
- przypomnienia o infuzjach i alerty spadku czynnika,
- przesyłanie danych do ośrodków leczenia.

Skuteczność i przydatność aplikacji mobilnych została potwierdzona w badaniu ankietowym przeprowadzonym wśród pacjentów z hemofilią i innymi zaburzeniami krzepnięcia. Aż 74% respondentów zadeklarowało regularne korzystanie z narzędzi takich jak Haemoassist, florio HAEMO czy myPKFiT. Zdecydowana większość użytkowników (85%) oceniła, że aplikacje w istotny sposób wspierają przestrzeganie zaleceń terapeutycznych i ułatwiają codzienne zarządzanie leczeniem. Jednocześnie zwrócono uwagę na wysoki odsetek czasowego porzucania tych narzędzi, co może być związane z problemami technicznymi oraz brakiem bieżącego wsparcia użytkownika. W celu zwiększenia efektywności wykorzystania aplikacji zaleca się prowadzenie działań edukacyjnych oraz wyznaczenie osoby kontaktowej w ośrodkach leczenia hemofilii, odpowiedzialnej za pomoc pacjentom w zakresie obsługi narzędzi cyfrowych [69].

Funkcje i korzyści dla pacjentów z zastosowania aplikacji medycznych

FUNKCJE	KORZYŚCI DLA PACJENTÓW
 Źródło informacji na temat choroby, leczenia  Przypominanie pacjentom o lekach i alerty o spadku czynnika  Monitorowanie poziomów czynnika  Przesyłanie danych do ośrodków	 Prostsze zarządzanie leczeniem  Łatwiejsze przestrzeganie zaleceń terapeutycznych  Większy komfort psychiczny
PROBLEMY	DALSZY KROKI
 Problemy techniczne Brak bieżącego wsparcia użytkownika	 Przeprowadzenie działań edukacyjnych  Wyznaczenie osoby kontaktowej w ośrodkach leczenia hemofilii

Rysunek 20. Funkcje i korzyści dla pacjentów z zastosowania aplikacji medycznych w hemofilii

Rejestry pacjentów i systemy zarządzania chorobą

Współczesne leczenie hemofilii wymaga nie tylko dostępu do skutecznych terapii, lecz także sprawnego zarządzania informacją medyczną i logistyką leczenia. W odpowiedzi na te potrzeby, Ministerstwo Zdrowia realizuje projekt wdrożenia ogólnopolskiego systemu cyfrowego e-Hemofilia,

którego celem jest usprawnienie koordynacji opieki nad osobami z wrodzonymi skazami krwotocznymi, w tym hemofilią A i B.

System e-Hemofilia będzie stanowił centralną platformę integrującą dane z różnych poziomów opieki – od lekarzy prowadzących i ośrodków leczenia hemofilii, przez szpitale i centra krwiodawstwa, po hurtownie farmaceutyczne i instytucje zarządzające terapią. Zakres funkcjonalności obejmie m.in.:

- dostęp do pełnej dokumentacji medycznej pacjenta (w tym historia leczenia i epizodów krwawień),
- monitoring dostępności i zużycia leków (czynniki krzepnięcia, terapie nefaktorowe),
- harmonogramy dostaw w ramach leczenia domowego,
- e-rejestry wizyt, konsultacji i działań fizjoterapeutycznych,
- wspieranie decyzji klinicznych i analizę skuteczności terapii w czasie rzeczywistym.

Planowane zakończenie prac nad systemem przypada na wrzesień 2025 r. Wdrożenie e-Hemofilii stanowi ważny krok w kierunku standaryzacji i profesjonalizacji opieki nad pacjentami z zaburzeniami krzepnięcia w Polsce. Dzięki centralizacji danych oraz możliwościom analitycznym system będzie nie tylko wspierał indywidualne leczenie, lecz także ułatwi tworzenie krajowych rejestrów pacjentów, analiz epidemiologicznych, oceny kosztów terapii oraz prognozowania zapotrzebowania na leki i usługi medyczne. Ponadto umożliwi bardziej precyzyjne planowanie dostaw leków do domu oraz sprawniejsze reagowanie na sytuacje nagłe i przerwy w łańcuchu dostaw.

Z perspektywy pacjenta wdrożenie e-Hemofilii może przełożyć się na lepszą koordynację opieki, szybszy dostęp do potrzebnych terapii, ograniczenie zbędnych hospitalizacji oraz większe poczucie bezpieczeństwa w codziennym funkcjonowaniu z chorobą przewlekłą.

Webinary z ekspertami

Badanie PROBE wykazało wyraźny brak świadomości pacjentów na temat dostępnej pomocy psychologicznej (51% respondentów) oraz wsparcia socjalnego (55%) [10]. Jak zaznacza Bogdan Gajewski, prezes Polskiego Stowarzyszenia Chorych na Hemofilię, edukacja społeczna na temat hemofilii nadal jest niewystarczająca i wciąż pokutują szkodliwe mity – np. że nawet drobne skaleczenie może zakończyć się śmiercią, podczas gdy realne ryzyko niesie ze sobą krwawienia wewnętrzne do stawów lub mięśni [69].

W odpowiedzi na te zdiagnozowane braki, w Polsce podejmowane są konkretne działania edukacyjne:

- **Fundacja Sanguis** wspiera osoby chore na hemofilię oraz ich rodziny, oferując edukację i pomoc w codziennym funkcjonowaniu z tą chorobą. Organizuje kampanie społeczne i konferencje, m.in. w 2024 roku przeprowadziła akcję „Codzienne wyzwania dzieci chorych na hemofilię i ich rodziców”. W jej ramach powstało siedem podcastów – rozmów z rodzicami oraz ekspertami, poruszających najważniejsze aspekty życia z hemofilią. [70]
- **Polskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię** organizuje coroczne webinary, takie jak obchody Światowego Dnia Hemofilii. Ostatnie z nich („Hemofilia w Polsce – wyzwania i perspektywy”, kwiecień 2025), zgromadziło ekspertów m.in. z ministerstwa zdrowia, klinik hematologicznych oraz przedstawicieli pacjentów [71].

- Portal **Hematoonkologia.pl** odnotowuje cykliczne webinary adresowane do pacjentów i opiekunów [72].
- Wsparcie organizacyjne zapewniają również towarzystwa medyczne – np. Polskie Towarzystwo Diagnostyki Laboratoryjnej (PTDL) zorganizowało w styczniu 2025 webinar o współczesnych terapiach i monitorowaniu pacjentów z hemofilią [73].

Webinary te obejmują kluczowe obszary edukacyjne, takie jak:

- nowoczesne terapie i standardy leczenia,
- profilaktyka i postępowanie w przypadku krwawień,
- samodzielne podawanie terapii domowej,
- znaczenie rehabilitacji i opieki psychologicznej,
- konsultacje ze specjalistami: hematologami, fizjoterapeutami, psychologami, dietetykami, genetykami,

Oraz przynoszą wiele korzyści:

- zwiększenie społecznej i pacjenckiej świadomości dotyczącej hemofilii,
- obalanie mitów i poprawa bezpieczeństwa w codziennym życiu chorych,
- edukacja młodych pacjentów i rodzin z dala od dużych ośrodków,
- dostępność wiedzy bez konieczności osobistych wyjazdów, co jest szczególnie ważne przy ograniczonych zasobach kadrowych i geograficznym rozproszeniu pacjentów.

Choć forma edukacji online nie zastąpi w pełni kontaktu osobistego – szczególnie jeśli chodzi o badanie fizykalne – zapewnia jednak podstawową wiedzę i wsparcie, których wielu pacjentom i opiekunom brakuje. Stanowi też skuteczne narzędzie profilaktyki informacyjnej i wzmocnienia systemu opieki nad osobami z hemofilią w Polsce.

Europejskie standardy opieki nad osobami z hemofilią

Hemofilia, jako rzadka choroba krwotoczna o podłożu genetycznym, wymaga kompleksowej i wysoko specjalistycznej opieki medycznej, a także stałego dostępu do nowoczesnych terapii. Na przestrzeni ostatnich dekad model leczenia tej choroby w Polsce uległ znaczącej transformacji – od doraźnej interwencji w przypadku krwotoków po profilaktyczne podejście zgodne z międzynarodowymi standardami. Współczesne leczenie hemofilii wykracza poza samo podawanie koncentratów czynników krzepnięcia – obejmuje ono także wielodyscyplinarną opiekę, edukację pacjentów i ich rodzin. Mimo to polski system w dużej mierze opiera się na wytycznych europejskich z 2008 r., pomijając wciąż aktualniejsze i bardziej kompleksowe rekomendacje Światowej Federacji Hemofilii (WFH) z 2020 r. Dotyczy to zarówno sposobu organizacji opieki, jak i narzędzi oceny skuteczności terapii – w Polsce nadal stosowane są przestarzałe mierniki zgodne z dawnymi wytycznymi europejskimi, które nie pozwalają w pełni ocenić faktycznych efektów leczenia. Brakuje także nowoczesnych narzędzi umożliwiających personalizację terapii. Rekomendowane przez WFH rozwiązania typu *shared decision-making*, pozwalające na wspólne podejmowanie decyzji przez lekarza i pacjenta w oparciu o indywidualne potrzeby chorego, w praktyce w Polsce nie funkcjonują [74].

Postęp, jaki dokonał się w Polsce w leczeniu hemofilii, możliwy był dzięki wdrożeniu dwóch kluczowych programów zdrowotnych: Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilią i Pokrewne Skazy

Krwotoczne (w 2024 roku rozpoczęła się piąta edycja tego programu) oraz programu lekowego B.15 Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B. Choć oba programy przyczyniły się do poprawy dostępności terapii, różnią się one zakresem – zarówno pod względem populacji pacjentów, jak i świadczeń. Program B.15 skierowany jest wyłącznie do dzieci do 18. roku życia z hemofilią A lub B i koncentruje się na profilaktyce. Z kolei Narodowy Program obejmuje szersze spektrum chorych – w tym dorosłych oraz pacjentów z innymi wrodzonymi skazami krwotocznymi, jak choroba von Willebranda – zapewniając zarówno profilaktykę, jak i leczenie epizodów krwotocznych. Warto podkreślić, że Narodowy Program umożliwia także leczenie pacjentów z inhibitorem czynnika krzepnięcia, co nie jest przewidziane w ramach programu B.15 (z wyjątkiem nowo zdiagnozowanych przypadków).

Dzięki wdrożeniu tych kompleksowych rozwiązań systemowych, średnia długość życia pacjentów z hemofilią w Polsce uległa znacznemu wydłużeniu i obecnie zbliżona jest do średniej długości życia w populacji ogólnej [6].

Pomimo poprawy dostępności leczenia dzięki programom zdrowotnym, dostęp do nowoczesnych terapii pozostaje ograniczony. Przykładem jest emicizumab – lek o wysokiej skuteczności w hemofilii A – refundowany jedynie u pacjentów z inhibitorem czynnika VIII oraz u dzieci bez inhibitora z ciężką hemofilią A oraz z umiarkowaną postacią hemofilii A z ciężkim fenotypem krwotocznym po spełnieniu kryterium dotyczącego liczby krwawień w roku. W efekcie znaczna grupa dorosłych pacjentów, którzy mogliby odnieść wymierne korzyści kliniczne, nie ma możliwości skorzystania z tej terapii.

Wyzwaniem pozostaje niski poziom świadomości klinicznej hemofilii wśród personelu medycznego spoza hematologii [7]. Zdarzają się sytuacje, w których w stanach nagłych nie zostaje podany czynnik krzepnięcia, co może prowadzić do poważnych konsekwencji zdrowotnych, a nawet śmierci pacjenta. Dlatego niezbędne jest systemowe wprowadzenie szkoleń oraz działań edukacyjnych w szpitalach ogólnych, które nie specjalizują się w leczeniu chorób krwi.

Eksperti wskazują, że optymalnym modelem opieki nad pacjentem z hemofilią jest skoordynowane leczenie prowadzone przez hematologa, z uwzględnieniem konsultacji interdyscyplinarnych – m.in. ortopedycznych, stomatologicznych i urologicznych. Przykładem efektywnego systemu jest model amerykański, w którym pacjent objęty jest kompleksową i spersonalizowaną opieką, bez ryzyka pozostawienia bez wsparcia na etapie leczenia – zaznacza Waldemar Knasiak, hematolog mieszkający od wielu lat w USA [6].

Jednym z kluczowych, a nadal niedostatecznie rozwiązanych wyzwań w Polsce, pozostaje dostęp dorosłych pacjentów z zaawansowanymi zmianami ortopedycznymi do specjalistycznej rehabilitacji. Obecnie tylko nieliczne ośrodki oferują programy terapeutyczne dostosowane do potrzeb chorych z hemofilią. Tymczasem, jak zaznacza prof. Maria Podolak-Dawidziak z Uniwersytetu Medycznego we Wrocławiu, indywidualnie dobrana fizjoterapia może istotnie poprawić sprawność oraz jakość życia pacjentów. [6]. Fizjoterapeuci powinni być aktywnie zaangażowani nie tylko w rehabilitację przewlekłą, lecz także w przygotowanie pacjentów do zabiegów ortopedycznych i ich opiekę pooperacyjną.

Podobnego zdania jest dr Janusz Zawilski, który podkreśla, że każdy pacjent z zaawansowaną hemofilią stawową powinien znajdować się pod stałą opieką fizjoterapeuty. Choć zainteresowanie rehabilitacją hemofilii rośnie, dostęp do wykwalifikowanych specjalistów nadal bywa ograniczony. Wprawdzie

szkolenia prowadzone są m.in. w Instytucie Hematologii i Transfuzjologii, to jednak wiele ośrodków wciąż nie oferuje dostosowanej rehabilitacji [6]. Z kolei dr. hab. n. med. Andrzej Mital zwraca uwagę na potrzebę płynnego przekazywania pacjentów między specjalistami w toku leczenia, w tym także między pediatrami a specjalistami opiekującymi się pacjentami dorosłymi [8].

W odpowiedzi na wiele z tych wyzwań Ministerstwo Zdrowia pracuje nad wdrożeniem cyfrowego systemu e-Hemofilia. Jego celem jest poprawa jakości leczenia poprzez stworzenie zintegrowanej platformy cyfrowej, łączącej lekarzy, szpitale, centra krwiodawstwa. W systemie dostępne będą m.in. historia leczenia, dostępność leków, harmonogramy dostaw oraz pełna dokumentacja medyczna. Zakończenie projektu planowane jest na wrzesień 2025 roku [9].

Na koniec warto podkreślić, że jednym z istotnych, lecz nadal niedostatecznie rozwiązanych problemów, pozostaje ograniczony dostęp do dostaw domowych leków. Obecnie jedynie 41% pacjentów deklaruje, że otrzymuje czynniki krzepnięcia bezpośrednio do domu [10]. Brak takiej możliwości znacząco utrudnia terapię – pacjenci są zmuszeni do oszczędzania leków lub częstych wizyt w szpitalach. Logistyka odbioru leków, zwłaszcza przy dużym zapotrzebowaniu, może być poważnym wyzwaniem – szczególnie dla osób mieszkających z dala od wyspecjalizowanych ośrodków. Tymczasem w wielu krajach europejskich dostawy domowe stanowią standard opieki, który powinien zostać również szerzej wdrożony w Polsce.

Tabela 2. Zasady organizacji opieki nad chorymi na hemofilię oraz ich stan realizacji w Polsce

Europejskie zasady organizacji opieki nad chorymi na hemofilię		Realizacja w Polsce
WFH 2020	WFH 2008	
1. Stworzenie centralnej organizacji realizującej opiekę nad chorymi na hemofilię Zintegrowany, krajowy system opieki nad chorymi z hemofilią, obejmujący sieć ośrodków leczenia, centralny rejestr pacjentów, koordynację zakupu i dystrybucji leków oraz uwzględniający różnorodność społeczno-kulturową.	Zalecano powołanie centralnej organizacji koordynującej, utworzenie krajowego rejestru pacjentów oraz rozwój sieci zapewniających kompleksową opiekę.	☆☆☆ W Polsce przedstawiciele środowiska lekarskiego, organizacji pacjentów z hemofilią oraz Ministerstwa Zdrowia biorą formalny udział w pracach nad systemem opieki nad chorymi. Sieć ośrodków leczenia funkcjonujących w oparciu o model kompleksowej, wielodyscyplinarnej opieki istnieje i funkcjonuje, choć w niektórych placówkach nadal brakuje pełnej dostępności do wszystkich wymaganych specjalistów, co oznacza, że wdrażanie kompleksowości opieki nadal trwa.
2. Dostęp do skutecznych i bezpiecznych terapii Zapewnienie równego dostępu do nowoczesnych terapii: klasycznych (czynniki krzepnięcia), przedłużonego działania, podskórnych (np. emicizumab) i potencjalnie terapii genowych.	Skupiono się na zapewnieniu bezpiecznych koncentratów czynników krzepnięcia i minimalizowaniu ryzyka przenoszenia patogenów; czynniki o przedłużonym działaniu, podskórne i genowe terapie wskazane jako obszary rozwoju, ale nie rekomendowane jako standard.	☆☆☆ Leczenie profilaktyczne hemofilii jest dostępne dla dzieci i dorosłych w ramach specjalnych programów, które zapewniają nowoczesne terapie i możliwość leczenia domowego. Należy jednak podkreślić, że dostęp do nowoczesnych opcji terapeutycznych jest istotnie ograniczony i w praktyce dotyczy przede wszystkim pacjentów z hemofilią A powikłaną inhibitorem. W przypadku dorosłych pacjentów bez inhibitora nadal powszechnie stosowane są osoczipochodne preparaty czynnika VIII, mimo dostępności na rynku zarejestrowanych terapii o przedłużonym działaniu oraz leków o odmiennym mechanizmie działania, takich jak emicizumab.

Europejskie zasady organizacji opieki nad chorymi na hemofilię		Realizacja w Polsce
WFH 2020	WFH 2008	
3. Dostęp do wysokiej jakości usług diagnostyki laboratoryjnej i genetycznej Diagnostyka krzepnięcia i genetyczna powinna być dostępna 24/7, prowadzona przez wyszkolony personel z dostępem do testów krzepnięcia, na obecność inhibitorów i analiz genetycznych.	Zalecano dostęp do laboratoriów koagulologicznych z możliwością oznaczania czynników i inhibitorów oraz do badań genetycznych i poradnictwa; rekomendowano zapewnienie 24-godzinnej dostępności w ośrodkach leczenia hemofilii.	★★★ Dostęp do wysokiej jakości usług diagnostyki laboratoryjnej i genetycznej w Polsce w zakresie hemofilii jest zapewniony w ramach specjalistycznych ośrodków leczenia hemofilii.
4. Edukacja i szkolenia dla zespołów medycznych i specjalistów Stałe kształcenie lekarzy i zespołów specjalistycznych (fizjoterapeuci, ortopedzi, psychologzy) oraz programy edukacyjne oparte o potrzeby krajowe i lokalne.	Podkreślano znaczenie edukacji hematologów i specjalistów, ale brakowało systemowego wymogu stałych, skoordynowanych programów edukacyjnych dostosowanych do potrzeb krajowych i regionalnych.	★★★ W Polsce większość hematologów korzysta z odpowiednich szkoleń dotyczących leczenia hemofilii, jednak lekarze innych specjalności często dysponują ograniczoną wiedzą na ten temat.
5. Badania kliniczne i epidemiologiczne oraz rozwój rejestrów pacjentów Badania kliniczne oraz rejestry pacjentów umożliwiają rozwój wiedzy, oceny skuteczności terapii i porównań międzynarodowych. Wymagana jest standaryzacja oceny wyników i współpraca między ośrodkami.	Zalecano prowadzenie rejestrów i wspieranie badań; brak wyraźnego wymogu standaryzacji narzędzi oceny wyników i formalnej współpracy międzynarodowej.	★★★ Obecnie funkcjonujący rejestr pacjentów z hemofilią wymaga dalszego udoskonalenia. We wrześniu 2025 roku planowane jest wdrożenie systemu e-Hemofilia – nowoczesnego narzędzia, które nie tylko usprawni prowadzenie rejestru, ale również umożliwi lekarzom monitorowanie terapii i organizowanie konsultacji online.
6. System nagłego reagowania i opieki w stanach nagłych (np. krwotoki) Dostęp do leczenia w stanach nagłych, całodobowa opieka i gotowe protokoły postępowania w przypadku np. krwotoków wewnętrznych. Szkolenia personelu SOR.	Zalecano zapewnienie opieki w stanach nagłych, ale nie określano wymogu opracowania szczegółowych protokołów postępowania ani obowiązkowych szkoleń personelu SOR.	★★★ Formalnie wszyscy pacjenci powinni mieć zapewniony dostęp do leczenia w sytuacjach zagrożenia życia, jednak w praktyce występowały przypadki zaniedbania. W sytuacjach nagłych niezbędne jest zapewnienie 24-godzinnej konsultacji z lekarzem dyżurnym. Obecnie możliwość taka istnieje jedynie w wybranych placówkach.
7. Wielodyscyplinarna opieka zorientowana na pacjenta i samoopieka Opieka wielospecjalistyczna z naciskiem na samoopiekuńczość pacjentów, zarządzanie bólem, profilaktykę, ocenę psychospołeczną i płynne przejście z opieki pediatrycznej do dorosłej.	Rekomendowano dostęp do wielospecjalistycznej opieki, ale mniej uwagi poświęcano systemowemu rozwijaniu samoopieki, zarządzaniu bólem, ocenie psychospołecznej i planowanemu przejściu z opieki pediatrycznej do dorosłej.	★★★ Dostępna, lecz niepełna opieka wielospecjalistyczna. Brakuje systemowego wsparcia samoopieki.
8. Terapia zastępcza – profilaktyka jako standard leczenia ciężkiej hemofilii Profilaktyka powinna być rozpoczęta jak najwcześniej (przed 3 r.ż.), być indywidualizowana i realizowana w trybie domowym – to standard leczenia ciężkiej hemofilii.	Profilaktyka była rekomendowana, szczególnie u dzieci, ale nie określano tak precyzyjnie momentu jej rozpoczęcia ani standardu leczenia domowego.	★★★ Nie wszyscy pacjenci z hemofilią w Polsce korzystają z leczenia domowego, a tylko niewielka część dzieci leczonych pediatrycznie ma możliwość otrzymywania czynników krzepnięcia bezpośrednio do domu.

Europejskie zasady organizacji opieki nad chorymi na hemofilię		Realizacja w Polsce
WFH 2020	WFH 2008	
9. Postępowanie u pacjentów z inhibitorami Rutynowy skrining inhibitorów (co 6-12 mies. po rozpoczęciu leczenia, następnie co rok; dodatkowo po >5 dniach leczenia, przed dużymi zabiegami), dostęp do terapii ITI, leków bypassowych, emicizumabu oraz nowych metod leczenia.	Zalecano monitorowanie inhibitorów i leczenie w wyspecjalizowanych ośrodkach, w tym ITI i terapię bypassami; brak szczegółowych progów ekspozycji.	★★★★ Wszyscy pacjenci mają zapewniony dostęp do leków neutralizujących inhibitory, terapii indukującej tolerancję immunologiczną oraz leczenia powikłań krwawień.
10. Zarządzanie powikłaniami układu mięśniowo-szkieletowego Wczesne leczenie i rehabilitacja powikłań stawowych, dostęp do specjalistów ortopedii i fizjoterapii, ocena funkcji narządu ruchu, możliwość leczenia operacyjnego przez specjalistów w hemofilii.	Zalecano leczenie powikłań stawowych i dostęp do ortopedii i fizjoterapii, bez wymogu regularnych, standaryzowanych ocen.	★★★★ Dostęp do fizjoterapii dla osób z hemofilią – zwłaszcza dorosłych pacjentów z zaawansowanymi zmianami ortopedycznymi – jest w Polsce poważnie ograniczony. Tylko nieliczne ośrodki oferują kompleksową i regularną rehabilitację dostosowaną do specyficznych potrzeb tej grupy chorych.
11. Leczenie chorób współistniejących i powikłań specyficznych Postępowanie z powikłaniami i chorobami współistniejącymi – np. HCV, HIV, nowotwory, osteoporoza, starzenie się populacji. Opieka powinna być zintegrowana z leczeniem hemofilii.	Wspomniano o konieczności leczenia chorób współistniejących (np. HCV, HIV), ale brakowało szerszego podejścia do chorób przewlekłych, nowotworów, starzenia się populacji i integracji opieki.	★★★★ Pacjenci z hemofilią często mają trudności z uzyskaniem odpowiedniego leczenia schorzeń niezwiązanych bezpośrednio z chorobą podstawową. Ośrodki leczenia hemofilii nie oferują obecnie zintegrowanej, interdyscyplinarnej opieki – chorzy są często kierowani na oddziały ratunkowe lub zmuszeni do samodzielnego organizowania konsultacji z innymi specjalistami.
12. Ocena wyników leczenia i jego skuteczności (ABR, PROMs, HJHS itp.) Ocena wyników leczenia powinna obejmować ABR, narzędzia oceny funkcjonalnej (HJHS, HEAD-US), jakość życia (QoL), dane raportowane przez pacjentów (PROMs), z wykorzystaniem modelu ICF WHO.	Ocena skuteczności opierała się głównie na wskaźnikach zużycia czynników krzepnięcia i częstości krwawień; brakowało narzędzi takich jak ABR, PROMs, HJHS i model ICF WHO.	★★★★ Mierniki oceny wyników leczenia przestarzałe odnoszące się m.in. do liczby pacjentów, którym wydano karty postępowania, średnie roczne zużycie produktów leczniczych na mieszkańca kraju, w szczególności koncentrat czynnika VIII oraz koncentrat czynnika IX. Brak takich mierników jak ABR, HJHS, PROMs.

★★★★ – pełna realizacja, ★★★★★ – częściowa realizacja, opracowanie własne na podstawie, ★★★★★ – brak realizacji [11, 12, 75], ABR – Roczna częstość krwawień (ang. *Annual Bleeding Rate*), HCV – Wirus zapalenia wątroby typu C (ang. *Hepatitis C Virus*), HEAD-US – Wczesne wykrywanie zmian zwyrodnieniowych w stawach za pomocą USG (ang. *Hemophilia Early Arthropathy Detection with Ultrasound*), HIV – Wirus niedoboru odporności człowieka (ang. *Human Immunodeficiency Virus*), HJHS – Skala oceny stanu stawów u chorych na hemofilię (ang. *Hemophilia Joint Health Score*), ICF WHO – Międzynarodowa Klasyfikacja Funkcjonowania, Niepełnosprawności i Zdrowia, WHO (ang. *International Classification of Functioning, Disability and Health, World Health Organization*), ITI – Indukcja Tolerancji Immunologicznej (ang. *Immune Tolerance Induction*), PROMs – Mierniki wyników zgłaszane przez pacjentów (ang. *Patient-Reported Outcome Measures*), QoL – Jakość życia (ang. *Quality of Life*), SOR – Szpitalny Oddział Ratunkowy, WFH – Światowa Federacja Hemofilii (ang. *World Federation of Hemophilia*)

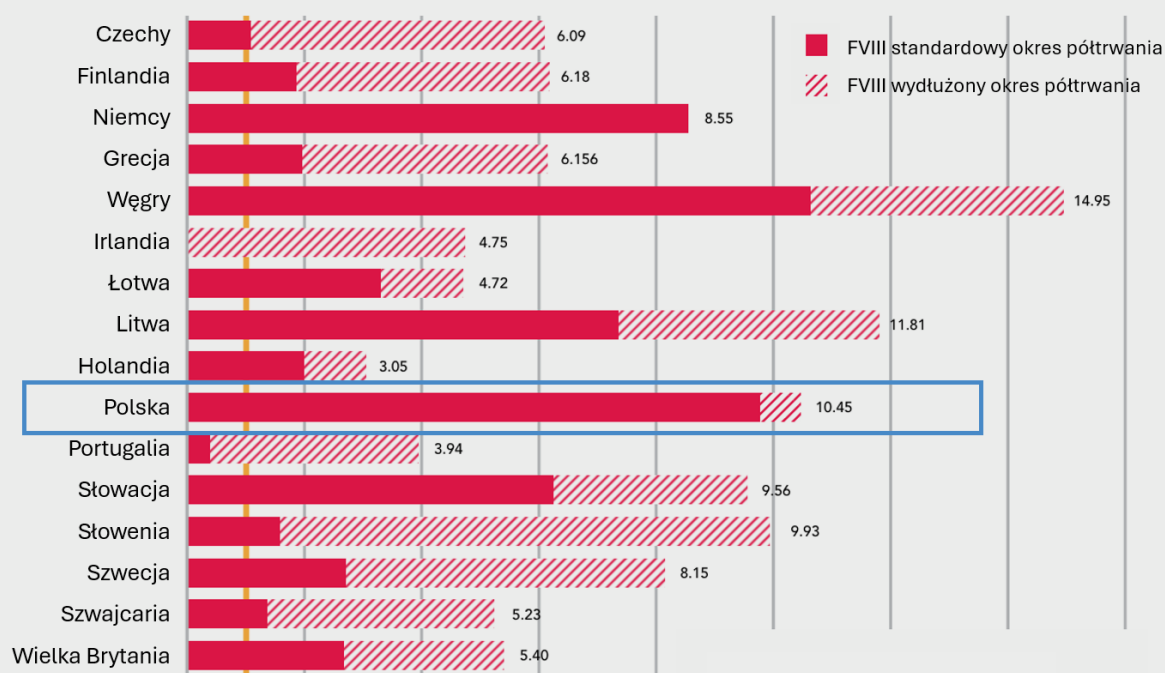
HEMOFILIA I WYKORZYSTANIE CZYNNIKÓW KRZEPNIĘCIA W EUROPIE

Ocena intensywności leczenia w krajach Europy

Sytuacja organizacyjna leczenia hemofilii w Polsce stoi na wysokim poziomie i w wielu aspektach dorównuje standardom obowiązującym w krajach Europy Zachodniej. System opieki nad pacjentami z hemofilią obejmuje nie tylko zapewnienie dostępu do leczenia farmakologicznego, ale również odpowiednie wsparcie organizacyjne i logistyczne. W Polsce funkcjonują m.in. domowe dostawy leków, które znacząco zwiększają wygodę i bezpieczeństwo terapii, zwłaszcza dla dzieci i osób z ograniczoną mobilnością. Zorganizowany jest również system utylizacji zużytego sprzętu medycznego, co wpływa na komfort pacjenta i spełnia wymogi sanitarne. Ponadto pacjenci objęci są opieką wyspecjalizowanych ośrodków leczenia hemofilii, w ramach których dostępna jest także opieka pielęgniarska i wsparcie edukacyjne [52]. Taki model postępowania wpisuje się w dobre praktyki europejskie, w których leczenie hemofilii ma charakter kompleksowy i interdyscyplinarny.

Mimo dobrze rozwiniętej opieki nad pacjentami, dostęp do nowoczesnych terapii w Polsce wciąż pozostaje ograniczony. Uznany miernikiem poziomu tego rozwoju jest wskaźnik zużycia czynników krzepnięcia VIII i IX, wyrażony w jednostkach międzynarodowych na mieszkańca (IU *per capita*). Jego wartość odzwierciedla faktyczny poziom opieki – wysoki wskaźnik wskazuje na szeroki dostęp do terapii, powszechne stosowanie profilaktyki oraz dobrą organizację systemu opieki nad pacjentami z zaburzeniami krzepnięcia [91].

Zgodnie z raportem Światowej Federacji Hemofilii (ang. *World Federation of Hemophilia*, WFH) opublikowanym w 2024 roku, Polska wypada słabo pod względem stosowania innowacyjnych leków *per capita*: ilość zużytych jednostek FVIII o wydłużonym okresie półtrwania w Polsce jest wyraźnie najniższa wśród krajów europejskich o wysokim dochodzie narodowym brutto (nie licząc Niemiec, gdzie się go nie stosuje wcale). Równie źle wygląda zużycie czynnika krzepnięcia FIX, gdyż Polska należy do kilku bardzo nielicznych krajów (współ z Litwą, Łotwą i Węgrami), które notują jego stosowanie na zerowym poziomie [2]. Dokładne ilości jednostek zużytych *per capita* w krajach europejskich o wysokim dochodzie narodowym brutto przedstawiają poniższe rysunki (FVIII oraz FIX odpowiednio Rysunek 21 oraz Rysunek 22).

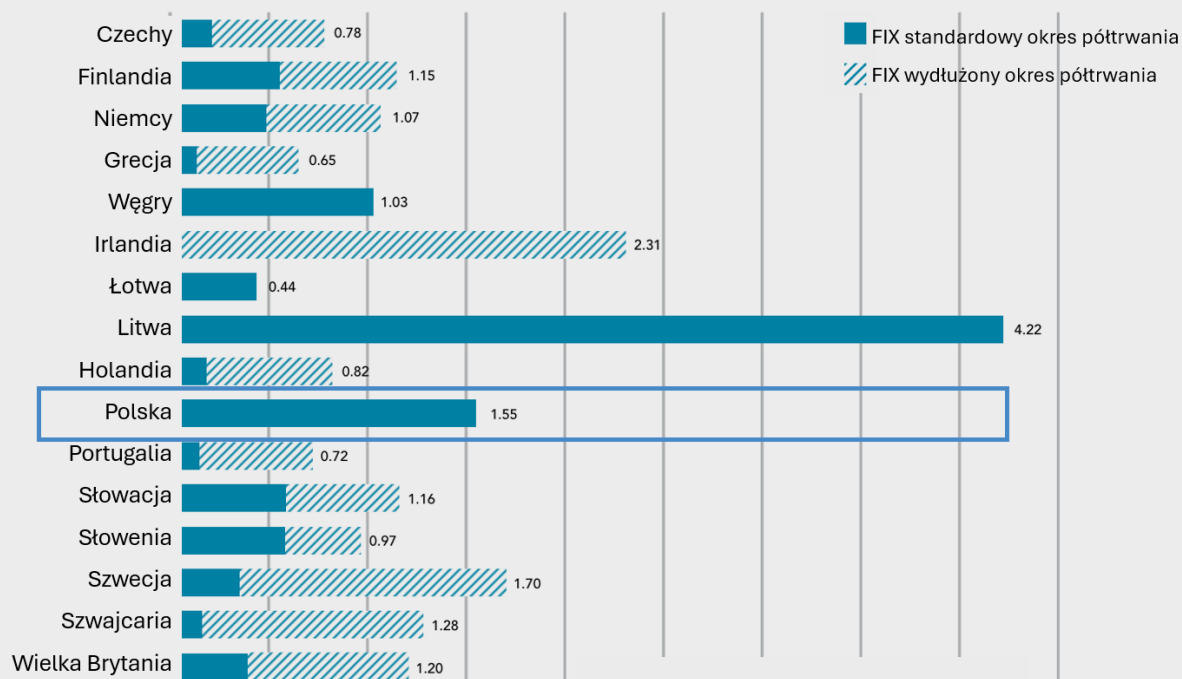


Rysunek 21. Zużycie czynnika krzepnięcia FVIII w IU *per capita* w krajach europejskich o wysokim dochodzie narodowym brutto [2]

Polska zajmuje wysokie trzecie miejsce, jeśli chodzi o ilość zużycia FVIII w przeliczeniu na mieszkańca: 10,45 IU. Niestety, profilaktyka ta prowadzona jest prawie wyłącznie z zastosowaniem standardowych preparatów.

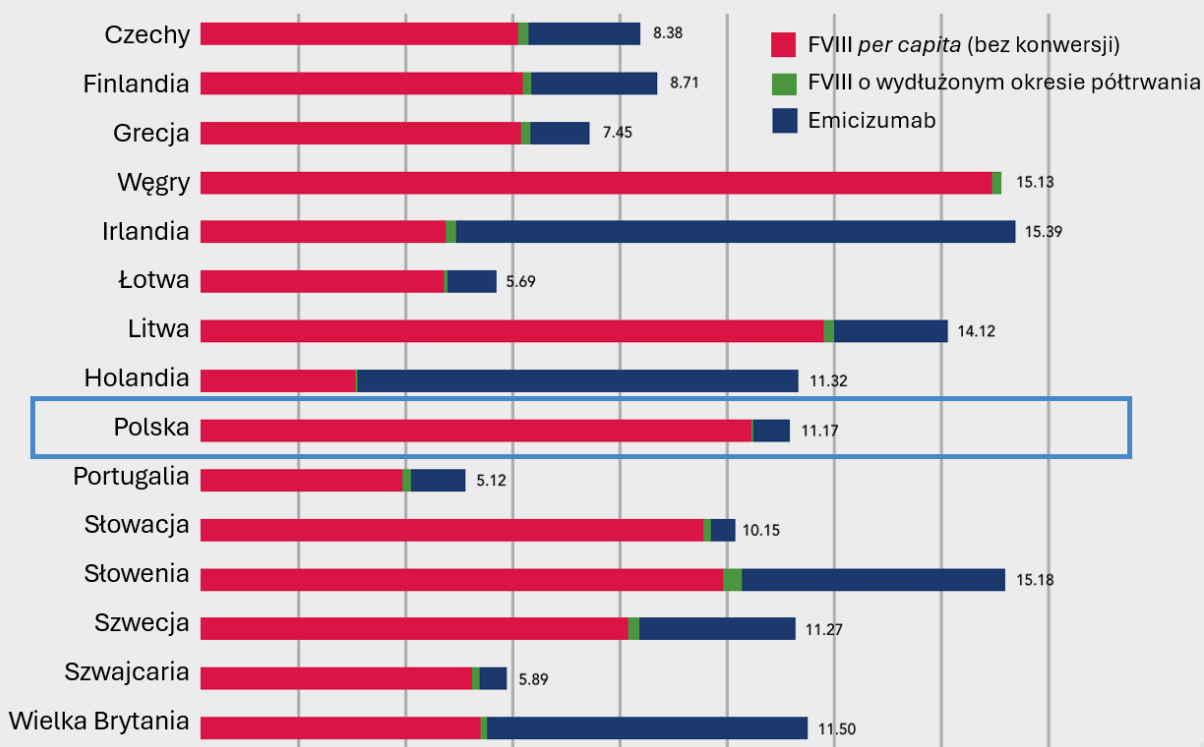
W większości krajów europejskich widać natomiast wyraźny trend odwrotny: preparaty o przedłużonym działaniu mają zdecydowaną większość udziału w puli czynników krzepnięcia stosowanych u pacjentów.

Taka sama sytuacja rysuje się na schemacie obrazującym zużycie czynnika FIX: ilość jednostek preparatu *per capita* jest wysoka, niestety profilaktyka hemofilii B jest w Polsce, odwrotnie niż w reszcie krajów, oparta praktycznie wyłącznie o czynniki ze standardowym czasem półtrwania (Rysunek 22).



Rysunek 22. Zużycie czynnika krzepnięcia FIX w IU *per capita* w krajach europejskich o wysokim dochodzie narodowym brutto [2]

Samo określenie poziomu zużycia koncentratów czynników krzepnięcia *per capita*, choć stanowi przydatny wskaźnik dostępności leczenia, nie oddaje w pełni rzeczywistego obrazu opieki nad osobami z hemofilią. Wskaźnik ten nie uwzględnia bowiem różnic pomiędzy preparatami o standardowym czasie półtrwania a nowoczesnymi terapiami o przedłużonym działaniu czy lekami niereplikatywnymi, takimi jak emicizumab. Dopiero zastosowanie odpowiednich przeliczników – tzw. konwersji – pozwala sprowadzić wszystkie formy terapii do wspólnego mianownika i uzyskać bardziej precyzyjną ocenę intensywności leczenia w danym kraju. Rysunek 23 przedstawia ilościowo-jakościową ocenę stopnia wdrożenia profilaktyki hemofilii A w wybranych krajach Europy, opartą o wykonaną konwersję.



Rysunek 23. Zużycie czynnika krzepnięcia FVIII w IU *per capita* w krajach europejskich o wysokim dochodzie narodowym brutto, z uwzględnieniem konwersji [2]

Na podstawie powyższych danych widać, że w Polsce profilaktyka hemofilii A opiera się niemal wyłącznie na standardowych koncentratów czynnika krzepnięcia. Zastosowanie FVIII o wydłużonym półtrwaniu oraz emicizumabu są minimalne, wręcz symboliczne.

Łączne zużycie czynnika VIII po konwersji wynosi w Polsce 11,17 IU *per capita*, co plasuje nasz kraj w czołówce państw europejskich pod względem dostępności leczenia. Tak wysoki poziom zużycia wskazuje na dobrze rozwinięty system opieki nad pacjentami z hemofilią A i szeroki dostęp do terapii substytucyjnej. Struktura terapii jest jednak bardzo konserwatywna, oparta głównie na starszych technologiach.

W porównaniu do krajów takich jak Holandia, Szwecja czy Wielka Brytania, Polska wypada porównywalnie ilościowo, ale słabiej jakościowo, jeśli chodzi o nowoczesność stosowanych terapii.

Dostępność innowacyjnych terapii

Najnowocześniejszą i najskuteczniejszą formę profilaktyki krwawień u pacjentów z hemofilią A – zarówno z inhibitorem czynnika VIII, jak i bez niego, jest emicizumab. Jest to rekombinowane przeciwciało monoklonalne, które naśladuje funkcję czynnika VIII poprzez łączenie aktywowanych czynników IX i X, wspierając kaskadę krzepnięcia krwi [54]. Dzięki unikalnemu mechanizmowi działania oraz wygodnemu podawaniu podskórnemu, emicizumab znacząco poprawia jakość życia pacjentów i stanowi standard leczenia rekomendowany przez międzynarodowe wytyczne, w tym Światową Federację Hemofilii [55,56].

Emicizumab, jako innowacyjna terapia profilaktyczna w hemofilii A, wykazał w badaniach klinicznych istotnie wyższą skuteczność w porównaniu z koncentratami czynnika VIII. W badaniach z serii HAVEN 1-4 aż 70% pacjentów leczonych tym preparatem nie doświadczyło żadnych krwawień, a średni roczny wskaźnik krwawień (ang. *annual bleeding rate*, ABR) utrzymywał się poniżej 1 [57-60].

Lek ten zatwierdzony jest do leczenia osób w każdym wieku chorych na hemofilię A z zastosowaniem inhibitorów czynnika VIII w ponad 110 krajach oraz bez inhibitorów czynnika VIII w ponad 95 [53]. Wg Raportu WHF, w 2023 roku emicizumab był stosowany przez 90 krajów, u 2 915 pacjentów z inhibitorem oraz u 6 187 pacjentów bez inhibitora (zaraportowano łącznie 58 mln mg zużytego leku). Pacjenci z inhibitorem leczeni w Europie stanowili 23%, a bez inhibitora - 46% wszystkich leczonych [2]. Według Wnioskodawcy, Hemlibra (150 mg/ml, 1 ml) jest refundowana w 24 z 30 krajów UE i EFTA, w tym w 8 z 9 o PKB zbliżonym do Polski. Inne postacie leku (150 mg/ml – 0,7 ml i 0,4 ml oraz 30 mg/ml – 1 ml) są refundowane w 25 z 30 krajów, w tym we wszystkich 9 o podobnym PKB. Wariant 30 mg/ml (0,4 ml) refundowany jest tylko w 9 krajach, w tym w jednym o zbliżonym PKB [61].

W Polsce emicizumab jest refundowany w ściśle określonych wskazaniach, w ramach programu lekowego B.15. jako profilaktyka pierwotna:

- u dzieci od 1. dnia życia z zachowaniem ciągłości leczenia do ukończenia 18. roku życia, z ciężką postacią hemofilii A (FVIII < 1%);
- pierwotna profilaktyka krwawień nowozdiagnozowanych dzieci z ciężką postacią hemofilii A, wcześniej nie leczonych czynnikami krzepnięcia osoczopochodnymi (ludzkimi), u których wystąpiło nie więcej niż jedno krwawienie dostawowe, rozpoczęta do 3. roku życia;
- dla dzieci od 1. dnia życia z zachowaniem ciągłości leczenia do ukończenia 18. roku życia, z umiarkowaną postacią hemofilii A, o poziomie aktywności czynników krzepnięcia VIII > 1% i ≤ 5% normy z ciężkim fenotypem krwotocznym definiowanym jako ogólna liczba krwawień w ciągu 12 miesięcy ≥ 5 i/lub liczba krwawień do stawów ciągu 12 miesięcy ≥ 3; [46]

oraz jako profilaktyka wtórna:

- u dzieci od 1. dnia życia do ukończenia 18. roku życia, po wystąpieniu więcej niż jednego krwawienia do stawów;
- dla dzieci od 1. dnia życia z zachowaniem ciągłości leczenia do ukończenia 18. roku życia, z umiarkowaną postacią hemofilii A, o poziomie aktywności czynników krzepnięcia VIII > 1% i ≤ 5% normy z ciężkim fenotypem krwotocznym definiowanym jako ogólna liczba krwawień w ciągu 12 miesięcy ≥ 5 i/lub liczba krwawień do stawów ciągu 12 miesięcy ≥ 3. [46]

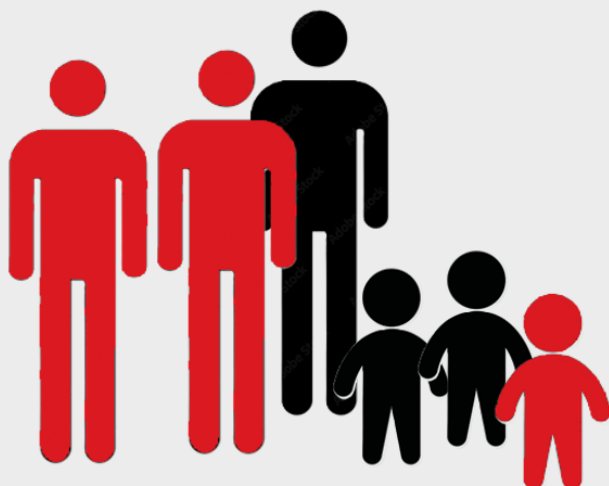
Decyzją Prezesa AOTMiT, emicizumab nie otrzymał rekomendacji do refundacji dla pacjentów dorosłych bez inhibitora [92].

Dostępne są dane pochodzące z rzeczywistej praktyki klinicznej (ang. *real-world evidence*, RWE), zebranymi w ramach wieloośrodkowego badania w sześciu ośrodkach leczenia hemofilii w Polsce. Pozwalają one lepiej zrozumieć rzeczywiste potrzeby pacjentów, sposoby prowadzenia terapii oraz potencjalne luki w dostępie do nowoczesnych leków, których nie widać w samych badaniach rejestracyjnych.

Z badania opublikowanego przez Open Pharma House, dotyczącego polskich pacjentów z ciężką hemofilią typu A bez inhibitora dowiadujemy się, że epizody krwawień wymagające leczenia miały

w ciągu ostatnich 12 miesięcy co trzeci pacjent pediatryczny (w 38% przypadkach były to krwawienia dostawowe), oraz dwóch na trzech pacjentów dorosłych (Rysunek 24). Artropatia hemofilowa występuje u 8% pacjentów pediatrycznych i aż u 90% pacjentów dorosłych – ci ostatni doświadczają też epizodów krwawień zagrażających życiu, które raportowało 39% badanych >18 r.ż. [23].

Pacjenci z ciężką hemofilią A bez inhibitora



Epizody krwawień wymagające leczenia miał w ciągu ostatnich 12 miesięcy co trzeci pacjent pediatryczny oraz dwóch na trzech pacjentów dorosłych z tej grupy!

Rysunek 24. Częstość poważnych epizodów krwawień u pacjentów z ciężką hemofilią A bez inhibitora [23]

Profesor Windyga opublikował wyniki otrzymane po wdrożeniu profilaktyki emicizumabem w przytoczonej populacji pacjentów pełnoletnich: innowacyjny lek miał korzystny profil skuteczności w porównaniu z wcześniej stosowanymi środkami omijającymi u 34 dorosłych pacjentów z hemofilią A powikłaną inhibitorem FVIII [90]. Emicizumab doprowadził u nich do znacznej redukcji częstości krwawień w ciągu roku: z 24 do 0,28 ($p < 0,0001$).

Bardzo korzystne wyniki kliniczne niesie też publikacja Organizacji Lekarzy Centrum Hemofilii w Wielkiej Brytanii (ang. *UK Haemophilia Centre Doctors' Organisation*, UKCDO): po zastosowaniu emicizumabu u pacjentów z ciężką hemofilią A bez inhibitora, odsetki chorych bez ani jednego krwawienia wyniosły aż 80% u dzieci i 65% u dorosłych. W analizie podgrup pacjentów, którzy nadal zgłaszali krwawienia po rozpoczęciu terapii, również odnotowano istotne statystycznie spadki liczby epizodów krwawień. Dodatkowo, liczba tzw. „stawów docelowych” (czyli stawów, w które występują nawracające wylewy) zmniejszyła się w sposób istotny u pacjentów leczonych emicizumabem w porównaniu z kontynuacją profilaktyki koncentratami FVIII [59]. Wielka Brytania należy do tych krajów europejskich, w których zastosowanie wysoce innowacyjnych terapii w hemofilii jest bardzo duże (patrz: Rysunek 23). Badanie RWE przeprowadzone przez badaczy z UKCDO tylko potwierdziło, że efekty kliniczne takiego postępowania są niepodważalnie korzystne dla pacjentów – po 113 tygodniach obserwacji mediana ABR zarówno u pacjentów pediatrycznych, jak i dorosłych wyniosła 0. U tych chorych, którzy doświadczali krwawień po przejściu na emicizumab, notowano ABR na poziomie 1,1 oraz 1,3 odpowiednio u dzieci i u dorosłych (przed zmianą leku było to odpowiednio 2,2 oraz 4,5 krwawienia rocznie) [63].

Niestety, ze względu na znacznie wyższe koszty emicizumabu w porównaniu z koncentratami FVIII, preparat ten nie jest w Polsce stosowany u dorosłych pacjentów z hemofilią A niepowikłaną inhibitorem.

WYNIKI BADANIA ANKIETOWEGO PACJENTÓW

Wyniki ankiety wśród dorosłych pacjentów

Aktywność zawodowa



- 84% pacjentów jest zatrudnionych/samozatrudnionych
- 47% średni spadek produktywności pacjentów podczas pracy
- 53% pacjentów musiało zredukować czas pracy
- 45% opiekunów musiało zrezygnować lub zredukować czas pracy
- 53% pacjentów korzystało z urlopu w związku z hemofilią
- 32% opiekunów korzystało z urlopu w związku z chorobą bliskiego
- 59% pacjentów korzystało ze zwolnienia lekarskiego w związku z hemofilią
- 26% opiekunów korzystało ze zwolnienia lekarskiego nad bliskim



- 17 dni średnia długość urlopu pacjenta wykorzystana z powodu choroby
- 16 dni średnia długość zwolnienia lekarskiego pacjenta
- 12 dni średnia długość urlopu opiekuna z powodu choroby bliskiego
- 10 dni średnia długość zwolnienia lekarskiego opiekuna

Ekonomiczne konsekwencje hemofilii i leczenia



- 4 średnia liczba wizyt związanych z podaniem leku
- 72 km średnia odległość miejsca zamieszkania pacjenta od ośrodka (3% pacjentów dojeżdża ponad 350 km)



- 102 zł średni koszt dojazdu do ośrodka
(Tylko 6% pacjentów nie ponosi kosztów dojazdu do ośrodka, a dla 3% pacjentów koszt ten przekracza 350 zł)
- 48 zł średnie dodatkowe koszty związane z wizytą w ośrodku.
(Dla 3% pacjentów koszty te przekraczały 350 zł)
- 108 zł wartość utraconych zarobków z powodu wizyty w ośrodku
(Dla 6% pacjentów wartość ta przekraczała 500 zł)
- 82 zł wartość utraconych zarobków opiekuna z powodu wizyty bliskiej osoby w ośrodku
- 286 zł prywatne wydatki medyczne pacjenta związane z hemofilią

Psychologiczne konsekwencje choroby



- 94% pacjentów ma ograniczony wybór form spędzenia wolnego czasu
- 77% pacjentów ma ból utrudniający codzienne funkcjonowanie
- 65% pacjentów ma gorsze samopoczucie
- 61% pacjentów ma lęk wynikający z obawy przed krwawieniami

Rysunek 25. Podsumowanie wyników ankiety wśród dorosłych pacjentów

Wyniki ankiety wśród dzieci

Aktywność zawodowa opiekunów



50% opiekunów musiało zrezygnować z pracy z powodu choroby dziecka

32% opiekunów musiało zredukować czas pracy

37% opiekunów korzystało ze świadczenia opieki nad dzieckiem

42% opiekunów korzystało z urlopu w związku z chorobą bliskiego

16% opiekunów korzystało ze zwolnienia lekarskiego nad bliskim



13 dni średnia długość świadczenia opieki nad dzieckiem

8 dni średnia długość urlopu opiekuna z powodu choroby bliskiego

12 dni średnia długość zwolnienia lekarskiego opiekuna

Ekonomiczne konsekwencje hemofilii i leczenia



4 średnia liczba wizyt związanych z podaniem leku

61 km średnia odległość miejsca zamieszkania pacjenta od ośrodka



96 zł średni koszt dojazdu do ośrodka

(Dla 3% opiekunów koszt ten przekracza 350 zł)

45 zł średnie dodatkowe koszty związane z wizytą w ośrodku.

(Dla 3% opiekunów koszty te przekraczały 350 zł)

75 zł wartość utraconych zarobków z powodu wizyty w ośrodku

(Dla 8% opiekunów wartość ta przekraczała 500 zł)

165 zł prywatne wydatki medyczne opiekunów związane z chorobą dziecka

Psychologiczne konsekwencje choroby



55% dzieci ma ograniczony wybór form spędzenia wolnego czasu

34% dzieci ma utrudniony kontakt z rówieśnikami

24% ma ból utrudniający codzienne funkcjonowanie

24% dzieci ma depresję / gorsze samopoczucie

79% opiekunów chorych dzieci odczuwa lęk zdrowie dziecka

50% opiekunów ma ograniczony wybór form spędzenia wolnego czasu

Rysunek 26. Podsumowanie wyników ankiety wśród dzieci

Hemofilia, choć należy do rzadkich chorób genetycznych, pozostaje jednym z najpoważniejszych zaburzeń krzepnięcia krwi, diagnozowanych w Polsce i na świecie. Jej konsekwencje wykraczają daleko poza aspekt medyczny – wpływają nie tylko na zdrowie fizyczne i psychiczne pacjentów, ale również na ich życie rodzinne, zawodowe, społeczne oraz sytuację ekonomiczną. Współczesne podejście do

opieki nad osobami z hemofilią coraz częściej uwzględnia właśnie te pozamedyczne czynniki, które w istotny sposób kształtują jakość życia chorych i efektywność stosowanych terapii.

W odpowiedzi na potrzebę całościowego spojrzenia na doświadczenia osób z hemofilią przeprowadzono badanie ankietowe. Jego celem była nie tylko analiza obrazu klinicznego i przebiegu leczenia, lecz przede wszystkim ocena szerokich kosztów społecznych choroby – obejmujących ograniczenia w aktywności zawodowej, wpływ na życie rodzinne i społeczne, obciążenia ekonomiczne oraz konsekwencje psychologiczne. Takie ujęcie pozwala lepiej zrozumieć, że hemofilia to nie wyłącznie problem medyczny, lecz również istotne wyzwanie społeczne i systemowe.

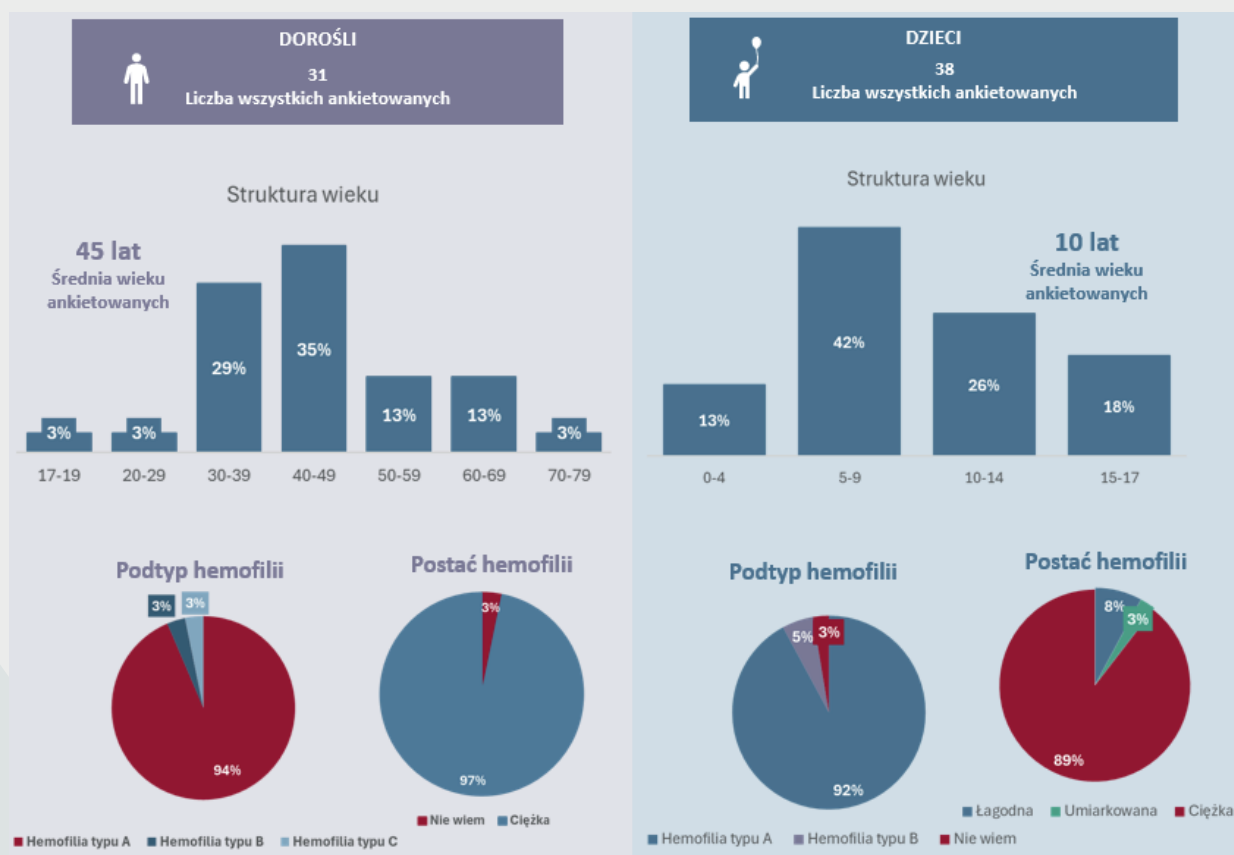
Charakterystyka badanej populacji

Badanie zostało przeprowadzone w formie anonimowego kwestionariusza internetowego, skierowanego do dorosłych pacjentów z hemofilią oraz opiekunów dzieci dotkniętych tą chorobą. Łącznie zebrano 31 kwestionariuszy od osób dorosłych oraz 38 dotyczących dzieci. Średni wiek uczestników wynosił odpowiednio 45 lat w grupie dorosłych i 10 lat w grupie pediatrycznej.

W obu analizowanych grupach dominowała hemofilia typu A – stwierdzono ją u ponad 90% respondentów. Zarówno u dorosłych, jak i u dzieci najczęściej występowała ciężka postać choroby (97% w grupie dorosłych i 89% w grupie dzieci).

Analiza organizacji leczenia wykazała, że 97% dorosłych pacjentów było objętych Narodowym Programem Leczenia Chorych na Hemofilię, natomiast 3% nie miało świadomości, czy uczestniczy w tym programie. W przypadku dzieci 79% leczono w ramach NPLH, a pozostałe 21% – w ramach programu lekowego B.15.

Charakterystyka badanej populacji



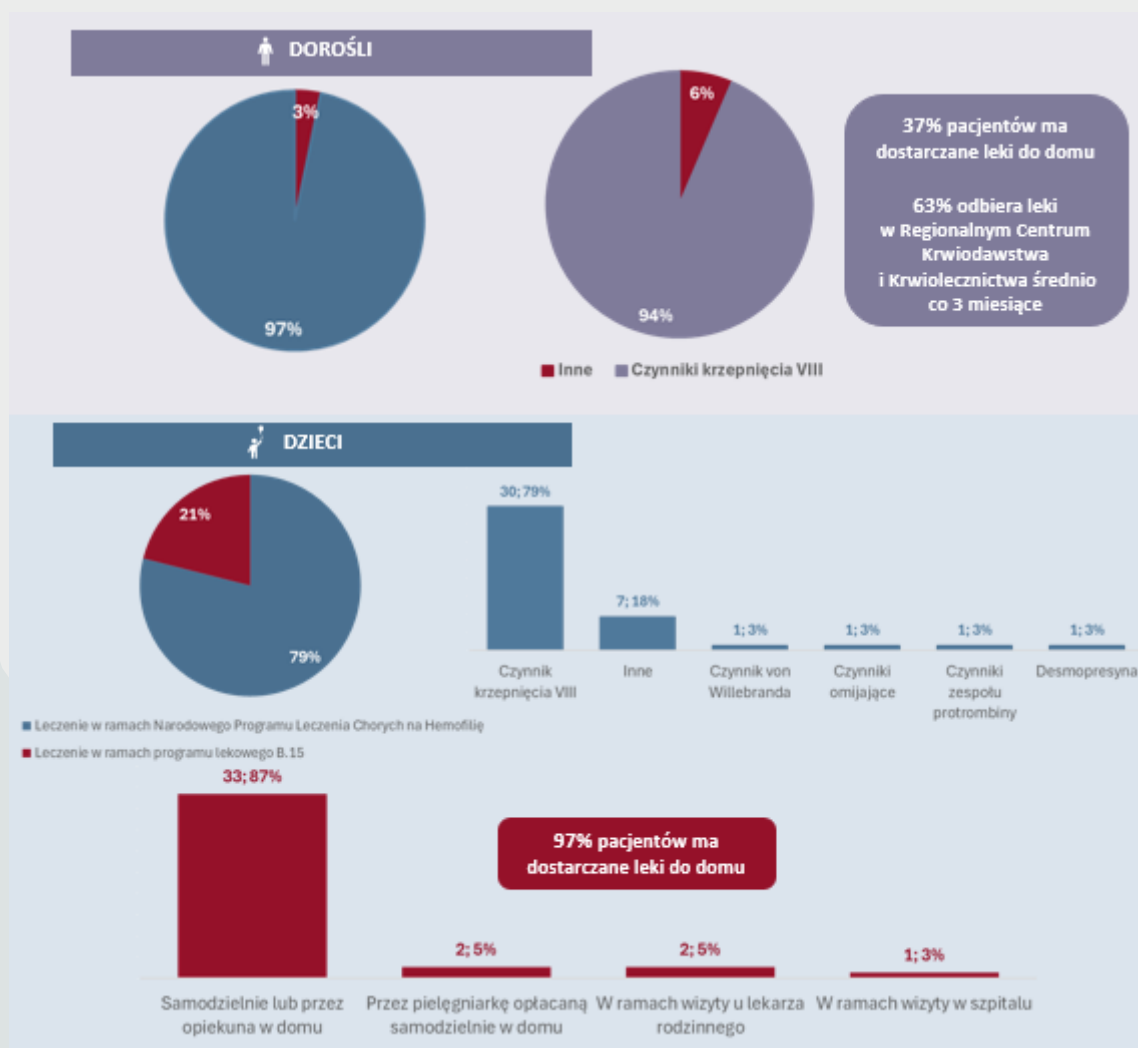
Rysunek 27. Charakterystyka badanej populacji

W analizowanej grupie dorosłych aż 94% pacjentów otrzymywało czynnik krzepnięcia VIII, a 97% podawało go samodzielnie lub z pomocą opiekuna w domu. Tylko 37% miało możliwość korzystania z dostawy leków do domu, podczas gdy pozostali musieli je odbierać w Regionalnym Centrum Krwiodawstwa i Krwiolecznictwa (średnio co 3 miesiące).

W przypadku dzieci odsetek pacjentów leczonych czynnikiem VIII był nieco niższy (73%), jednak niemal wszystkie (97%) korzystały z dostawy leków do domu, co znacznie odróżnia tę grupę od dorosłych. Najczęściej to rodzice podawali lek w domu (87% dzieci), rzadziej leczenie odbywało się przy pomocy pielęgniarki opłaconej prywatnie (5%) lub lekarza (5%).

Zestawiając obie grupy, widać wyraźną różnicę: dzieci miały zdecydowanie lepszy dostęp do domowych dostaw leków. Wyniki sugerują, że system opieki pediatrycznej jest lepiej zorganizowany pod względem logistyki leczenia, podczas gdy u dorosłych skutki choroby są bardziej nasilone i prowadzą do poważniejszych powikłań.

Leczenie stosowane leczeniu hemofilii



Rysunek 28. Leczenie stosowane leczeniu hemofilii

Powikłania hemofilii i ich następstwa kliniczne

Hemofilia, szczególnie w postaci ciężkiej, wiąże się z licznymi powikłaniami, które w sposób istotny wpływają na jakość życia chorych. Wieloletnie, nawracające krwawienia dostawowe prowadzą do nieodwracalnych zmian w układzie ruchu, powodując przewlekły ból, ograniczenia sprawności i konieczność interwencji chirurgicznych. Oprócz problemów somatycznych chorzy często zmagają się również z konsekwencjami psychicznymi oraz powikłaniami wynikającymi z samego leczenia.

W badanej grupie dorosłych pacjentów aż 97% wskazało na występowanie artropatii hemofilowej, będącej najczęstszym i najbardziej obciążającym powikłaniem choroby. Niepełnosprawność ruchową deklarowało 81% respondentów, co potwierdza istotne ograniczenia funkcjonalne związane z przewlekłymi uszkodzeniami stawów. 26% pacjentów doświadczyło zakażeń związanych z podawaniem preparatów krwiopochodnych, a 16% – epizodów depresyjnych, co podkreśla wielowymiarowy charakter konsekwencji hemofilii.

Najczęściej wykonywane zabiegi u dorosłych chorych z powodu krwawień

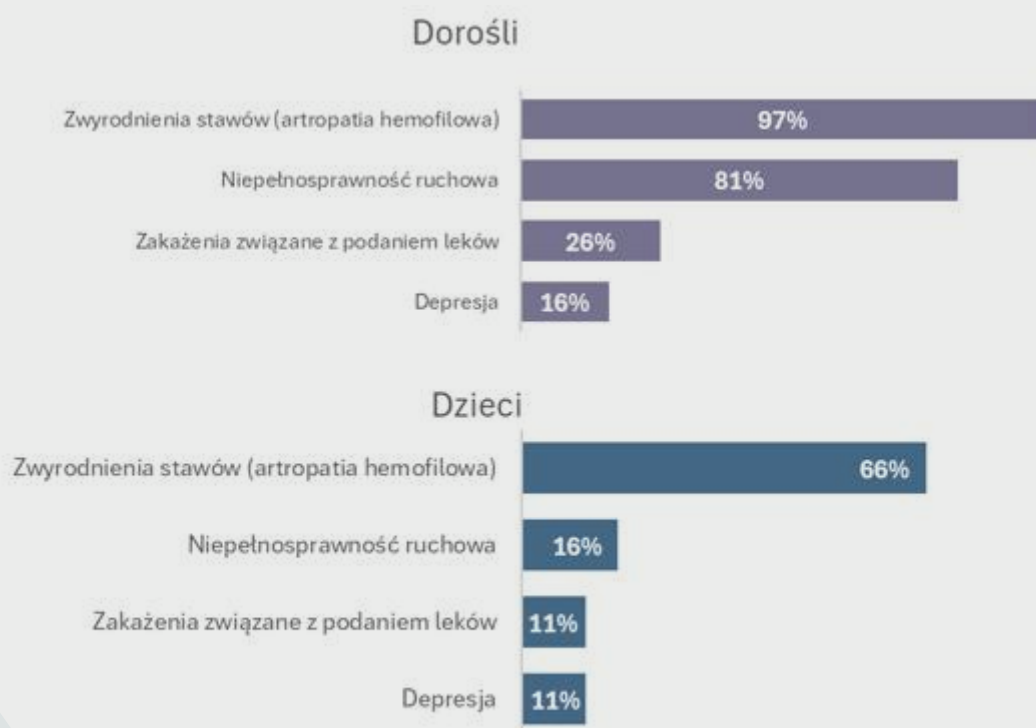


Wykres 21. Najczęściej wykonywane zabiegi u dorosłych chorych z powodu krwawień

Wśród dzieci obraz powikłań przedstawiał się zdecydowanie łagodniej niż u dorosłych. Najczęściej rozpoznawaną komplikacją była artropatia hemofilowa, jednak dotyczyła ona jedynie 16% badanych. Aż 66% dzieci nie zgłaszało żadnych powikłań, co podkreśla korzystny wpływ wczesnego rozpoznania i współczesnych schematów profilaktycznego leczenia. Niepełnosprawność ruchową odnotowano u 11% pacjentów pediatrycznych, a podobny odsetek (11%) doświadczał zakażeń związanych z podawaniem koncentratów czynnika krzepnięcia.

W porównaniu z dorosłymi pacjentami, u których niemal powszechnie występuje artropatia i konieczność zabiegów chirurgicznych, dane te wskazują na znaczący postęp w terapii najmłodszych chorych. Wczesne wdrożenie leczenia profilaktycznego ogranicza rozwój przewlekłych zmian stawowych i pozwala utrzymać dzieci z hemofilią w lepszej kondycji funkcjonalnej.

Najczęstsze powikłania hemofilii



Wykres 22. Powikłania hemofilii

Zebrane dane wyraźnie pokazują, że powikłania hemofilii stanowią kluczowy problem kliniczny i znacząco determinują codzienne funkcjonowanie pacjentów. Artropatia hemofilowa i wynikająca z niej niepełnosprawność ruchowa dotyczą zdecydowanej większości dorosłych chorych i są główną przyczyną konieczności leczenia operacyjnego. Ponadto obecność zakażeń oraz objawów depresyjnych wskazuje na potrzebę kompleksowej opieki nad pacjentami – nie tylko w wymiarze ortopedycznym i hematologicznym, ale również psychologicznym i rehabilitacyjnym.

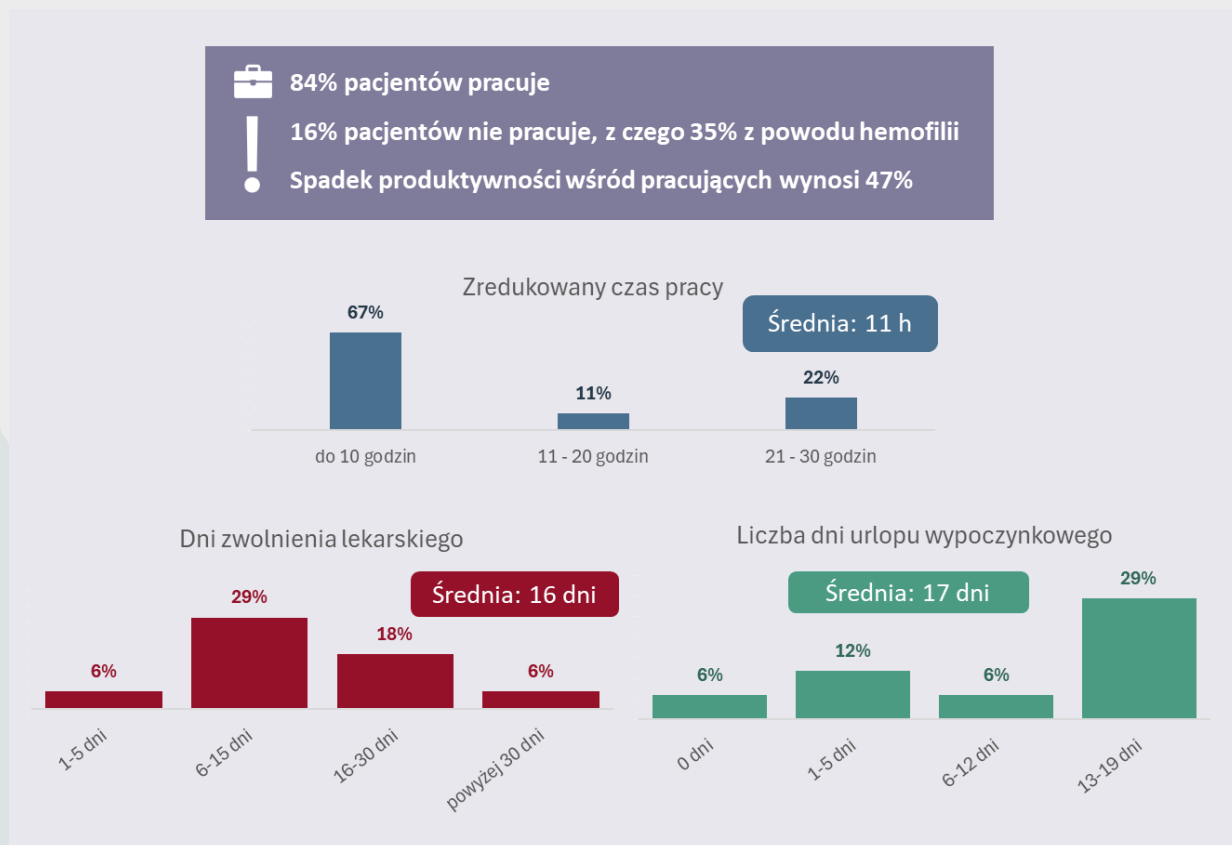
Wpływ choroby i leczenia na aktywność zawodową oraz życie społeczne

Przeprowadzone badanie wykazało, że hemofilia w znacznym stopniu ogranicza aktywność zawodową i życie społeczne dorosłych pacjentów. Znaczna część respondentów pozostaje zależna od systemu świadczeń – ponad połowa, bo 58% pobiera rentę, a dodatkowe 10% korzysta z zasiłków. Tylko co trzeci pacjent (32%) funkcjonuje bez wsparcia finansowego, co pokazuje silny wpływ choroby na zdolność do samodzielnego utrzymania się. Obciążenia wynikające z choroby przekładają się także na życie domowe. Aż 81% badanych ograniczyło wykonywanie obowiązków w gospodarstwie domowym, co w przeliczeniu oznacza średnio 17 godzin mniej aktywności tygodniowo.

Hemofilia w istotny sposób rzutuje również na pracę zawodową. Choć 84% pacjentów dorosłych pozostaje aktywnych zawodowo, to ich produktywność zmniejszyła się niemal o połowę – średnio o 47%. Ponad połowa zatrudnionych (53%) była zmuszona do redukcji czasu pracy, średnio o 11 godzin tygodniowo. Dodatkowo 59% pacjentów korzystało ze zwolnień lekarskich, spędzając przeciętnie

16 dni w roku poza miejscem pracy z powodu choroby. Hemofilia wymusza także wykorzystywanie urlopu wypoczynkowego w celach zdrowotnych – ponad połowa badanych (53%) przeznaczała na to średnio 17 dni w roku. Zebrane dane wskazują jednoznacznie, że hemofilia nie tylko wpływa na sytuację ekonomiczną pacjentów, ograniczając ich aktywność zawodową, ale także istotnie zmienia codzienne funkcjonowanie w sferze rodzinnej i społecznej.

Wpływ choroby na życie zawodowe dorosłych pacjentów

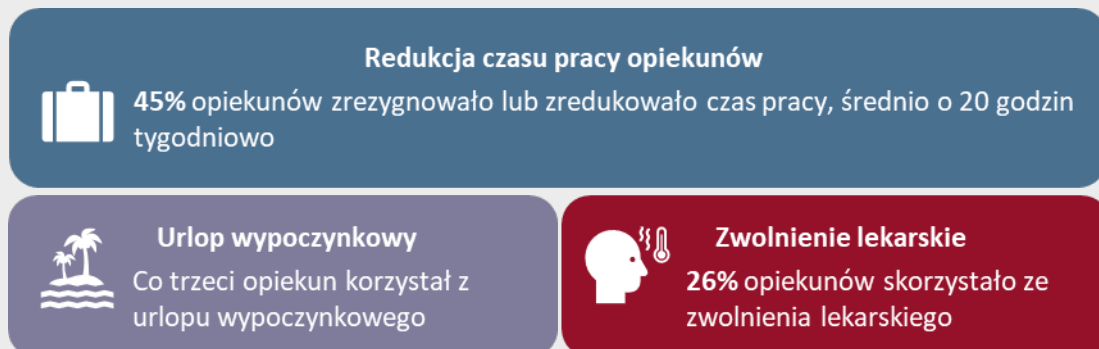


Rysunek 29. Wpływ choroby na życie zawodowe dorosłych pacjentów

Hemofilia wywiera istotne konsekwencje nie tylko dla samych pacjentów, ale również dla życia ich bliskich. Badania pokazują, że aż 45% członków rodzin dorosłych chorych ograniczyło liczbę godzin pracy zawodowej, średnio o 20 godzin tygodniowo, aby móc wspierać chorego. Ponadto 26% opiekunów korzystało ze zwolnienia lekarskiego, przeciętnie przez 10 dni w roku, a 32% wykorzystało w tym celu urlop wypoczynkowy, średnio 12 dni rocznie.

Opieka nad dorosłą osobą z hemofilią wiąże się więc z poważnym obciążeniem czasowym i organizacyjnym. Skutkuje to ograniczeniem aktywności zawodowej opiekunów i może oddziaływać na ich życie osobiste oraz zdrowie, co podkreśla potrzebę wsparcia – zarówno dla pacjentów, jak i ich rodzin – w formie elastycznych rozwiązań pracy, świadczeń opiekuńczych czy programów wsparcia psychologicznego.

Wpływ choroby na życie zawodowe opiekunów dorosłych pacjentów

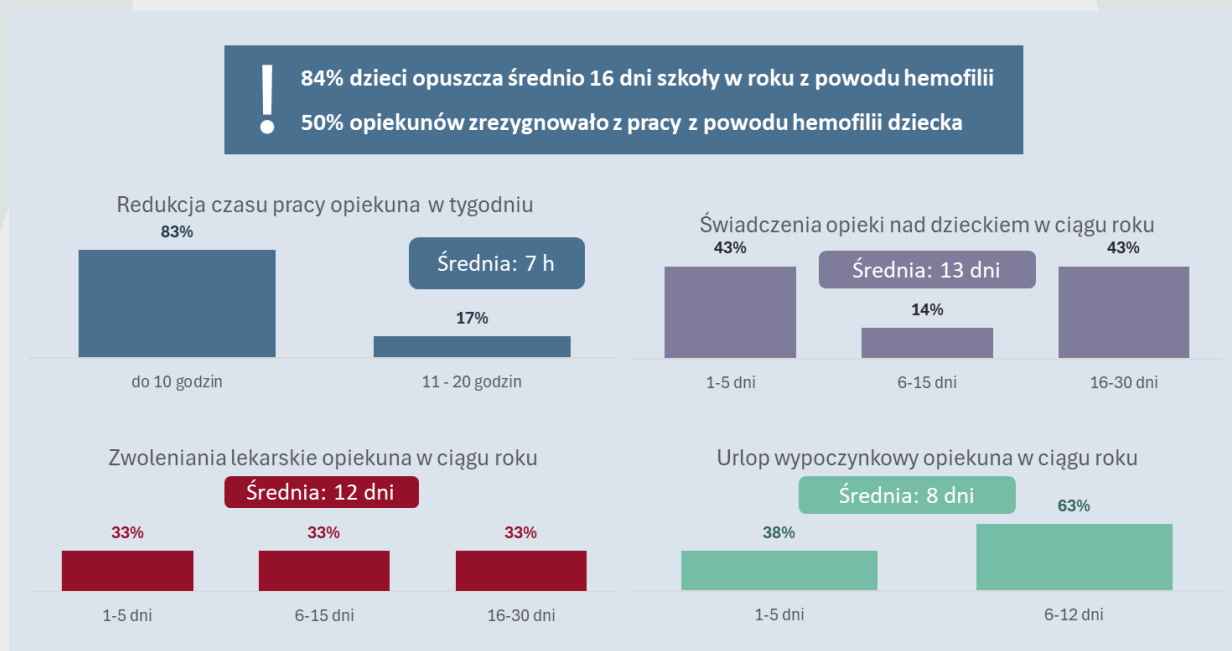


Rysunek 30. Wpływ choroby na życie zawodowe opiekunów dorosłych pacjentów

Podobne wyzwania dotyczą rodzin dzieci z hemofilią. Aż 84% dzieci zmagало się z koniecznością opuszczenia szkoły z powodu choroby, średnio przez 16 dni w roku. Choroba dziecka pociąga także obciążenia finansowe – 61% rodziców pobiera jedno z dostępnych świadczeń, takich jak renta, zasiłek lub świadczenie rehabilitacyjne.

Codzienne funkcjonowanie rodziny również ulega zmianie. 61% rodziców ograniczyło wykonywanie obowiązków domowych, średnio o 8 godzin tygodniowo. W sferze zawodowej 50% rodziców musiało zmniejszyć wymiar pracy, średnio o 7 godzin tygodniowo. Dodatkowo 37% korzystało z opieki nad dzieckiem, średnio przez 13 dni w roku, 16% pobierało zwolnienie lekarskie związane z chorobą dziecka, średnio przez 12 dni rocznie, a 42% wykorzystało w tym celu urlop wypoczynkowy, średnio 8 dni w roku.

Wpływ choroby na życie szkolne dzieci z hemofilią i zawodowe ich opiekunów



Rysunek 31. Wpływ choroby na życie szkolne dzieci z hemofilią i zawodowe ich opiekunów

Łącznie te dane pokazują, że hemofilia obciąża całe rodziny – ogranicza aktywność edukacyjną dzieci, generuje koszty finansowe i zmniejsza czas pracy zawodowej opiekunów. Wynika z tego wyraźna potrzeba wsparcia rodzin chorych dzieci – zarówno poprzez elastyczne rozwiązania zawodowe, jak i programy opiekuńcze oraz wsparcie psychologiczne.

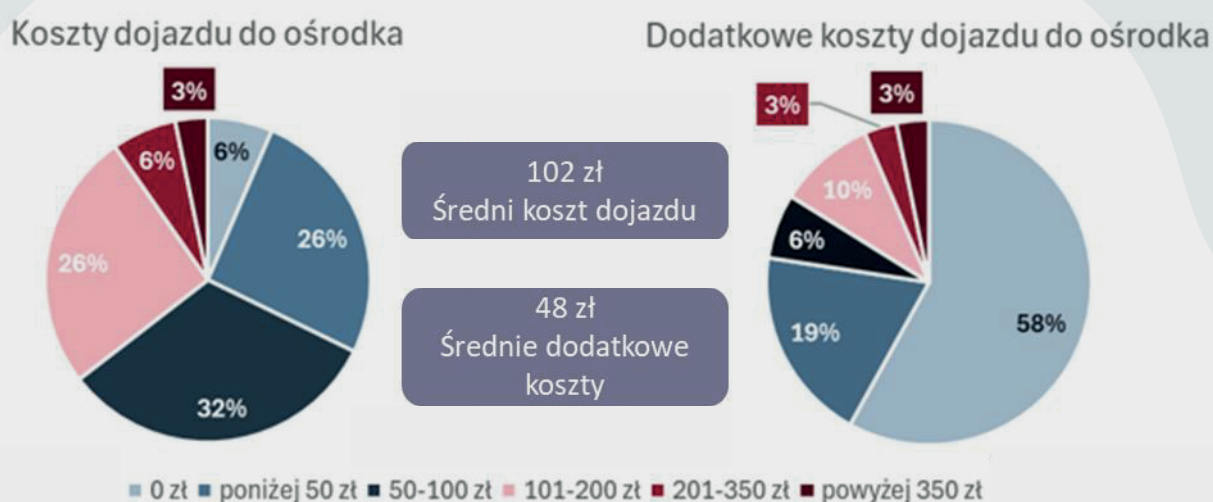
Ekonomiczne konsekwencje hemofilii

Badanie wskazuje, że zarówno dorośli, jak i pacjenci pediatryczni odbywali wizyty w ośrodkach leczenia w związku z chorobą. Średnia liczba wizyt kontrolnych wynosiła cztery rocznie. Jednak u części pacjentów liczba wizyt była znacznie wyższa – ponad 20% dorosłych musiało odbywać od pięciu do dziewięciu wizyt w ciągu roku, a wśród pacjentów pediatrycznych 11% odbywało od dziesięciu do czternastu wizyt rocznie, a 16% – od pięciu do dziewięciu. Dla tych osób leczenie wiązało się z istotnym obciążeniem czasowym i organizacyjnym.

Dojazdy do specjalistycznych ośrodków stanowiły dodatkowe wyzwanie. Średnia odległość, jaką musieli pokonać badani dorośli, wynosiła 72 km w jedną stronę, co już samo w sobie oznacza istotne obciążenie organizacyjne i finansowe. Dla części pacjentów dystans ten był jednak znacznie większy – 3% badanych deklaroowało konieczność przejechania ponad 350 km, aby dotrzeć na wizytę.

Średni koszt samej podróży wyniósł około 102 zł na wizytę, ale u niektórych pacjentów przekraczał on 350 zł. Do wydatków związanych z transportem dochodziły koszty dodatkowe – m.in. opieka nad dziećmi, osobami starszymi czy innymi domownikami, które w przypadku części badanych stanowiły realne wyzwanie organizacyjne. Osoby mieszkające daleko od ośrodków, a także pacjenci odbywający intensywne cykle terapeutyczne, zmuszeni byli niekiedy do zapewnienia sobie noclegu i wyżywienia w pobliżu miejsca leczenia. Takie dodatkowe obciążenie wynosiło średnio 48 zł na wizytę, choć u niewielkiej grupy pacjentów miesięczne koszty przekraczały nawet 350 zł.

Koszty dojazdu dorosłych pacjentów do ośrodka



Wykres 23. Koszty jakie ponoszą dorośli pacjenci z związku z dojazdem do ośrodka

Znaczącym problemem były również utracone dochody. Średnia wartość strat finansowych wynikających z nieobecności w pracy podczas wizyty w ośrodku wyniosła 108 zł na pacjenta, przy czym

6% badanych traciło ponad 600 zł. Warto podkreślić, że podobne straty ponosili także bliscy towarzyszący pacjentom – średnio 82 zł na każdą wizytę. Dodatkowym elementem obciążającym budżety domowe były prywatne wydatki medyczne, które ponosiło aż 84% ankietowanych.

Łącznie miesięczne koszty związane z chorobą u dorosłych pacjentów wynosiły średnio 286 zł, stanowiąc istotne obciążenie finansowe dla rodzin.

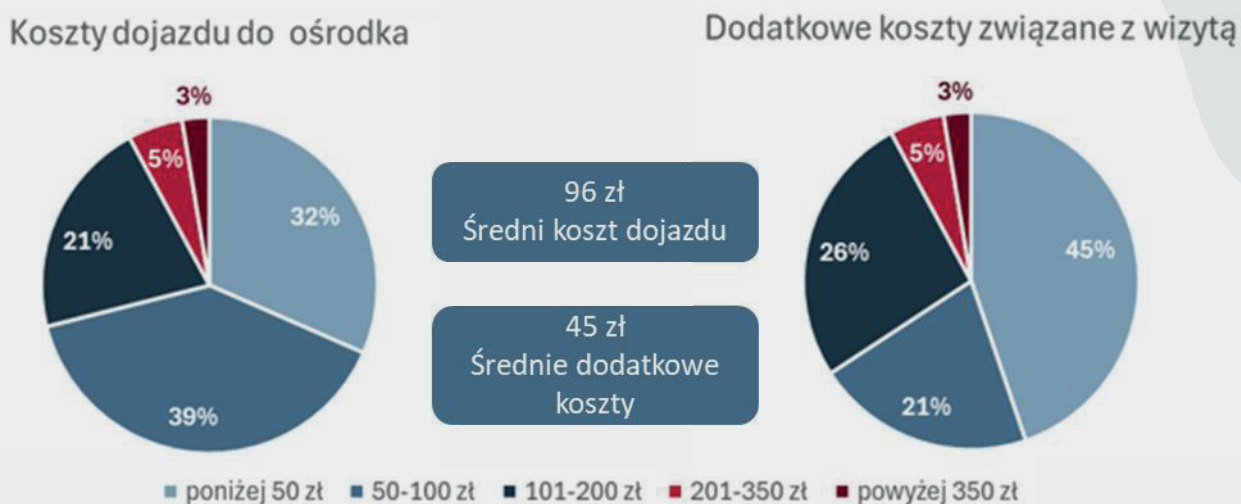
Prywatne wydatki medyczne dorosłych pacjentów



Wykres 24. Kategorie oraz koszty związane z wydatkami prywatnymi dorosłych pacjentów

Podobne trudności dotyczyły opiekunów dzieci z hemofilią. W ich przypadku średnia odległość do ośrodka była nieco mniejsza i wynosiła 61 km, ale generowane koszty były nadal znaczące. Sam dojazd to średnio 96 zł na wizytę, a dodatkowe wydatki (nocleg, posiłki czy opieka zastępcza w domu) to kolejne 45 zł. Należy też podkreślić, że utracone dochody opiekunów dzieci wynosiły średnio 75 zł na wizytę, a u 8% rodzin przekraczały 600 zł.

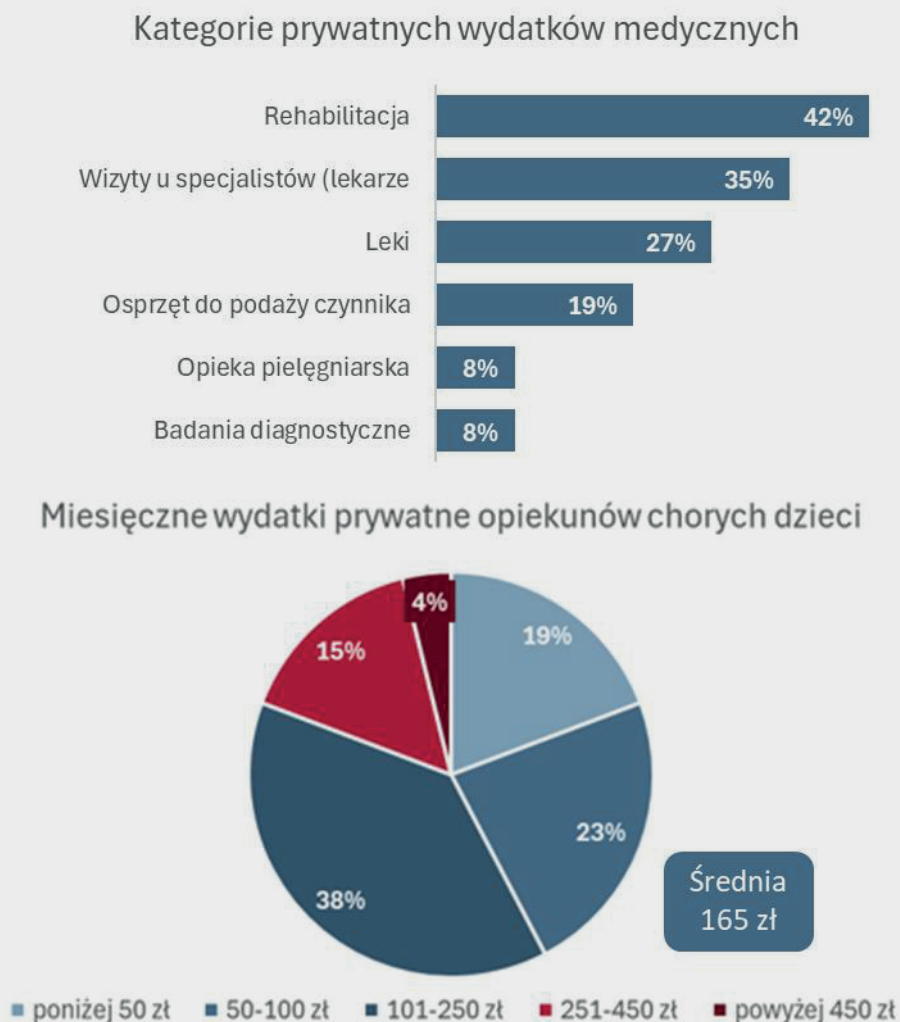
Koszty jakie ponoszą opiekunowie dzieci z hemofilią z związku z dojazdem do ośrodka



Wykres 25. Koszty jakie ponoszą opiekunowie chorych dzieci z związku z dojazdem do ośrodka

Prywatne wydatki medyczne ponosiło 68% opiekunów dzieci. Miesięczne koszty związane z leczeniem i opieką nad dziećmi z hemofilią wynosiły średnio 165 zł, co dla wielu rodzin stanowiło znaczące obciążenie finansowe.

Prywatne wydatki medyczne opiekunów dzieci chorych na hemofilię



Wykres 26. Kategorie oraz koszty związane z wydatkami prywatnymi opiekunów dzieci chorych na hemofilię

Psychospołeczne konsekwencje hemofilii – wyzwania dla pacjentów i ich rodzin

Hemofilia to nie tylko poważne wyzwanie medyczne, ale również doświadczenie silnie obciążające psychicznie i społecznie. Długotrwałe leczenie, nawracający ból i świadomość ryzyka krwawień oddziałują na poczucie bezpieczeństwa, samoocenę oraz relacje z otoczeniem. Pacjenci często doświadczają przewlekłego stresu, lęku czy obniżonego nastroju, co wpływa zarówno na ich jakość życia, jak i funkcjonowanie w rodzinie czy pracy.

Dane wskazują, że niemal wszyscy pacjenci mierzą się z ograniczeniami w codziennym życiu – aż 94% dorosłych badanych deklarowało trudności w wyborze form spędzania wolnego czasu, a 77%

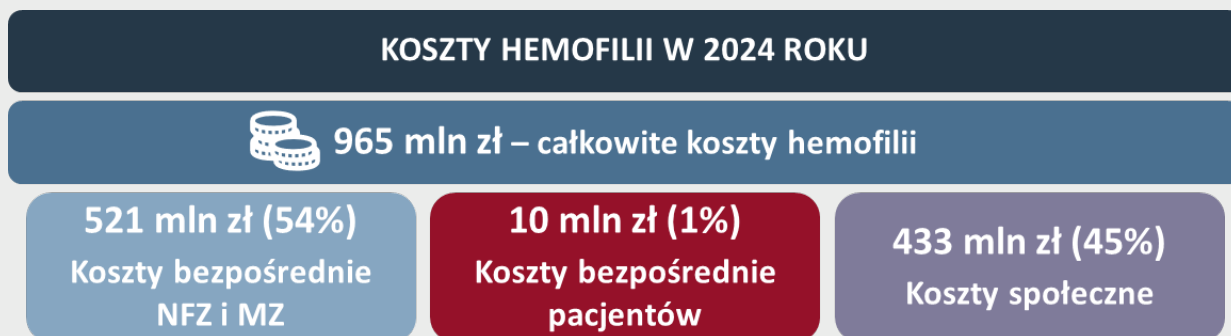
doświadczało bólu utrudniającego codzienne funkcjonowanie. Ponad połowa dorosłych chorych odczuwała pogorszenie samopoczucia, a wielu z nich sygnalizowało również obawy dotyczące sytuacji materialnej oraz ograniczoną dostępność opieki medycznej niezwiązanej bezpośrednio z hemofilią.

Podobne zjawiska obserwuje się wśród dzieci. Ponad połowa z nich (55%) napotyka na ograniczenia w aktywnościach rekreacyjnych, a co trzecie dziecko ma trudności w kontaktach z rówieśnikami. U części pojawia się lęk związany z obawą przed krwawieniami (24%) czy objawy depresyjne (18%), co w tak młodym wieku może szczególnie silnie zaburzać rozwój emocjonalny i społeczny.

Nie mniej istotna jest sytuacja opiekunów dzieci z hemofilią. Aż 79% z nich stale odczuwa lęk o zdrowie swojego dziecka, połowa rezygnuje z wielu form spędzania wolnego czasu, a niemal co czwarty badany wskazuje na dezorganizację życia rodzinnego. Trudności dotyczą również sfery zawodowej – ponad 20% opiekunów ma problem ze znalezieniem elastycznej pracy, a część doświadcza pogorszenia sytuacji materialnej.

Wszystkie te dane pokazują, że hemofilia jest chorobą, która nie ogranicza się wyłącznie do sfery medycznej. Stanowi ona wielowymiarowe wyzwanie – dotykające psychiki, relacji społecznych i życia rodzinnego – zarówno samych pacjentów, jak i osób z ich najbliższego otoczenia.

KOSZTY HEMOFILII W POLSCE



Rysunek 32. Podsumowanie: Koszty hemofilii w Polsce w 2024 roku

Hemofilia jest przewlekłą, wrodzoną chorobą krwotoczną, której leczenie wymaga ciągłego i kosztownego zaopatrzenia w koncentraty czynników krzepnięcia. Ze względu na charakter schorzenia, a także na rosnącą dostępność nowych terapii, hemofilia generuje znaczne obciążenia finansowe dla systemu ochrony zdrowia. Koszty związane z hemofilią wykraczają poza bezpośrednie wydatki na leczenie – obejmują również szeroko pojęte koszty pośrednie, wynikające z ograniczonej aktywności zawodowej chorych oraz osób sprawujących nad nimi opiekę, a także ze spadku dochodów w gospodarstwach domowych. Co więcej, choroba niesie ze sobą znaczące obciążenia emocjonalne i psychiczne, wpływając negatywnie na jakość życia zarówno pacjentów, jak i ich bliskich.

Koszty bezpośrednie medyczne obejmują m.in.: profilaktyczne i interwencyjne stosowanie koncentratów czynnika VIII lub IX oraz innych leków, hospitalizacje z powodu powikłań (np. krwawień wewnętrznych), leczenie następstw przewlekłego uszkodzenia stawów, konsultacje specjalistyczne, rehabilitację oraz koszty diagnostyki. Koszty bezpośrednie niemedyczne dotyczą m.in. transportu do ośrodków leczenia oraz opieki długoterminowej.

Koszty pośrednie wynikają głównie z ograniczenia aktywności zawodowej pacjentów (absencja, wcześniejsze przejście na rentę lub emeryturę), konieczności zaangażowania opiekunów (często rezygnujących z pracy zarobkowej), a także z obniżenia produktywności i utraconych korzyści społeczno-ekonomicznych. Uwzględnienie tych kosztów jest kluczowe z perspektywy analizy obciążenia systemowego chorobą przewlekłą i rzadką, jaką jest hemofilia.

Koszty bezpośrednie – Koszty medyczne

Koszty z budżetu NFZ

Leczenie hemofilii w Polsce jest finansowane ze środków Narodowego Funduszu Zdrowia w ramach następujących zakresów świadczeń:

- Podstawowa Opieka Zdrowotna (POZ)
- Ambulatoryjna Opieka Specjalistyczna (AOS)
- Leczenie szpitalne, w tym:
 - program lekowy B.15
 - leczenie powikłań skojarzonych z krwawieniami

- postępowanie w sytuacjach nagłych, w tym hospitalizacje z powodu powikłań
- Świadczenia z zakresu rehabilitacji leczniczej (szczególnie w przypadkach przewlekłych zmian stawowych)

Świadczenia realizowane w ramach POZ są rozliczane w oparciu o stawkę kapitacyjną, w związku z czym nie zostały uwzględnione w analizie kosztowej.

Dane dotyczące wysokości refundacji świadczeń dla pacjentów z rozpoznaniem głównym (z rozszerzeniami) wg kodu ICD-10 D66 (hemofilia A) lub D67 (hemofilia B) albo z rozpoznaniem głównym Z51 (Inna opieka medyczna) (z rozszerzeniami) wraz z rozpoznaniem współistniejącym D66 lub D67 (z rozszerzeniami) w 2024 roku zostały uzyskane bezpośrednio z Narodowego Funduszu Zdrowia. Uwzględnione dane odpowiadają stanowi na koniec 2024 r. i są najbardziej aktualnym źródłem informacji kosztowych.

Tabela 3. Koszty ponoszone przez NFZ na leczenie hemofilii w Polsce w 2024 r. wg danych uzyskanych od NFZ [37]

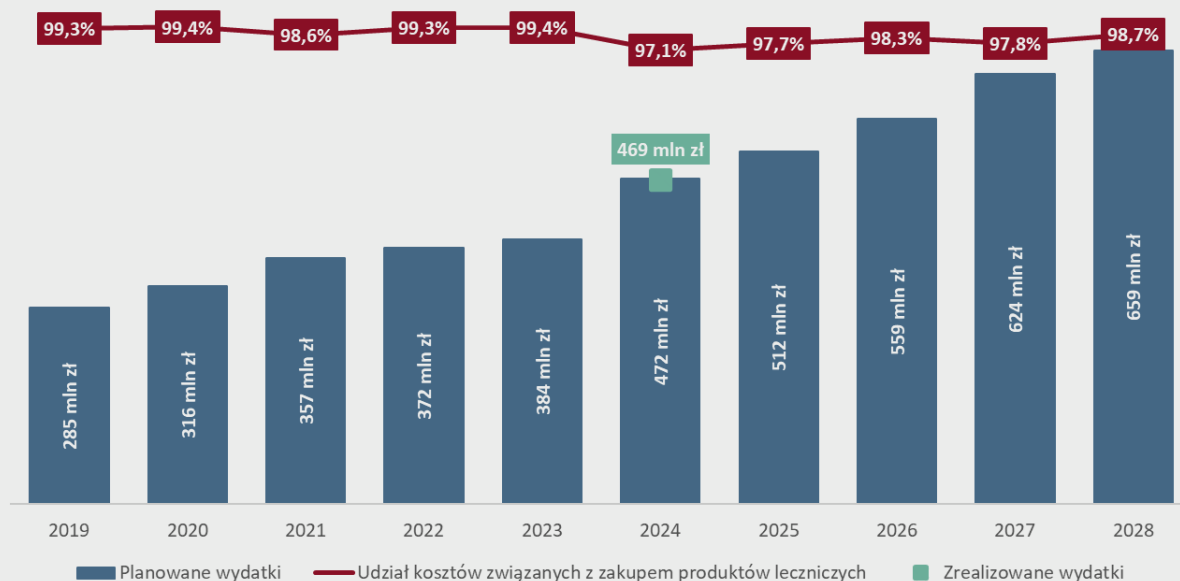
Zakres	Koszt całkowity
AOS	1 303 400 zł
Leczenie szpitalne (PL)	44 734 943 zł
Leczenie szpitalne (poza PL)	5 629 231 zł
Rehabilitacja lecznicza	95 828 zł
Suma	51 763 402 zł

PL – program lekowy

Koszty z budżetu Ministerstwa Zdrowia i NFZ

Leczenie hemofilii w ramach Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne było do końca 2024 roku finansowane przez Ministerstwo Zdrowia.

Od 2025 roku realizację programu przejął Narodowy Fundusz Zdrowia. Planowane wydatki na Narodowy Program Leczenia Hemofilii systematycznie rosną w latach 2019-2028. W okresie tym wartości te założono na poziomie od 285 mln zł do 384 mln zł rocznie, natomiast na rok 2028 przewiduje się osiągnięcie kwoty 659 mln zł. W roku 2024 zrealizowane wydatki wyniosły 469 mln zł, z czego około 97% stanowiły koszty leków. Kwota ta została oficjalnie zaraportowana jako poniesione nakłady w ramach realizacji programu w 2024 roku [41].



Wykres 27. Planowane wydatki na Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne w latach 2019-2028 [41]

Koszty bezpośrednie pacjentów

Zgodnie z wynikami ankiety, pacjenci ponoszą dodatkowe wydatki związane z leczeniem choroby, obejmujące m.in. wizyty u specjalistów, badania diagnostyczne oraz zakup leków i wyrobów medycznych. Średni miesięczny koszt tych wydatków wynosi 286 zł w przypadku dorosłych pacjentów oraz 165 zł w przypadku opiekunów chorych dzieci. Przekształcając tę wartość na całą populację pacjentów dorosłych z hemofilią oraz pacjentów pediatrycznych i uwzględniając odsetek pacjentów faktycznie ponoszących te wydatki, oszacowano, że łączne prywatne nakłady na opiekę medyczną w 2024 roku wyniosły około 6,9 mln zł w przypadku dorosłych oraz 1,4 mln zł w przypadku opiekunów chorych dzieci.

Tabela 4. Prywatne wydatki pacjentów na leczenie hemofilii w Polsce w 2024 r.

Populacja	Dodatkowe medyczne wydatki pacjentów (miesiąc)	Dodatkowe koszty pacjentów (rok)	Liczba pacjentów	Odsetek pacjentów ponoszących wydatki	Roczny koszt
Dorośli	286 zł	3 430 zł	2 393	84%	6 885 448 zł
Dzieci	165 zł	1 976 zł	1 031	68%	1 393 650 zł
SUMA					8 279 098 zł

W analizie uwzględniono również koszty związane z leczeniem hemofilii, które obejmują wydatki ponoszone przez pacjentów w związku z koniecznością odbywania regularnych wizyt w wyspecjalizowanych ośrodkach leczenia, zarówno w celu podania koncentratów czynników krzepnięcia, jak i realizacji zaplanowanego monitorowania terapii oraz stanu zdrowia. Do kosztów tych zaliczono przede wszystkim koszty dojazdu do placówek medycznych, jak również wydatki dodatkowe, takie jak opłaty za opiekę nad dziećmi lub osobami zależnymi, koszt noclegu w przypadku konieczności pozostania na miejscu oraz koszty żywienia.

Średnie koszty jednostkowe ponoszone przez pacjenta w związku z pojedynczą wizytą, a także częstotliwość tych wizyt, oszacowano na podstawie danych z badania ankietowego przeprowadzonego wśród osób z hemofilią (szczegółowe informacje przedstawiono w rozdziale „Wyniki badania ankietowego pacjentów”).

Tabela 5. Średnie wydatki pacjenta związane z wizytą w ośrodku

Populacja	Średni koszt dojazdu	Średnie dodatkowe koszty związane z wizytą	Średnie całkowite wydatki pacjenta/opiekuna związane z wizytą
Dorośli	102 zł	48 zł	149 zł
Dzieci	96 zł	45 zł	140 zł

W celu oszacowania całkowitych kosztów związanych z leczeniem hemofilii średnie wydatki pacjenta związane z wizytą i średnią roczną liczbę wizyt w ośrodku przełożono na populację pacjentów z hemofilią.

Tabela 6. Całkowite koszty bezpośrednie związane z wizytami w ośrodku w związku z leczeniem hemofilii

Populacja	Średnie wydatki pacjenta na wizytę	Liczba wizyt w ośrodku na rok	Populacja pacjentów	Całkowite koszty bezpośrednie niemedyczne
Dorośli	149 zł	3,5	2 393	1 257 415 zł
Dzieci	140 zł	4,2	1 031	608 795 zł
SUMA			3 424	1 866 210 zł

Całkowite koszty bezpośrednie ponoszone przez pacjentów obejmujące prywatne wydatki medyczne i koszty związane z wizytami w ośrodku w 2024 roku wyniosły ponad 10 mln zł.

Tabela 7. Całkowite koszty bezpośrednie ponoszone przez pacjentów

Prywatne wydatki medyczne	Koszty związane z wizytami w ośrodku	Koszt całkowity
8 279 098 zł	1 866 210 zł	10 145 308 zł

Koszty pośrednie

Społeczne koszty hemofilii, obok kosztów bezpośrednich, stanowią istotny komponent całkowitego obciążenia ekonomicznego związanego z tą chorobą. Obejmują one szereg strat i wydatków wynikających z jej długoterminowych, pośrednich skutków – zarówno w wymiarze indywidualnym, jak i makroekonomicznym. Ich wpływ wykracza poza sferę ochrony zdrowia, oddziałując na rynek pracy, gospodarstwa domowe, finanse publiczne oraz jakość życia pacjentów i ich rodzin. W ramach niniejszej analizy zidentyfikowano następujące kategorie kosztów pośrednich:

- **Absenteizm krótkotrwały:** Hemofilia często uniemożliwia chorym podjęcie pracy w pełnym wymiarze, a w zaawansowanych stadiach prowadzi do całkowitej niezdolności do pracy. Skutkuje to spadkiem dochodów pacjenta oraz stratami finansowymi po stronie pracodawcy i systemu ubezpieczeń społecznych.
- **Absenteizm długotrwały:** Utrata zdolności do pracy generuje konieczność wypłaty świadczeń rentowych i zasiłków, obciążając system zabezpieczenia społecznego.

- **Prezenteizm:** Nawet w przypadku kontynuacji zatrudnienia, jakość i wydajność pracy osób z hemofilią mogą być istotnie ograniczone z powodu chronicznych objawów – takich jak zmęczenie, ból, stres czy problemy z poruszaniem się. Przekłada się to na niższą produktywność oraz mniejsze szanse awansu zawodowego.
- **Opieka nieformalna:** W polskich realiach opieka nad osobą chorą na hemofilię bardzo często spada na członków rodziny, którzy pełnią rolę nieformalnych opiekunów. Wymaga to nierzadko rezygnacji z pracy zawodowej, ograniczenia jej wymiaru lub częstego korzystania ze zwolnień lekarskich. Taka sytuacja prowadzi do strat w dochodach opiekunów, jak również do ograniczenia ich rozwoju zawodowego i perspektyw kariery.
- **Praca wykonywana nieodpłatnie:** W kontekście kosztów pośrednich choroby, istotnym elementem obciążenia ekonomicznego jest nieodpłatna praca domowa wykonywana przez pacjentów oraz ich rodziny. Codzienne obowiązki, takie jak sprząatanie, gotowanie czy opieka nad dziećmi, często muszą zostać przejęte przez osoby bliskie pacjentce, co wiąże się z utratą czasu, który mógłby być przeznaczony na aktywność zawodową lub inne czynności. Choć ta forma pracy nie generuje bezpośrednich wydatków finansowych, jej wartość ekonomiczna jest znacząca.

Dodatkowo przedstawiono jak hemofilia wpływa na sytuację finansową pacjentów i ich rodzin. Choroba często zmusza pacjentów oraz ich opiekunów do ograniczenia aktywności zawodowej lub korzystania ze zwolnień lekarskich, co skutkuje obniżeniem przychodów gospodarstwa domowego.

- **Obniżone przychody gospodarstwa domowego:** Choroba wpływa negatywnie na stabilność finansową całych rodzin. Utrata pracy, obniżony wymiar etatu lub długotrwałe zwolnienia lekarskie obniżają miesięczny budżet domowy. Również opiekunowie, zmuszeni do dostosowania swojego życia zawodowego do potrzeb chorego, doświadczają spadku przychodów. Problemатyczne jest także to, że świadczenia zastępcze (np. chorobowe czy renta) często nie rekompensują w pełni utraconych zarobków. Zjawisko to prowadzi nie tylko do ograniczenia poziomu życia, ale także do długofalowych skutków społecznych, takich jak zwiększone ryzyko ubóstwa i marginalizacji.

Analiza pośrednich kosztów społecznych stanowi kluczowy element kompleksowego podejścia do oceny wpływu hemofilii na społeczeństwo. Zrozumienie ich skali i charakteru powinno stanowić fundament do projektowania skutecznych polityk zdrowotnych, profilaktycznych oraz programów wsparcia dla chorych i ich rodzin – zarówno na poziomie państwowym, jak i lokalnym.

Perspektywa społeczna

Koszty pośrednie hemofilii dotyczące absenteizmu uwzględnione w analizie obejmują:

- absenteizm krótkotrwały – związany z nieobecnością pracownika w pracy związanej z chorobą,
- absenteizm długotrwały – związany z trwałą niezdolnością do pracy (renty) oraz przedwczesny zgon.

Absenteizm krótkotrwały

Absencja chorobowa

Koszt utraconej produktywności z powodu absencji chorobowej pacjentów oszacowano na podstawie liczby dni absencji chorobowej sprawozdanej do Zakładu Ubezpieczeń Społecznych (ZUS) z kodami ICD-10: D66 i D67 oraz średniej wartości dnia utraty produktywności.

$$K_{absencji} = K_{dnia} \cdot L_{dni_absencji}$$

$K_{absencji}$ – średnia wartość dnia utraty produktywności

$L_{dni_absencji}$ – liczba dni absencji chorobowej z kodami ICD-10: D66 i D67

Średnią wartość dnia utraty produktywności (K_{dnia}) wyznaczono metodą kapitału ludzkiego wg wzoru:

$$K_{dnia} = \frac{PKB_{2024}}{P_{2024}} \cdot CF \cdot \frac{1}{D_{p2024}}$$

PKB_{2024} – wartość produktu krajowego brutto w 2024 roku wg danych GUS

P_{2024} – liczba osób pracujących w 2024 roku wg danych GUS

CF – współczynnik korygujący (ang. *correction factor*)

D_{p2024} – liczba dni pracujących w 2024 roku uwzględniając urlop wypoczynkowy

Dane dotyczące liczby pracujących oraz wartości PKB zaczerpnięto z oficjalnych publikacji Głównego Urzędu Statystycznego (GUS) [77, 78]. Wartość współczynnika korygującego CF oparto na literaturze ekonomicznej dotyczącej szacowania kosztów utraconej produktywności metodą kapitału ludzkiego [76].

Tabela 8. Wartość utraty PKB na 1 dzień absencji chorobowej w 2024 roku

PKB_{2024}	P_{2024}	CF	D_{p2024}	K_{dnia}
3 641 210 000 000 zł	15 169 658	0,65	228	684 zł

Tabela 9. Koszt utraty produktywności związany z absencją chorobową pacjentów z hemofilią w 2024 r.

Liczba dni absencji chorobowej	Wartość utraty PKB na 1 dzień absencji chorobowej	Całkowity koszt absencji chorobowej pacjentów
2 744	684,30 zł	1 877 727 zł

Redukcja czasu pracy

Pacjenci z hemofilią, ze względu na objawy choroby oraz przebieg leczenia, często podejmują decyzję o ograniczeniu wymiaru pracy. Według wyników ankiet 53% pacjentów aktywnych zawodowo zredukowało swój czas pracy średnio o 11 godzin tygodniowo. Przy uwzględnieniu 228 dni roboczych w 2024 roku, przekłada się to na średnią roczną redukcję czasu pracy wynoszącą 504 godziny na pacjenta. Łącznie oznacza to, że w 2024 roku populacja pacjentów leczonych z powodu hemofilii utraciła ponad 1,2 mln godzin pracy.

Tabela 10. Liczba zredukowanych godzin pracy pacjentów z hemofilią w 2024 roku

Populacja pacjentów	Pacjenci aktywni zawodowo	Odsetek pacjentów, którzy zredukowali czas pracy	Liczba zredukowanych godzin na pacjenta	Całkowita liczba zredukowanych godzin pracy pacjentów
2 393	84%	53%	2	1 206 570

Przy przeliczeniu wartości dnia utraty produktywności (K_{dnia}) na wartość odpowiadającą jednej godzinie (K_h) zastosowano założenie 8-godzinnego dnia pracy. Wartość godziny utraconej produktywności w 2024 roku wyniosła 85,5 zł. Uwzględniając wartość godziny utraty produktywności w 2024 roku wartość redukcji czasu pracy pacjentów z hemofilią w 2024 roku była równa ponad 48 mln zł.

Tabela 11. Wartość utraty produktywności z powodu redukcji czasu pracy pacjentów w 2024 roku

Całkowita liczba zredukowanych godzin pracy pacjentów	K_h	Wartość redukcji wymiaru pracy pacjentów
1 206 570	85,5 zł	45 826 434 zł

Całkowite koszty absenteizmu krótkotrwałego

Całkowita wartość utraty produktywności z powodu absenteizmu krótkotrwałego pacjentów hemofilią w 2024 roku wynosiła ponad 48 mln zł

Tabela 12. Całkowite koszty absenteizmu krótkotrwałego

Wartość absencji chorobowej pacjentów	Wartość redukcji wymiaru pracy pacjentów	Wartość absenteizmu krótkotrwałego
1 877 727 zł	45 826 434 zł	47 704 162 zł

Absenteizm długotrwały

Absenteizm długoterminowy odnosi się do trwałego ograniczenia zdolności do pracy, które skutkuje całkowitym wycofaniem się pacjenta z aktywności zawodowej. W przypadku hemofilii może być to konsekwencja postępującej niepełnosprawności, powikłań wielonarządowych (np. artropatii hemofilowej). Utrata zdolności do pracy bywa formalnie potwierdzona orzeczeniem o niezdolności do pracy i przyznaniem renty.

Przedwczesny zgon

Obecnie średnia długość życia pacjentów z hemofilią w Polsce znacznie się wydłużyła i jest porównywalna ze średnią długością życia w populacji ogólnej [6]. W związku z tym w raporcie nie uwzględniono kosztów pośrednich wynikających z przedwczesnych zgonów pacjentów.

Niepełnosprawność związana z hemofilią

Hemofilia wiąże się nie tylko z przewlekłym ryzykiem występowania poważnych krwawień i postępującym uszkodzeniem stawów, lecz także z długotrwałą niepełnosprawnością wynikającą

z powikłań choroby. Prowadzi to do istotnego pogorszenia jakości życia pacjentów, ograniczenia ich aktywności zawodowej oraz generuje dodatkowe koszty zarówno dla systemu ochrony zdrowia, jak i dla gospodarki (m.in. w postaci wypłaty świadczeń oraz utraty produktywności).

Koszty utraconej produktywności związanej z niepełnosprawnością oszacowano w oparciu o współczynnik YLD (ang. *Years Lived with Disability*), który odzwierciedla liczbę lat przeżytych z danym stanem zdrowia obniżającym sprawność. Zgodnie z metodologią *Global Burden of Disease*, YLD obliczono jako iloczyn częstości występowania danego stanu oraz przypisanej mu wagi niepełnosprawności (ang. *disability weight*) [88, 89].

Ze względu na brak polskich danych dotyczących wag niepełnosprawności, wykorzystano wartości pochodzące z zagranicznych analiz DALY dla hemofilii (Belgia i Portugalia) [79, 80], uwzględniając przy tym podział pacjentów według stopnia ciężkości choroby (łagodna, umiarkowana, ciężka) [81]. Ostatecznie uzyskane wartości YLD zestawiono z poziomem PKB per capita wśród osób pracujących oraz z szacowaną liczbą zawodowo aktywnych pacjentów z hemofilią, co pozwoliło określić roczne koszty ekonomiczne wynikające z utraty produktywności spowodowanej niepełnosprawnością. Zgodnie z danymi Głównego Urzędu Statystycznego, około 3% dzieci i młodzieży w wieku 0-19 lat jest aktywnych zawodowo w populacji ogólnej. W związku z tym, w przeprowadzonych oszacowaniach uwzględniono również populację młodzieży pracującej, stosując odpowiedni odsetek pracujących według danych GUS [50].

Tabela 13. Wagi niepełnosprawności oraz rozkład pacjentów z hemofilią ze względu na postać choroby [79-81]

Postać hemofilii	Odsetek	Wagi niepełnosprawności
Ciężka	51%	0,197
Umiarkowana	17%	0,151
Łagodna	32%	0,054

$$K_{niepełnosprawność(wiek)} = \frac{PKB_{2024}}{P_{2024}} \cdot CF \cdot L_{pracujących} \cdot \sum_i Wg_i \cdot o_i$$

$K_{niepełnosprawność(wiek)}$ – koszt utraconej produktywności z związku z niepełnosprawnością dla danej grupy wiekowej

PKB_{2024} – wartość produktu krajowego brutto w 2024 roku wg danych GUS

P_{2024} – liczba osób pracujących w 2024 roku wg danych GUS

CF – współczynnik korygujący (ang. *correction factor*)

$L_{pracujących}$ – liczba pacjentów aktywnych zawodowo

Wg_i – wagi niepełnosprawności w zależności od stopnia ciężkości hemofilii

o_i – odsetek pacjentów z danym stopniem ciężkości hemofilii

Na podstawie przyjętej metodologii całkowite koszty utraconej produktywności z powodu niepełnosprawności w przebiegu hemofilii w Polsce w 2024 roku oszacowano na 46 mln zł.

Tabela 14. Całkowity koszt utraty produktywności związanej z niepełnosprawnością pacjentów z hemofilią w 2024 r.

Populacja		$L_{pracujących}$	$\frac{PKB_{2024}}{P_{2024}} \cdot CF$	YLD – 1 rok	$K_{niepełnosprawność(wi)}$
Dorośli	2 007	156 021 zł	0,14	44 897 669 zł	
Dzieci i młodzież	33			735 035 zł	
Razem				45 632 704 zł	

Prezenteizm

Koszty pośrednie hemofilii w postaci prezenteizmu dotyczą kosztów obniżonej produktywności, wynikającej z choroby pacjentów aktywnych zawodowo. Wyniki przeprowadzonego badania ankietowego wskazują, że średnia efektywność pracy dorosłych pacjentów spadła o 47%. W badaniu ankietowym 53% respondentów zadeklarowało konieczność redukcji wymiaru czasu pracy z powodu choroby. W związku z tym, przy szacowaniu kosztów wynikających ze zmniejszonej produktywności uwzględniono możliwość przejścia części pacjentów na zatrudnienie w niepełnym wymiarze godzin.

Tabela 15. Średnia liczba dni pracy u pracujących pacjentów

Liczba dni pracujących z uwzględnieniem wolnego	Odsetek osób, które zredukowały czas pracy	Średnia redukcja czasu pracy [godziny w tygodniu]	Średnia liczba dni pracy u pracujących pacjentów
228	53%	11	195

W niniejszej analizie koszty pośrednie oszacowano w oparciu o następujące dane:

- deklarowaną przez pacjentów utratę produktywności w czasie pracy,
- wartość produktu krajowego brutto (PKB) w przeliczeniu na jednego pracującego,
- współczynnik korygujący ($CF = 0,65$),
- odsetek dorosłych pacjentów pozostających aktywnymi zawodowo, ustalony na podstawie badania ankietowego (84%)
- średnia liczba dni pracy u pracujących pacjentów

$$KP_{Prezenteizm} = PKB_{pracujący_1dzień} \cdot CF \cdot L_{pracujących} \cdot UP \cdot W$$

$KP_{Prezenteizm}$ – całkowity koszt prezenteizmu

$PKB_{pracujący_1dzień}$ – wartość PKB na pracującego na dzień w 2024 roku

CF – współczynnik korygujący (ang. *correction factor*)

UP – utracona produktywność

$L_{pracujących}$ – liczba pacjentów aktywnych zawodowo

D_{p2024} – liczba dni pracujących w 2024 roku uwzględniając urlop wypoczynkowy

W – średnia liczba dni pracy u pracujących pacjentów

Koszt prezenteizmu związanego z hemofilią w 2024 roku wyniósł 124 mln zł.

Tabela 16. Całkowite koszty prezenteizmu związane z hemofilią w 2024 r.

$L_{pracujących}$	W	UP	CF	$PKB_{pracujący_1dzień}$	$KP_{Prezenteizm}$
2 007	195	47%	0,65	684,30 zł	124 424 881 zł

Opieka nieformalna

W przypadku przewlekłych chorób, takich jak hemofilia, istotnym składnikiem kosztów pośrednich są straty produktywności związane z czasową niezdolnością do pracy opiekunów nieformalnych. Osoby te, najczęściej członkowie rodzin pacjentów, często korzystają ze zwolnień lekarskich w związku z koniecznością sprawowania opieki nad chorym, szczególnie w sytuacjach zaostrzenia objawów, hospitalizacji lub ograniczenia samodzielności pacjenta. Zgodnie z wynikami badania ankietowego, średnia długość zwolnienia lekarskiego opiekuna osoby dorosłej wyniosła 10 dni, a 26% opiekunów zadeklarowało skorzystanie z takiego świadczenia. 16% opiekunów pacjentów pediatrycznych korzystało ze zwolnienia lekarskiego, średnio 12 dni w roku.

$$KP_{Opieka_nieformalna(zwolenienia)} = L_{opiekunów} \cdot L_{dni_zwolnienia} \cdot K_{dnia} \cdot O_{zwolnienie}$$

$KP_{Opieka_nieformalna(zwolenienia)}$ – koszt absencji chorobowej opiekunów związanej ze zwolnieniem lekarskim

$L_{opiekunów}$ – liczba opiekunów

$L_{dni_zwolnienia}$ – średnia długość zwolnienia lekarskiego opiekuna (w dniach)

K_{dnia} – utrata PKB na jeden dzień absencji chorobowej z powodu hemofilii

$O_{zwolnienie}$ – odsetek opiekunów, którzy skorzystali ze zwolnienia

Tabela 17. Koszt opieki nieformalnej (zwolnienia lekarskie) w 2024 r.

Populacja	$L_{opiekunów}$	$O_{zwolnienie}$	$L_{dni_zwolnienia}$	K_{dnia}	Koszt
Dorośli	2 393	26%	10	684 zł	4 041 617 zł
Dzieci	515	16%	12	684 zł	677 434 zł

Drugim elementem kosztów opieki nieformalnej jest redukcja wymiaru czasu pracy przez część opiekunów. Zgodnie z wynikami badania, 45% opiekunów dorosłych pacjentów ograniczyło swój czas pracy średnio o 4 godziny dziennie, w przypadku dzieci – 32% opiekunów ograniczyło swój czas pracy o 1 godzinę dziennie. Dodatkowo uwzględniono opiekunów dzieci, którzy całkowicie zrezygnowali z pracy.

$$KP_{Opieka_nieformalna(redukcja_pracy)} = L_{opiekunów} \cdot L_{h_zredukowanych} \cdot K_h \cdot O_{zredukowany} \cdot D_{p2024}$$

$KP_{Opieka_nieformalna(zredukowany)}$ – koszt wynikający z redukcji czasu pracy opiekunów

$L_{h_zredukowanych}$ – średnia liczba zredukowanych godzin pracy dziennie opiekuna z powodu choroby bliskiej osoby

K_h – utrata PKB przypadająca na jedną godzinę absencji chorobowej

$O_{zredukowany}$ – odsetek opiekunów, którzy ograniczyli wymiar pracy

D_{p2024} – liczba dni pracujących w 2024 roku uwzględniając urlop wypoczynkowy

Tabela 18. Koszt opieki nieformalnej związanej z redukcją godzin pracy w 2024 r.

Populacja	$O_{zredukowany}$	$L_{hzredukowanych}$	D_{p2024}	K_h	Koszt
Dorośli	45%	4	228	86 zł	84 319 222 zł
Dzieci	32%	1	228	86 zł	4 549 018 zł

Tabela 19. Koszt opieki nieformalnej związanej z całkowitą rezygnacją z pracy opiekunów pacjentów pediatrycznych w 2024 r.

Populacja	$O_{zredukowany}$	$L_{hzredukowanych}$	D_{p2024}	K_h	Koszt
Dzieci	50%	8	228	86 zł	80 401 248 zł

Trzecim elementem kosztów opieki nieformalnej są świadczenia związane z opieką nad dzieckiem, z którego zgodnie z wynikami ankiet skorzystało 37% opiekunów, średnio 13 dni w roku.

Tabela 20. Koszt opieki nieformalnej (zaświadczenie opieki nad dzieckiem) w 2024 r.

Populacja	$L_{opiekunów}$	$O_{zwolnienie}$	$L_{dni_zwolnienia}$	K_{dnia}	Koszt
Dzieci	257	37%	13	684 zł	1 642 546 zł

Łączny koszt opieki nieformalnej związanej z hemofilią w 2024 roku wyniósł 176 mln zł.

Tabela 21. Koszt opieki nieformalnej w 2024 r.

Populacja	Zwolnienia lekarskie	Redukcja czasu pracy	Świadczenia związane z opieką nad dzieckiem	Razem
Dorośli	4 041 617 zł	84 319 222 zł	-	88 360 839 zł
Dzieci	677 434 zł	84 950 266 zł	1 642 546 zł	87 270 247 zł
Łącznie	4 719 051 zł	85 627 700 zł	1 642 546 zł	175 631 086 zł

Koszty pracy wykonywanej nieodpłatnie

Koszty utraconej produktywności definiuje się jako ekonomiczną wartość utraty zdolności do wykonywania płatnych lub nieodpłatnych działań produktywnych spowodowanej chorobą, niepełnosprawnością lub przedwczesnym zgonem. W niniejszej analizie uwzględniono wartość nieodpłatnych aktywności wykonywanych przez pacjentów chorych na hemofilię. Obejmują one tzw. produktywność pozarynkową, czyli m.in. prace domowe, opiekę nad członkami rodziny czy inne nieodpłatne czynności wspierające funkcjonowanie gospodarstwa domowego.

Zgodnie z podejściem kosztu alternatywnego, wartość tych aktywności została oszacowana na podstawie rynkowych stawek godzinowych osób wykonujących porównywalne zadania (np. opiekunów, pracowników usług porządkowych). Wyniki ankiety wskazują, że u 81% dorosłych pacjentów zakres wykonywanych obowiązków domowych został istotnie ograniczony, a w tej grupie średnia utrata czasu wynosiła 2 godziny dziennie.

Wartość pieniężną utraconych aktywności nieodpłatnych obliczono, przyjmując średnie wynagrodzenie pomocy domowej w 2025 roku (35,50 zł za godzinę) [82].

Przy założeniu populacji dorosłych pacjentów wynoszącej 2 393 osób, roczne straty produktywności wynikające z ograniczonej zdolności do wykonywania nieodpłatnych aktywności oszacowano na około 40 mln zł.

$$KP_{Nieodpłatna} = L_{pacjentów} \cdot O_{pacjentów} \cdot L_h \cdot W_h \cdot CF \cdot L_{dni}$$

$KP_{ONieodpłatna}$ – koszt pracy wykonywanej nieodpłatnie

$L_{pacjentów}$ – liczba pacjentów

$O_{pacjentów}$ – odsetek pacjentów, u których zakres wykonywanych codziennych obowiązków domowych uległ ograniczeniu

L_h – dzienne utracone godziny wykonywanych obowiązków domowych

W_h – średnia wynagrodzenia pomocy domowej za 1h

CF – współczynnik korygujący (ang. *correction factor*)

L_{dni} – liczba dni w roku

Tabela 22. Łączny koszt opieki nieformalnej związanej z hemofilią w 2024 r.

$L_{pacjentów}$	$O_{pacjentów}$	L_h	CF	W_h	$KP_{ONieodpłatna}$
2 393	81%	2	0,65	35,50 zł	39 572 309 zł

Całkowite koszty społeczne

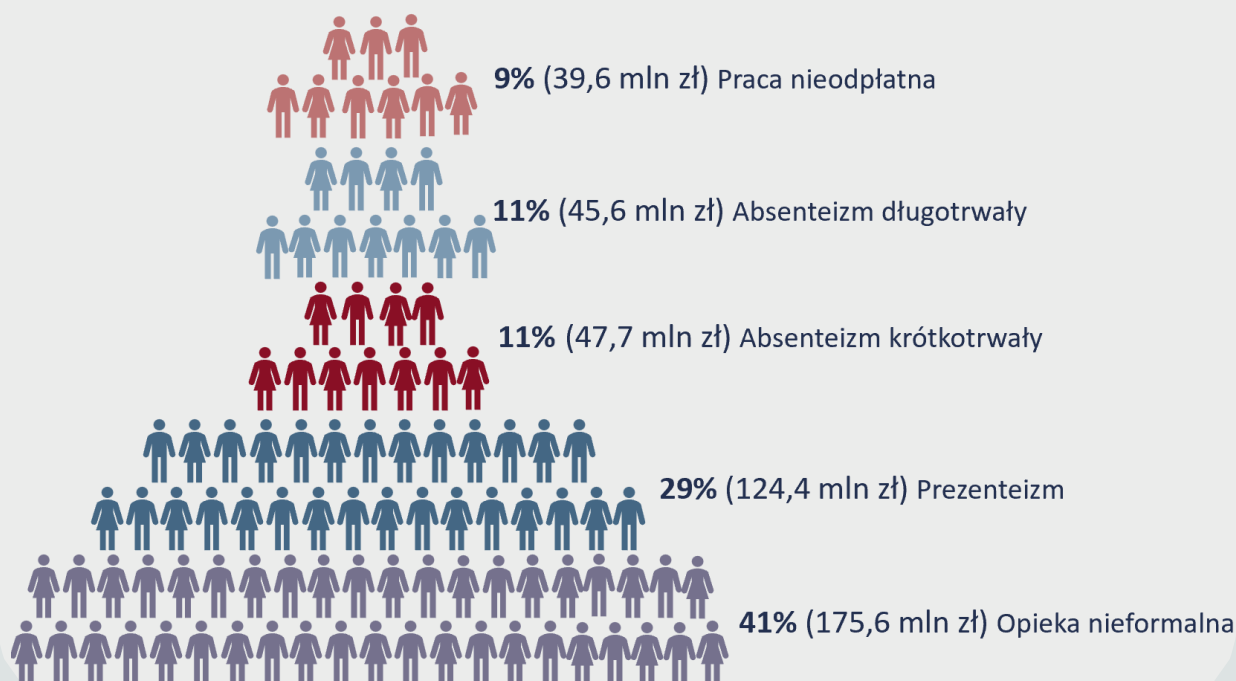
Całkowite koszty pośrednie hemofilii z perspektywy społeczeństwa w Polsce w 2024 roku wynosiły ponad 433 mln zł.

Tabela 23. Koszty społeczne hemofilii w Polsce w 2024 roku

Kategoria kosztów	Wartość
Absenteizm krótkotrwały	47 704 162 zł
Absenteizm długotrwały	45 632 704 zł
Prezenteizm	124 424 881 zł
Praca nieodpłatna	39 599 413 zł
Opieka nieformalna	175 631 086 zł
Razem	432 992 246 zł

W 2024 roku największy udział w społecznych kosztach hemofilii miały wydatki związane z krótkotrwałą opieką nieformalną, które stanowiły 41% całkowitych kosztów, oraz koszty związane z prezenteizmem – 29%.

Zestawienie kosztów społecznych hemofilii w Polsce w 2024 roku



Rysunek 33. Zestawienie kosztów społecznych hemofilii w Polsce w 2024 roku

Perspektywa pacjentów i ich opiekunów

Obniżone przychody gospodarstwa domowego

Na obniżenie przychodów gospodarstw domowych pacjentów z hemofilią oraz ich opiekunów wpływają zarówno utracone zarobki wynikające z redukcji wymiaru czasu pracy, jak i przychody utracone w związku z koniecznością korzystania ze zwolnień lekarskich.

Utracone przychody związane ze zwolnieniem lekarskim

Zgodnie z wynikami badania ankietowego, 59% dorosłych pacjentów aktywnych zawodowo zadeklarowało, że korzystało ze zwolnienia lekarskiego, którego średni czas trwania wyniósł 16 dni. W całej populacji dorosłych pracujących chorych na hemofilię łączna liczba dni absencji osiągnęła 19 424. Przy założonym współczynniku utraty przychodów na poziomie 20% oraz średnim dziennym wynagrodzeniu 446 zł (oszacowanym na podstawie średniego wynagrodzenia miesięcznego w Polsce w 2024 roku [83]), łączny koszt utraconych przychodów pacjentów wyniósł 1,7 mln zł.

Analiza sytuacji opiekunów dorosłych chorych wykazała, że 26% z nich korzystało ze zwolnień lekarskich, których średnia długość wyniosła 10 dni. Łączna liczba dni absencji w tej grupie sięgnęła 5 906. Przy zastosowaniu tego samego współczynnika utraty przychodów (20%) oraz średniego dziennego wynagrodzenia, koszt utraconych przychodów opiekunów oszacowano na 527 tys. zł.

16% opiekunów pacjentów pediatrycznych średnio wykorzystało 12 dni w roku zwolnienia lekarskiego z związku chorobą dziecka, przy zastosowania współczynnika utraty przychodów koszt utraconych przychodów opiekunów dzieci wyniósł 88 tys. zł. Dodatkowo 37% opiekunów korzystało z opieki nad

dzieckiem, średnio 13 dni w roku. Przy zastosowaniu tego samego współczynnika utraty przychodów (20%) oraz średniego dziennego wynagrodzenia, koszt utraconych przychodów opiekunów oszacowano na 214 tys. zł.

Tabela 24. Utracone zarobki pacjentów z hemofilią oraz ich opiekunów związane ze zwolnieniami lekarskimi w 2024 r.

Parametry	Dorośli pacjenci	Opiekunowie dorosłych pacjentów	Opiekunowie pacjentów pediatrycznych	
			Zwolnienia	Opieka nad dzieckiem
Populacja osób aktywnych zawodowo	2 007	2 393	515	515
Odsetek osób, które korzystały ze zwolnienia	59%	26%	16%	37%
Średnia liczba dni zwolnienia	16	10	12	13
Całkowita liczba dni zwolnień	19 424	5 906	990	2 400
Średnie wynagrodzenie na dzień	446,17 zł			
Odsetek straconych zarobków	20%			
Koszt związany ze zwolnieniem lekarskim	1 733 265 zł	527 031 zł	88 338 zł	214 190 zł
łącznie	2 260 296 zł		302 528 zł	

Utracone przychody związane z redukcją czasu pracy

Zarówno część pacjentów aktywnych zawodowo, jak i ich opiekunów, zmuszona jest do ograniczenia czasu pracy w związku z diagnozą i leczeniem hemofilii, co prowadzi do obniżenia ich przychodów.

Na podstawie danych z badania ankietowego przyjęto, że 53% dorosłych pacjentów pracuje w systemie skróconego wymiaru godzin, redukując średnio 11 godzin tygodniowo. Uwzględniając 228 dni pracujących w roku, całkowita liczba zredukowanych godzin w populacji pacjentów wyniosła 535 744 godzin. W oparciu o średnie wynagrodzenie miesięczne w Polsce w 2024 roku, wynoszące 8 477,21 zł [83], co odpowiada stawce godzinowej 55,77 zł, szacowany koszt utraconych przychodów pacjentek wyniósł 30 mln zł.

W przypadku opiekunów dorosłych pacjentów, 45% z nich pracuje w systemie skróconego czasu pracy, ograniczając średnio 20 godzin tygodniowo (około 4 godzin dziennie). Łączna liczba zredukowanych godzin wyniosła 985 753 godzin. Przy zastosowaniu tej samej stawki godzinowej, koszt utraconych przychodów opiekunów oszacowano na 46 mln zł.

32% opiekunów pacjentów pediatrycznych jest zmuszona zredukować swój wymiar pracy, ograniczając średnio 7 godzin tygodniowo (około 1 godziny dziennie). Łączna liczba zredukowanych godzin wyniosła 53 181 godzin. Przy zastosowaniu tej samej stawki godzinowej, koszt utraconych przychodów opiekunów oszacowano na 3 mln zł. Dodatkowo 50% opiekunów rezygnuje całkowicie z pracy, co generuje roczne koszty wynoszące 52 mln zł.

Tabela 25. Utracone zarobki pacjentów z hemofilią oraz ich opiekunów związane z redukcją czasu pracy w 2024 r.

Parametry	Dorośli pacjenci	Opiekunowie dorosłych pacjentów	Opiekunowie pediatrycznych pacjentów	
			Zredukowany czas pracy	Rezygnacja z pracy
Populacja osób aktywnych zawodowo	2 007	2 393	515	515
Odsetek z redukcją czasu pracy	53%	45%	32%	-
Liczba zredukowanych godzin pracy w jednym dniu	2	4	1	8
Liczba dni pracujących w roku	228			
Liczba zredukowanych godzin w roku	535 744	985 753	53 181	939 949
Średnie wynagrodzenie za godzinę	55,77 zł			
Koszt związany z redukcją czasu pracy	29 879 062 zł	46 109 365 zł	2 965 982 zł	52 422 012 zł
łącznie	75 988 427 zł		55 387 994 zł	

Analiza danych wskazuje, że głównym czynnikiem finansowego obciążenia gospodarstw domowych w przypadku hemofilii jest konieczność ograniczenia czasu pracy spowodowana chorobą.

Całkowite obniżone przychody gospodarstw domowych

Łączna wartość obniżonych przychodów gospodarstw domowych pacjentów z hemofilią oraz ich opiekunów, obejmująca zarówno utracone zarobki pacjentów oraz ich opiekunów związane z koniecznością redukcji wymiaru pracy lub przebywaniem na zwolnieniu lekarskim, wyniosła w 2024 r. 134 mln zł.

Tabela 26. Obniżone przychody gospodarstw domowych pacjentów z hemofilią w 2024 r.

Populacja	Koszt związany ze zwolnieniem lekarskim	Koszt związany z redukcją czasu pracy	Całkowite obniżone przychody gospodarstw domowych
Dorośli	2 260 296 zł	75 988 427 zł	78 248 723 zł
Dzieci	302 528 zł	55 387 994 zł	55 690 522 zł
łącznie	2 562 823 zł	131 376 421 zł	133 939 245 zł

Wartość utraconych zarobków pacjentów i ich opiekunów z powodu hemofilii w Polsce w 2024 roku



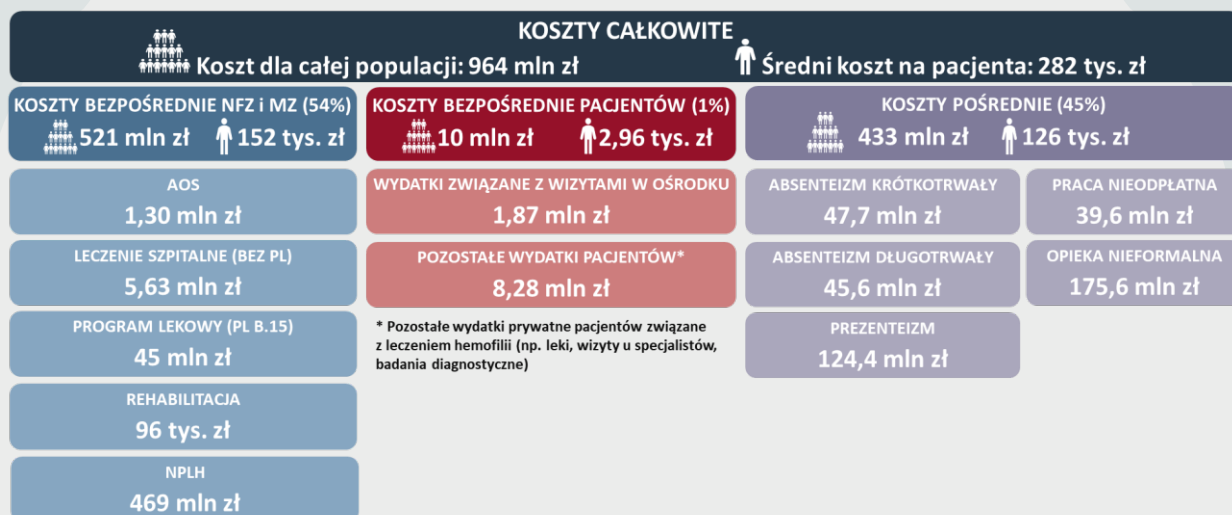
Rysunek 34. Koszty pośrednie ponoszone przez pacjentów i ich opiekunów z powodu hemofilii w Polsce w 2024 roku

Zestawienie kosztów

Hemofilia wiąże się z istotnymi kosztami zarówno ekonomicznymi, jak i społecznymi. Roczne koszty bezpośrednie ponoszone przez system ochrony zdrowia (NFZ i MZ) szacuje się na 521 mln zł, z czego największą część stanowią wydatki na NPLH – w 2024 roku sięgające 469 mln zł. Dodatkowo pacjenci oraz ich rodziny obciążeni są kosztami własnymi: 10 mln zł wydatków bezpośrednich, oraz 134 mln zł kosztów pośrednich, wynikających z obniżonych przychodów gospodarstw domowych. Łącznie daje to ponad 140 mln zł rocznie ponoszonych bezpośrednio przez chorych i ich bliskich.

W strukturze całkowitych kosztów wydatki społeczne (433 mln zł) stanowią trzy czwarte kosztów bezpośrednich, co pokazuje szerokie oddziaływanie hemofilii zarówno na gospodarkę, jak i na życie społeczne. W kosztach pośrednich kluczowe znaczenie mają przede wszystkim opieka nieformalna (41%) oraz prezentizm (29%).

Zestawienie kosztów hemofilii w Polsce w 2024 roku



Rysunek 35. Zestawienie kosztów bezpośrednich i pośrednich hemofilii w Polsce w 2024 roku

Łączne koszty leczenia hemofilii w Polsce w 2024 roku wyniosły 964 mln zł. Przy liczbie pacjentów w tym okresie wynoszącej 3 424 osoby, średni całkowity koszt przypadający na jednego pacjenta wyniósł 282 tys. zł.

Transfery systemu ubezpieczeń społecznych

Zgodnie z międzynarodowymi rekomendacjami w zakresie ekonomiki zdrowia, transfery socjalne – takie jak renty z tytułu niezdolności do pracy, świadczenia społeczne czy świadczenia rehabilitacyjne wypłacane przez ZUS – nie są traktowane jako element obciążenia ekonomicznego z perspektywy społecznej. Stanowią one bowiem transfery pieniężne, a nie faktyczne zużycie zasobów, dlatego nie powinny być uwzględniane w wycenie kosztów bezpośrednich ani pośrednich w badaniach nad obciążeniem chorobami.

Jak podkreśla Światowa Organizacja Zdrowia, świadczenia transferowe są kosztem dla rządu, zyskiem dla pacjenta, ale nie wiążą się z wykorzystaniem ani tworzeniem zasobów [84, 85]. Podobne stanowisko zajmują wytyczne ISPOR, wskazując, że transfery pieniężne nie powinny być zaliczane do kosztów w analizach ekonomicznych prowadzonych z perspektywy społecznej [86]. Najnowsze przeglądy metodologiczne potwierdzają, że tego rodzaju transfery zazwyczaj są pomijane w szacunkach kosztów chorób, z wyjątkiem analiz prowadzonych wyłącznie z perspektywy płatnika [87].

Dla przejrzystości oraz aby zobrazować skalę przepływów finansowych związanych z hemofilią, poniżej przedstawiamy wydatki ZUS na renty i świadczenia rehabilitacyjne w roku 2024. Dane te nie zostały włączone do zasadniczych kalkulacji kosztów przedstawionych w niniejszej analizie obciążenia chorobą.

Tabela 27. Wartość świadczeń wypłacanych z ZUS w Polsce w 2024 roku

Kategoria kosztowa	Wartość
Renty z tytułu niezdolności do pracy	2 269 100 zł
Renty socjalne	3 198 400 zł
Absencja chorobowa	260 700 zł
Razem	5 728 200 zł

W 2024 roku Zakład Ubezpieczeń Społecznych wypłacił świadczenia związane z hemofilią o łącznej wartości 5,7 mln zł. Największą część tej kwoty (56%) stanowiły renty socjalne, natomiast absencja chorobowa odpowiadała za około 5% wszystkich wypłat.

Wartość świadczeń wypłacanych z ZUS z powodu hemofilii w 2024 roku

Szacunkowa wartość świadczeń wypłacanych z ZUS pacjentom z hemofilią w 2024 roku
5,73 mln zł

Renty socjalne
3,20 mln zł (56%)

Renty z tytułu niezdolności do pracy
2,27 mln zł (40%)

Absencja chorobowa
261 tys. zł (5%)

Rysunek 36. Szacunkowa wartość świadczeń wypłacanych z ZUS z powodu hemofilii w Polsce w 2024 roku

MODEL OPIEKI NAD PACJENTEM Z HEMOFILIĄ

Na podstawie informacji przedstawionych w niniejszym raporcie opracowano model opieki nad pacjentem z hemofilią.

Obecna sytuacja dotycząca leczenia hemofilii w Polsce

Hemofilia, jako rzadka i przewlekła choroba wymagająca stałego monitorowania oraz profilaktycznego leczenia, stanowi istotne wyzwanie dla polskiego systemu ochrony zdrowia. Pomimo postępów terapeutycznych oraz dostępności skutecznych metod leczenia, pacjenci nadal napotykają na szereg barier – zarówno organizacyjnych, jak i systemowych – które wpływają na jakość świadczonej opieki i codzienne funkcjonowanie.

Kluczowe wyzwania:

- **Niedobór wyspecjalizowanej kadry medycznej.** Polska od lat zmagą się z niedoborem specjalistów w zakresie leczenia nieonkologicznych chorób krwi. Zdecydowana większość hematologów koncentruje się na hematologii, co skutkuje ograniczoną dostępnością ekspertów w leczeniu hemofilii. Problemem pozostaje również niedobór pielęgniarzek przeszkolonych w zakresie wkłuć dożylnych – umiejętności kluczowej dla skutecznego prowadzenia terapii.
- **Ograniczona dostępność dostaw leków do domu.** Choć w wielu krajach europejskich domowa dostawa leków jest standardem, w Polsce tylko 41% pacjentów korzysta z tej formy zaopatrzenia. Pozostali zmuszeni są do osobistego odbioru preparatów w ośrodkach leczenia lub centrach krwiodawstwa, co – szczególnie w przypadku osób z ograniczoną mobilnością – stanowi poważne utrudnienie i może prowadzić do niepełnego przestrzegania zaleceń terapeutycznych.
- **Brak kompleksowej i skoordynowanej opieki nad pacjentami z hemofilią, szczególnie w przypadku chorób współistniejących.** Pacjenci z hemofilią często mają trudności z uzyskaniem odpowiedniego leczenia schorzeń niezwiązanych bezpośrednio z chorobą podstawową. Brakuje dedykowanych procedur postępowania oraz odpowiednio skoordynowanej opieki, która uwzględniałaby złożoność ich potrzeb zdrowotnych. Ośrodki leczenia hemofilii nie oferują obecnie zintegrowanej, interdyscyplinarnej opieki – chorzy są często kierowani na oddziały ratunkowe lub zmuszeni do samodzielnego organizowania konsultacji z innymi specjalistami. Wzorem rozwiązań funkcjonujących w krajach zachodnich rekomenduje się stworzenie modelu opieki, w którym pacjent miałby dostęp do zespołu specjalistów (hematolog, ortopeda, psycholog, stomatolog, rehabilitant, genetyk) w jednym miejscu. Dodatkowo, proponuje się, aby konsultanci wojewódzcy ds. hematologii powołali dwóch dedykowanych hematologów w każdym regionie, odpowiedzialnych za koordynację leczenia – także w kontekście chorób współistniejących. Takie podejście umożliwiłoby efektywniejsze prowadzenie terapii, poprawiłoby komfort pacjentów oraz zmniejszyło ryzyko błędów i opóźnień w leczeniu.

- **Ograniczony dostęp do specjalistycznej fizjoterapii i rehabilitacji.** Dostęp do fizjoterapii dla osób z hemofilią – zwłaszcza dorosłych pacjentów z zaawansowanymi zmianami ortopedycznymi – jest w Polsce poważnie ograniczony. Tylko nieliczne ośrodki oferują kompleksową i regularną rehabilitację dostosowaną do specyficznych potrzeb tej grupy chorych. Tymczasem ciągła, spersonalizowana opieka fizjoterapeutyczna ma kluczowe znaczenie w profilaktyce powikłań stawowych, przygotowaniu do zabiegów ortopedycznych, opiece pooperacyjnej oraz poprawie codziennego funkcjonowania. Zintegrowana fizjoterapia nie tylko wspiera szybszy powrót do sprawności, ale także znacząco poprawia jakość życia pacjentów. Dlatego niezbędne jest rozszerzenie dostępu do specjalistycznej rehabilitacji w ramach ośrodków leczenia hemofilii oraz uwzględnienie jej jako integralnego elementu kompleksowej opieki nad chorymi.
- **Niska aktywność zawodowa i obciążenia społeczne.** Osoby cierpiące na hemofilię, zwłaszcza z powikłaniami ortopedycznymi, często pozostają poza rynkiem pracy. Konieczność opieki nad nimi generuje znaczne obciążenia dla rodzin i opiekunów, zarówno w wymiarze emocjonalnym, jak i ekonomicznym.
- **Niewystarczające kompetencje lekarzy innych specjalności.** Brak wiedzy na temat hemofilii wśród lekarzy niezwiązanych z hematologią prowadzi do opóźnień w podaniu czynnika krzepnięcia w sytuacjach nagłych. Konieczne są intensywne działania edukacyjne oraz rozpowszechnianie standardów postępowania.
- **Brak całodobowego kontaktu z ośrodkami leczenia.** W sytuacjach nagłych niezbędne jest zapewnienie 24-godzinnej konsultacji z lekarzem dyżurnym. Obecnie możliwość taka istnieje jedynie w wybranych placówkach.
- **Nierównomierny dostęp do ośrodków leczenia.** Pomimo obowiązywania Narodowego Programu Leczenia Chorych na Hemofilię (2024-2028), nie wszystkie województwa dysponują ośrodkami leczenia dla dorosłych – przykładem jest województwo podkarpackie.
- **Brak nowoczesnych narzędzi i standardów oceny leczenia.** W Polsce nie wprowadzono jeszcze mierników skuteczności terapii zgodnych z najbardziej aktualnymi wytycznymi Światowej Federacji Hemofilii (m.in. ABR, narzędzia oceny funkcjonalnej (HJHS, HEAD-US), jakość życia (QoL), dane raportowane przez pacjentów (PROMs)), które pozwalałyby na obiektywną ocenę wyników zdrowotnych pacjentów.
- **Ograniczony dostęp do innowacyjnych leków i niejasna ścieżka finansowania.** Pacjenci nadal mają utrudniony dostęp do nowych terapii, a procedury ich finansowania w ramach NPLH pozostają niewystarczająco sprecyzowane.
- **Brak narzędzi wspierających personalizację terapii.** Nie funkcjonują w praktyce narzędzia typu *shared decision-making* rekomendowane przez WFH, które umożliwiłyby pacjentom i lekarzom wspólne podejmowanie decyzji terapeutycznych w oparciu o indywidualne potrzeby i preferencje chorego.

System opieki nad chorymi na hemofilię w Polsce wymaga pilnych działań systemowych. Kluczowe obszary to: poprawa dostępności dostaw leków do domu, zapewnienie skoordynowanej i interdyscyplinarnej opieki, wdrożenie systemu e-Hemofilia, zwiększenie liczby specjalistów,

wprowadzenie mierników efektywności leczenia zgodnych z najnowszymi WFH, ułatwienie dostępu do innowacyjnych terapii wraz z jasną ścieżką finansowania, a także wdrożenie narzędzi umożliwiających personalizację terapii. Równolegle należy prowadzić szeroko zakrojone działania edukacyjne wśród personelu medycznego oraz zapewnić wsparcie psychologiczne, społeczne i zawodowe dla pacjentów i ich rodzin. Tylko kompleksowe podejście pozwoli poprawić jakość życia chorych na hemofilię i zwiększyć efektywność systemu opieki zdrowotnej w Polsce.

Opracowany model

W odpowiedzi na zidentyfikowane niedoskonałości w obecnym systemie leczenia hemofilii w Polsce, proponuje się wdrożenie nowoczesnego, zintegrowanego modelu opieki, który opiera się na czterech kluczowych filarach: indywidualizacji terapii, integracji i koordynacji leczenia, rozwoju systemu dostaw leków do domu oraz szeroko rozumianej cyfryzacji i edukacji. Niezbędnym uzupełnieniem tego modelu powinno być także uwzględnienie wsparcia psychospołecznego oraz aktywizacji pacjentów, tak aby proces terapeutyczny obejmował nie tylko aspekty medyczne, lecz także wspierał jakość życia i samodzielność chorego.

Indywidualizacja terapii

Podstawą skutecznego leczenia hemofilii musi być indywidualizacja terapii. Każdy pacjent powinien mieć dostęp do schematu leczenia dopasowanego nie tylko do typu i ciężkości choroby, ale także do swojego stylu życia, wieku, aktywności zawodowej i preferencji. W tym procesie szczególnie pomocne może być narzędzie *Shared Decision-Making Tool* opracowane przez *World Federation of Hemophilia*, które wspiera pacjentów i lekarzy w podejmowaniu wspólnych, świadomych decyzji terapeutycznych, opartych zarówno na danych klinicznych, jak i oczekiwaniach pacjenta. Kluczowe znaczenie w personalizacji terapii mają badania farmakokinetyczne, które pozwalają precyzyjnie określić optymalne dawki i częstotliwość podawania leków. Terapia powinna być elastyczna, dynamicznie dostosowywana do aktualnego stanu zdrowia pacjenta i oparta na danych medycznych monitorowanych w czasie rzeczywistym. Nowoczesne opcje terapeutyczne – w tym preparaty o przedłużonym czasie działania oraz leki podawane podskórnie – znacząco poprawiają komfort życia, szczególnie u pacjentów, którzy mają trudności z częstymi wkłuciami dożylnymi. Taka personalizacja leczenia nie tylko zwiększa skuteczność profilaktyki, ale też zmniejsza liczbę epizodów krwawień i ryzyko długofalowych powikłań.

Coraz większą rolę odgrywa również terapia genowa, która daje szansę na długoterminowe ograniczenie lub nawet eliminację konieczności regularnego podawania leków.

Koordynacja leczenia i budowa sieci specjalistycznych ośrodków

Drugim filarem nowego modelu opieki jest stworzenie spójnego, skoordynowanego systemu organizacji leczenia. Obecnie dostęp do specjalistycznej opieki w Polsce pozostaje nierównomierny – nie wszystkie regiony dysponują odpowiednio przygotowanymi ośrodkami leczenia hemofilii. W związku z tym konieczne jest stworzenie ogólnopolskiej sieci referencyjnych jednostek, która

zapewni każdemu pacjentowi dostęp do kompleksowej, wielodyscyplinarnej opieki blisko miejsca zamieszkania.

W centrum takiego modelu powinien znajdować się koordynator terapii – najczęściej lekarz hematolog – odpowiedzialny za prowadzenie leczenia choroby podstawowej oraz za całościowy nadzór nad zdrowiem pacjenta, w tym leczenie schorzeń współistniejących. Szczególne znaczenie ma również zapewnienie płynności przejścia z opieki pediatrycznej do systemu leczenia dorosłych – dzięki wspólnemu planowi terapeutycznemu i ścisłej współpracy między zespołami specjalistów.

W sytuacjach nagłych kluczowe znaczenie ma odpowiednie przygotowanie lekarzy oddziałów ratunkowych i ratowników medycznych. Należy zadbać o to, aby byli oni przeszkoleni w zakresie diagnostyki i leczenia powikłań hemofilii oraz potrafili działać sprawnie i skutecznie w stanach zagrożenia życia.

Nieodzownym komponentem kompleksowej opieki nad pacjentem z hemofilią jest rehabilitacja, zwłaszcza w kontekście zmian zwyrodnieniowych stawów, które stanowią częste i uciążliwe powikłanie choroby. Każdy pacjent, u którego występują objawy ze strony układu ruchu, powinien mieć zapewniony dostęp do fizjoterapii prowadzonej przez specjalistę znającego specyfikę hemofilii. Personalizowany program rehabilitacyjny wspomaga poprawę sprawności fizycznej, zmniejsza dolegliwości bólowe, a jednocześnie pozytywnie wpływa na psychikę i jakość życia pacjenta.

Rehabilitanci powinni być również włączeni w proces przygotowania pacjentów do zabiegów ortopedycznych oraz w opiekę pooperacyjną. Doświadczenia krajów zachodnich, takich jak Niemcy, Holandia czy USA, pokazują, że holistyczny model opieki obejmujący współpracę hematologów, ortopedów, psychologów, stomatologów, genetyków i fizjoterapeutów pozwala na znacznie lepsze wyniki kliniczne i większą satysfakcję pacjentów.

Dostawy leków do domu – klucz do skutecznej profilaktyki

W nowoczesnym systemie leczenia hemofilii standardem powinien być rozwinięty system dostaw leków bezpośrednio do miejsca zamieszkania pacjenta. Obecnie wielu chorych nadal zmuszonych jest do osobistego odbioru leków z OLH lub szpitalnych aptek, co utrudnia regularność leczenia, szczególnie w przypadku osób mieszkających z dala od dużych ośrodków.

Rozwiązaniem może być wdrożenie powszechnego systemu dostaw domowych dla wszystkich grup pacjentów – niezależnie od wieku – w połączeniu z siecią pielęgniarek środowiskowych, które wspierają w zakresie podawania leków i edukacji zdrowotnej. Tam, gdzie to możliwe, należy promować stosowanie terapii podskórnych jako wygodniejszej i mniej inwazyjnej alternatywy.

Cyfryzacja i edukacja – nowe technologie w służbie pacjentom

Rozwój technologii cyfrowych otwiera nowe możliwości w zakresie monitorowania leczenia, zarządzania terapią i komunikacji z pacjentami. System „e-Hemofilia” powinien stać się centralnym narzędziem wspierającym codzienną opiekę. Elektroniczne dzienniczki terapii, aplikacje mobilne przypominające o dawkowaniu leków, e-konsylia oraz teleporady z OLH to rozwiązania, które nie tylko

zwiększają bezpieczeństwo, ale też umożliwiają dostęp do specjalistycznej opieki pacjentom z mniejszych miejscowości.

Równolegle z cyfryzacją konieczne są szeroko zakrojone działania edukacyjne, skierowane do trzech kluczowych grup:

- Pacjenci i ich rodziny – szkolenia, webinary, poradniki i konsultacje pomagają zrozumieć chorobę, uczyć postępowania w sytuacjach nagłych (np. krwawień) i wspierają w codziennym zarządzaniu terapią.
- Personel medyczny – szczególnie lekarze innych specjalizacji niż hematologia powinni być systematycznie szkoleni, by zapewnić wysoką jakość i ciągłość opieki.
- Otoczenie społeczne pacjenta – edukacja pracodawców, współpracowników oraz środowiska szkolnego na temat hemofilii, jej leczenia i ograniczeń funkcjonalnych jest kluczowa dla tworzenia bezpiecznego, zrozumiałego i wspierającego środowiska.

Dobrze poinformowany pracodawca czy nauczyciel może adekwatnie dostosować warunki pracy lub nauki, a jednocześnie zapobiegać nieuzasadnionej stygmatyzacji osób z chorobą przewlekłą. Skuteczna komunikacja i wsparcie na poziomie systemowym oraz indywidualnym są kluczowe dla zapewnienia pacjentom możliwie pełnego udziału w życiu społecznym i zawodowym.

Podsumowanie

Nowy model opieki nad pacjentami z hemofilią powinien być kompleksowy, skoordynowany i zorientowany na potrzeby konkretnego pacjenta. Integracja działań medycznych z rehabilitacją, opieką psychospołeczną, cyfryzacją i edukacją stworzy system, który nie tylko poprawi wyniki leczenia, ale również podniesie jakość życia chorych. W centrum tego systemu powinien znajdować się pacjent – aktywny uczestnik terapii, otoczony interdyscyplinarnym zespołem specjalistów, wspieranym przez nowoczesne technologie i sprawną organizację opieki.

Model opieki nad pacjentem z hemofilią



Rysunek 37. Model opieki nad pacjentem z hemofilią

Prognozowane korzyści z wdrożenia modelu

Wdrożenie nowego modelu opieki nad pacjentami z hemofilią niesie ze sobą szereg istotnych korzyści, zarówno dla chorych, jak i dla całego systemu ochrony zdrowia w Polsce.

Z perspektywy pacjenta nowoczesny model leczenia, oparty na indywidualizacji terapii i szerszym dostępie do nowoczesnych leków, pozwala osiągnąć podstawowy cel leczenia, jakim jest eliminacja epizodów krwotocznych. Ograniczenie krwawień nie tylko poprawia wyniki kliniczne, ale przekłada się bezpośrednio na lepszą jakość życia chorych – zmniejsza ból, poprawia sprawność fizyczną i pozwala uniknąć powikłań, takich jak uszkodzenia stawów czy artropatia. Dzięki dostawom leków do domu, czyli rzadszym wizytom w szpitalu oraz zastosowaniu leków podawanych podskórnie, pacjenci zyskują większą niezależność i mogą prowadzić aktywne życie zawodowe i rodzinne, bez konieczności podporządkowania codzienności harmonogramowi leczenia. Zmniejszenie potrzeby częstych wizyt w ośrodkach hematologicznych przekłada się również na redukcję kosztów i uciążliwości związanych z dojazdami, szczególnie dla osób mieszkających poza dużymi miastami. Ułatwiony dostęp do terapii, także poprzez ośrodki satelitarne i rozwiązania zdalne zwiększa równość szans i poprawia komfort życia pacjentów.

Kluczową rolę odgrywa dostęp do nowoczesnych terapii, w tym preparatów o przedłużonym działaniu, leków podawanych podskórnie oraz, w perspektywie, terapii genowej. Innowacyjne leczenie nie tylko zwiększa skuteczność profilaktyki, ale także znacząco zmniejsza obciążenie codzienną terapią. Dzięki

temu chorzy mogą rzadziej przyjmować lek, a forma podania jest mniej inwazyjna i bardziej komfortowa. Nowoczesne terapie przyczyniają się również do większej stabilizacji parametrów krzepnięcia, co przekłada się na lepszą kontrolę choroby i mniejsze ryzyko powikłań.

Zastosowanie nowoczesnych technologii oraz rozwiązań cyfrowych, takich jak aplikacje przypominające o przyjęciu leku, monitorujące objawy czy umożliwiające kontakt z lekarzem poprawia bezpieczeństwo pacjenta i zapewnia ciągłość opieki, również w sytuacjach nagłych. Leczenie staje się bardziej przewidywalne, a pacjent zyskuje poczucie kontroli nad chorobą, co pozytywnie wpływa na jego dobrostan psychiczny i motywację do stosowania się do zaleceń.

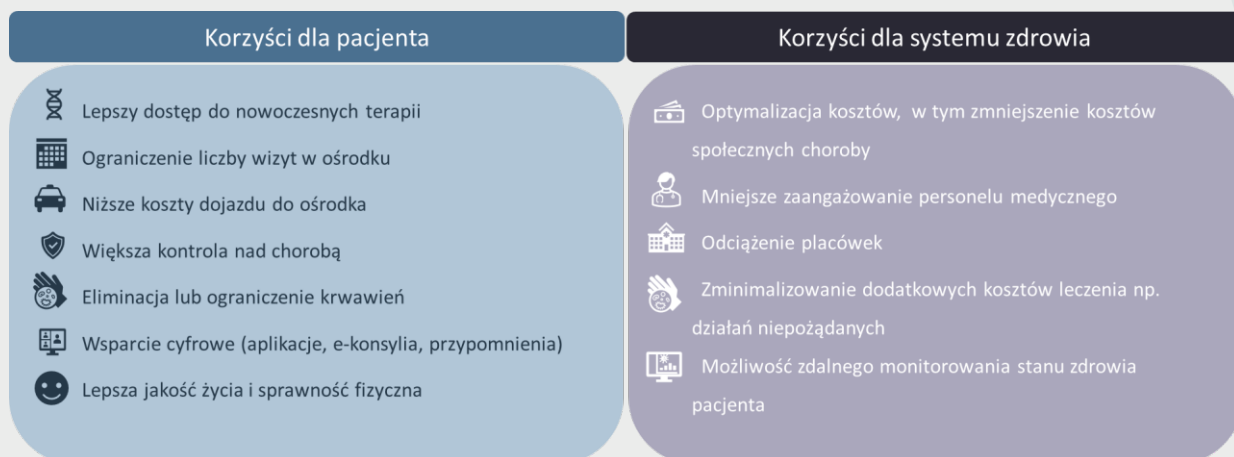
Z perspektywy systemu ochrony zdrowia korzyści są równie wyraźne. Dzięki skutecznej profilaktyce i ograniczeniu liczby powikłań możliwe jest istotne zmniejszenie liczby hospitalizacji oraz kosztów związanych z leczeniem powikłań, rehabilitacją i interwencjami ortopedycznymi.

Nowy model opieki umożliwia także lepsze zarządzanie dostępnymi zasobami kadrowymi. Zdalna opieka, teleporady i domowe dostawy leków zmniejszają zapotrzebowanie na obecność pacjentów w placówkach, co przy obecnym deficycie personelu medycznego jest nie do przecenienia. Krótszy czas podania leków, brak konieczności hospitalizacji oraz mniejsza liczba wizyt bezpośrednio przekładają się na oszczędności organizacyjne i finansowe.

Warto również podkreślić, że cyfrowe narzędzia takie jak centralny system e-Hemofilia pozwalają na efektywne planowanie terapii i dostaw leków, monitorowanie efektów leczenia oraz identyfikację luk w opiece. Wspierają też współpracę między ośrodkami wiodącymi a ośrodkami satelitarnymi, co sprzyja większej spójności i standaryzacji świadczeń.

Podsumowując, zaproponowany model opieki nad pacjentami z hemofilią to rozwiązanie nowoczesne, zorientowane na potrzeby chorego, a jednocześnie racjonalne kosztowo i organizacyjnie z punktu widzenia systemu zdrowotnego. Przeniesienie części świadczeń bliżej pacjenta, wykorzystanie nowoczesnych terapii i narzędzi cyfrowych oraz skoncentrowanie opieki szpitalnej na pacjentach wymagających zaawansowanego leczenia to kierunek, który sprzyja zarówno poprawie wyników klinicznych, jak i większej efektywności systemu ochrony zdrowia.

Korzyści z zastosowania modelu opieki nad pacjentem



Rysunek 38. Korzyści dla pacjenta i systemu zdrowia wynikające z zastosowania modelu opieki nad pacjentem z hemofilią

BIBLIOGRAFIA

1. World Federation of Hemophilia. (2012). Wytyczne leczenia hemofilii (tłum. B. Bogomas, S. Goertz, K. Gross-Tyrkin i in.). Polskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię.
2. World Federation of Hemophilia. (2024). Report on the annual global survey 2023. <https://wfh.org/research-and-data-collection/annual-global-survey/>
3. Vantage Market Research. (2023, 11 kwietnia). Hemophilia Market Size & Share to Surpass \$18.77 Billion by 2030. GlobeNewswire. <https://www.globenewswire.com/news-release/2023/04/11/2644138/0/en/Hemophilia-Market-Size-Share-to-Surpass-18-77-Billion-by-2030-Vantage-Market-Research.html>
4. Gajewski K. Hemofilia - przyczyny, objawy, leczenie. Medycyna Praktyczna. (2017, 7 czerwca). <https://www.mp.pl/pacjent/hematologia/choroby/170465,hemofilia>
5. Zawilska, K. (2018, 9 stycznia). Pomoc doraźna w krwawieniach u chorych na hemofilię. Medycyna Praktyczna. <https://www.mp.pl/ratownictwo/na-dyzurze/178784,pomoc-dorazna-w-krwawieniach-u-chorych-na-hemofilie>
6. Polskie Stowarzyszenie Chorych na Hemofilię. Biuletyn Hemofilia, nr 70. <http://idn.org.pl/hemofilia/biuletyn70.pdf>. Dostęp: 05.06.2025.
7. mp.pl. Leczenie hemofilii w Polsce. <https://www.mp.pl/pacjent/hematologia/aktualnosci/347119,leczenie-hemofilii-w-polsce>. Dostęp: 05.06.2025.
8. politykazdrowotna.com. Hemofilia pod kontrolą. Jak działa Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię? <https://politykazdrowotna.com/artukul/hemofilia-pod-kontrola-n1527477>. Dostęp: 09.06.2025.
9. naukawpolsce.pl. W czwartek Światowy Dzień Chorych na Hemofilię: długość życia pacjentów znacznie się wydłużyła. <https://naukawpolsce.pl/aktualnosci/news%2C107538%2Cw-czwartek-swiatowy-dzien-chorych-na-hemofilie-dlugosc-zycia-pacjentow>. Dostęp: 09.06.2025.
10. medicalpress.pl Wyniki ankiety wśród chorych na hemofilię: potrzebna lepsza praca ośrodków leczenia, telemedycyna i dostawy domowe. https://medicalpress.pl/system/pacjent/wyniki-ankiety-wrd-chorych-na-hemofili-potrzebna-lepsza-praca-orodkw-leczenia-telemedycyna-i-dostawy-domowe_7qy22KnyxO/. Dostęp: 09.06.2025.
11. Colvin, B. T., Astermark, J., Fischer, K., Gringeri, A., Lassila, R., Schramm, W., Thomas, A., & Ingerslev, J. (2008). European principles of haemophilia care. *Haemophilia*, 14(2), 361–374.
12. Modern Healthcare Institute, Rozwój terapii w leczeniu skaz krwotocznych, Warszawa 2021
13. cowzdrowiu.pl. Z czym największy problem mają osoby chore na hemofilię? <https://cowzdrowiu.pl/aktualnosci/post/z-czym-najwiekszy-problem-maja-osoby-chore-na-hemofilie>. Dostęp: 23.04.2025.
14. hematoonkologia.pl. Mamy 1,57 hematologa na 100 tys. osób. Powinno być 2,5. Prof. Lech-Marańda: jest sporo do zrobienia. <https://hematoonkologia.pl/aktualnosci/id/6813-mamy-1-57-hematologa-na-100-tys-osob-powinno-byc-2-5-prof-lech-maranda-jest-sporo>. Dostęp: 23.04.2025.
15. Naczelna Izba Lekarska w Warszawie. Zestawienie liczbowe lekarzy i lekarzy dentyistów wg dziedziny i stopnia specjalizacji z uwzględnieniem podziału na lekarzy wykonujących i nie wykonujących zawodu (01.03.2025).
16. Główny Urząd Statystyczny. Rocznik Demograficzny 2024. <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/roczniki-statystyczne/roczniki-statystyczne/rocznik-demograficzny-2024,3,18.html>. Dostęp: 23.04.2025.
17. Naczelna Izba Pielęgniarek i Położnych. Liczba pielęgniarek i położnych zarejestrowanych i zatrudnionych. <https://nipip.pl/liczba-pielengniarek-polozonych-zarejestrowanych-zatrudnionych/>. Dostęp: 23.04.2025.
18. Naczelna Izba Pielęgniarek i Położnych. Do 2030 roku liczba pielęgniarek i położnych zmniejszy się o ponad 26 tysięcy! – alarmuje samorząd zawodowy – Informacja Prasowa. <https://nipip.pl/do-2030-roku-liczba-pielengniarek-i-polozonych-zmniejszy-sie-o-ponad-26-tysiecy-alarmuje-samorzad-zawodowy-informacja-prasowa/>. Dostęp: 23.04.2025.
19. cowzdrowiu.pl Oczkowski: przetargi na leki po nowemu i z nowoczesnymi terapiami? <https://cowzdrowiu.pl/aktualnosci/post/oczkowski-przetargi-na-leki-po-nowemu-i-z-nowoczesnymi-terapiami>. Dostęp: 08.06.2025.

20. hematoonkologia.pl. Hemofilia pod kontrolą. Jak działa Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię? https://www.rynekzdrowia.pl/serwis-hematoonkologia/Ministerstwo-Zdrowia-opublikowalo-wyjasnienia-ws-terapii-dla-dzieci-z-hemofilia,265179,1023.html#google_vignette. Dostęp: 12.06.2025.
21. medexpress.pl Hemofilia: Odzyskać życie. <https://www.medexpress.pl/leki-technologie-medyczne/hemofilia-odzyskac-zycie/>. Dostęp: 12.06.2025.
22. Davari M, Gharibnaseri Z, Ravanbod R, Sadeghi A. Health status and quality of life in patients with severe hemophilia A: A cross-sectional survey. *Hematol Rep*. 2019 Jun 14;11(2):7894. doi: 10.4081/hr.2019.7894. PMID: 31285808; PMCID: PMC6589534.
23. OPH. (2022, March). Pacjenci z hemofilią typu A niepowikłaną obecnością inhibitora: Raport z badania ilościowego przygotowany dla firmy Roche. Warszawa: OPH Sp. z o.o.
24. Szende A., & Williams A. (Eds.). (2004). *Measuring self-reported population health: An international perspective based on EQ-5D*. EuroQol Group. ISBN 963-9456-47-0.
25. Owsianowska, J. (2017). Ocena poziomu jakości życia chorych na hemofilię. *Pomeranian Journal of Life Sciences*, 63(1), 11–19. Pomorski Uniwersytet Medyczny w Szczecinie.
26. van Balen EC, Hassan S, Smit C, Driessens MHE, Beckers EAM, Coppens M, Eikenboom JC, Hooimeijer HL, Leebeek FWG, Mauser-Bunschoten EP, van Vulpen LFD, Schols SEM, Rosendaal FR, van der Bom JG, Gouw SC. Socioeconomic participation of persons with hemophilia: Results from the sixth hemophilia in the Netherlands study. *Res Pract Thromb Haemost*. 2022 Aug 26;6(6):e12741. doi: 10.1002/rth2.12741. PMID: 36051543; PMCID: PMC9414229
27. National Hemophilia Foundation. (2018). *Impact of hemophilia on employment: Insights from the PROBE study*. Bleeding Disorders. Retrieved April 10, 2025, from <https://www.bleeding.org/research/research-projects/impact-of-hemophilia-on-employment-insights-from-the-probe-study>
28. PEX PharmaSequence (2021). Wpływ hemofilii na życie kobiet jako opiekunek, matek, partnerek pacjentów z hemofilią: Raport z wyników badania syndykatowego. Analiza wywiadów jakościowych. Warszawa.
29. Mortazavi SJ, Bagheri N, Farhoud A, Hadi Kalantar S, Ghadimi E. Total Knee Arthroplasty in Patients with Hemophilia: What Do We Know? *Arch Bone Jt Surg*. 2020 Jul;8(4):470-478. doi: 10.22038/abjs.2019.42247.2149.
30. Beeton K, Rodriguez-Merchan EC, Alltree J. Total joint arthroplasty in haemophilia. *Haemophilia*. 2000 Sep;6(5):474-81. doi: 10.1046/j.1365-2516.2000.00443.x.
31. Tagariello G, Iorio A, Santagostino E, Morfini M, Bisson R, Innocenti M, Mancuso ME, Mazzucconi MG, Pasta GL, Radossi P, Rodorigo G, Santoro C, Sartori R, Scaraggi A, Solimeno LP, Mannucci PM; Italian Association Hemophilia Centre (AICE). Comparison of the rates of joint arthroplasty in patients with severe factor VIII and IX deficiency: an index of different clinical severity of the 2 coagulation disorders. *Blood*. 2009 Jul 23;114(4):779-84. doi: 10.1182/blood-2009-01-195313.
32. Chen, Cheng-Fonga, Yu, Yuan-Binc,d; Tsai, Shang-Wena,b,c; Chiu, Jan-Weic,e; Hsiao, Liang-Tsaic,d; Gau, Jyh-Pyngc,d; Hsu, Hui-Chic,d. Total knee replacement for patients with severe hemophilic arthropathy in Taiwan: A nationwide population-based retrospective study. *Journal of the Chinese Medical Association* 85(2):p 228-232, February 2022. | DOI: 10.1097/JCMA.0000000000000646
33. Rodriguez-Merchan EC, Mosconi M, De la Corte-Rodriguez H, Jannelli E, Pasta G. Total Knee Arthroplasty in People with Hemophilia: Higher Incidence of Periprosthetic Joint Infection and 1-Year Revision/Re-Operation than the General Population and Lower Prosthetic Survival When Early Postoperative Bleeding Complications Occurred: Current Literature Review. *J Clin Med*. 2024 Apr 22;13(8):2447. doi: 10.3390/jcm13082447.
34. Rodriguez-Merchan EC, De la Corte-Rodriguez H, Alvarez-Roman T, Gomez-Cardero P, Encinas-Ullan CA, Jimenez-Yuste V. Complications and Implant Survival of Total Knee Arthroplasty in People with Hemophilia. *J Clin Med*. 2022 Oct 23;11(21):6244. doi: 10.3390/jcm11216244].
35. Forsyth AL, Witkop M, Lambing A, Garrido C, Dunn S, Cooper DL, Nugent DJ. Associations of quality of life, pain, and self-reported arthritis with age, employment, bleed rate, and utilization of hemophilia treatment center and health care provider services: results in adults with hemophilia in the HERO study. *Patient Prefer Adherence*. 2015 Oct 29;9:1549-60. doi: 10.2147/PPA.S87659. PMID: 26604708; PMCID: PMC4631419.
36. BASiW. Podstawowa Opieka Zdrowotna <https://basiw.mz.gov.pl/mapy-informacje/mapa-2022-2026/analizy/podstawowa-opieka-zdrowotna/>. Dostęp: 27.05.2025
37. Narodowy Fundusz Zdrowia. (2025, 3 kwiecień). Odpowiedź na wniosek o udostępnienie informacji publicznej

38. BASiW. Ambulatoryjna opieka specjalistyczna <https://basiw.mz.gov.pl/mapy-informacje/mapa-2022-2026/analizy/ambulatoryjna-opieka-specjalistyczna/>. Dostęp: 7.10.2025
39. BASiW. Programy lekowe. <https://basiw.mz.gov.pl/mapy-informacje/mapa-2022-2026/analizy/programy-lekowe/>. Dostęp: 7.10.2025
40. BASiW. Leczenie szpitalne. <https://basiw.mz.gov.pl/mapy-informacje/mapa-2022-2026/analizy/leczenie-szpitalne/>. Dostęp: 27.05.2025
41. Narodowy Program Leczenia Chorych Na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028. <https://www.gov.pl/web/zdrowie/narodowy-program-leczenia-chorych-na-hemofilie-i-pokrewne-skazy-krwotoczne-na-lata-2024-2028>. Dostęp: 27.05.2025
42. Lista ośrodków realizujących „Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028”. <https://www.gov.pl/web/nck/lista-osrodkow-realizujacych-narodowy-program-leczenia-chorych-na-hemofilie-i-pokrewne-skazy-krwotoczne-na-lata-2024-2028>. Dostęp: 27.05.2025
43. Analiza weryfikacyjna. Wniosek o objęcie refundacją leku Hemlibra (emicizumab) w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u dorosłych z ciężką hemofilią A niepowikłaną inhibitorem (ICD-10: D66)”. https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2024/065/AWA/65_AWA_OT.423.1.27.2024_Hemlibra_04.07.2024_BIP_REOPTR.pdf. Dostęp: 27.05.2025
44. Rind, D. M., Walton, S. M., Agboola, F., Herron-Smith, S., Quach, D., Chapman, R., Pearson, S. D., & Bradt, P. (2020). Valoctocogene roxaparvovec and emicizumab for hemophilia A: Effectiveness and value. Evidence Report. Institute for Clinical and Economic Review. <https://icer-review.org/material/hemophilia-a-update-evidence-report/>
45. Otwarte dane. Liczba pacjentów z udzielonym w danym roku świadczeniem, które zostało sprawozdane do Narodowego Funduszu Zdrowia z danym kodem rozpoznania głównego świadczenia wg klasyfikacji ICD-10 (do poziomu 3 znaków). <https://dane.gov.pl/pl/dataset/2556,liczba-pacjentow-z-udzielonym-w-danym-roku-swiadcz>. Dostęp: 27.05.2025
46. Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 17 września 2025 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 października 2025 r. <https://www.gov.pl/web/zdrowie/obwieszczenie-ministra-zdrowia-z-dnia-17-wrzesnia-2025-r-w-sprawie-wykazu-refundowanych-lekow-srodkow-spozywczych-specjalnego-przeznaczenia-zywnieniowego-oraz-wyrobow-medycznych-na-1-pazdziernika-2025-r>. Dostęp: 18.09.2025
47. onkologia-dzieciecia.pl. Co zmieni Narodowy Program Leczenia Chorych na Hemofilię 2024-28? <https://onkologia-dzieciecia.pl/aktualnosci/news/id/4705-co-zmieni-narodowy-program-leczenia-chorych-na-hemofilie-2024-28>. Dostęp: 16.06.2025
48. www.samedanltd.com. Phase 3 FRONTIER3 interim analysis data presented at EAHAD 2025 showed that 74.3% of children on once-weekly Mim8 prophylaxis experienced zero treated bleeds. <https://www.samedanltd.com/press-releases/phase-3-frontier3-interim-analysis-data-presented-at-eahad-2025-showed-that-74-3-of-children-on-once-weekly-mim8-prophylaxis-experienced-zero-treated-bleeds/>. Dostęp: 30.06.2025
49. Prof. dr hab. n. med. Wojciech Młynarski, „Wykład eksperta – Hemofilia bez tajemnic,” Zjazd Rodzin Fundacji Sanguis, Mszczonów, 26–27 kwietnia 2025, YouTube, <https://youtu.be/1dLDPTBiruc>. Dostęp: 16.06.2025
50. Główny Urząd Statystyczny. Pracujący w gospodarce narodowej w Polsce w grudniu 2024 r. <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/rynek-pracy/pracujacy-zatrudnieni-wynagrodzenia-koszty-pracy/pracujacy-w-gospodarce-narodowej-w-polsce-w-grudniu-2024-r-tablice,28,24.html>. Dostęp: 30.06.2025
51. PEX PharmaSequence Sp. z o.o. (2021). Wpływ hemofilii na życie kobiet jako opiekunek, matek, partnerek pacjentów z hemofilią: Raport z wyników badania syndykatowego – analiza wywiadów jakościowych. https://pexps.pl/wp-content/uploads/2024/08/PEX-Raport-z-badnia-jakosciowego-Wplyw-hemofilii-na-zycie-kobiet-jako-partnerek-i-matek-pacjentow_20210415.pdf Dostęp: 11.06.2025
52. Czasopismo CowZdrowiu. (2022). Leczenie hemofilii w Polsce. Świadczy o jakości życia pacjentów. <https://cowzdrowiu.pl/aktualnosci/post/leczenie-hemofilii-w-polsce-swiadczy-jakosc-zycia-pacjentow> Dostęp: 13.06.2025
53. Genentech. (2022, July 11). New data from Phase III HAVEN 6 study reinforce benefit of Hemlibra for people with moderate or mild hemophilia A. <https://www.gene.com/media/press-releases/14959/2022-07-11/new-data-from-phase-iii-haven-6-study-re> Dostęp: 13.06.2025

54. Roche Registration GmbH. (2023). Charakterystyka Produktu Leczniczego Hemlibra (emicizumab). Europejska Agencja Leków (EMA). https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/hemlibra-epar-product-information_pl.pdf Dostęp: 13.06.2025
55. Srivastava A, Santagostino E, Dougall A, Kitchen S, Sutherland M, Pipe SW, et al. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. *Haemophilia*. 2020 Aug;26 Suppl 6:1-158. doi: 10.1111/hae.14046. Epub 2020 Aug 3. Erratum in: *Haemophilia*. 2021 Jul;27(4):699. doi: 10.1111/hae.14308. PMID: 32744769.
56. Young, G., Liesner, R., Alva, M., Holme, P. A., Hermans, C., Manco-Johnson, M., ... & Mahlangu, J. (2020). Health-related quality of life and caregiver burden in children with hemophilia A and factor VIII inhibitors treated with emicizumab: Results from the HAVEN 2 study. *Haemophilia*, 26(1), e75–e85. <https://doi.org/10.1111/hae.13915>
57. Oldenburg J, Mahlangu JN, Kim B, Schmitt C, Callaghan MU, Young G, Santagostino E, Kruse-Jarres R, Negrier C, Kessler C, Valente N, Asikanius E, Levy GG, Windyga J, Shima M. Emicizumab Prophylaxis in Hemophilia A with Inhibitors. *N Engl J Med*. 2017 Aug 31;377(9):809-818. doi: 10.1056/NEJMoa1703068
58. Young G, Liesner R, Chang T, Sidonio R, Oldenburg J, Jiménez-Yuste V, et al. A multicenter, open-label phase 3 study of emicizumab prophylaxis in children with hemophilia A with inhibitors. *Blood*. 2019 Dec 12;134(24):2127-2138. doi: 10.1182/blood.2019001869.
59. Mahlangu J, Oldenburg J, Paz-Priel I, Negrier C, Niggli M, Mancuso ME, et al. Emicizumab Prophylaxis in Patients Who Have Hemophilia A without Inhibitors. *N Engl J Med*. 2018 Aug 30;379(9):811-822. doi: 10.1056/NEJMoa1803550.
60. Pipe SW, Shima M, Lehle M, Shapiro A, Chebon S, Fukutake K, et al. Efficacy, safety, and pharmacokinetics of emicizumab prophylaxis given every 4 weeks in people with haemophilia A (HAVEN 4): a multicentre, open-label, non-randomised phase 3 study. *Lancet Haematol*. 2019 Jun;6(6):e295-e305. doi: 10.1016/S2352-3026(19)30054-7.
61. Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji. Analiza weryfikacyjna nr DAS.423.1.2.2025 w sprawie objęcia refundacją leku Hemlibra (emicizumab) w ramach programu lekowego „Zapobieganie krwawieniom u pacjentów z hemofilią A niepowikłaną inhibitorem czynnika VIII (ICD-10: D66)”. Warszawa: AOTMiT; 31 lipca 2025. https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2025/104/AWA/104_AWA_DAS.423.1.2.2025_Hemlibra_31.07.2025_5_BIP_REOPTR.pdf. Dostęp: 08.08.2025
62. Windyga, J., Zdziarska, J., Stefańska-Windyga, E., Nowak, W., Kozińska, J., Rupa-Matysek, J., Mital, A., Sikorska, A., & Treliński, J. (2023, July). Real-world unmet needs of adult patients with severe hemophilia A without inhibitors in Poland: How to select the optimal therapy? Poster session presented at the ISTH 2023 Congress, Montréal, Canada.
63. UKHCDO. (2022, August). Certified HEMLIBRA: Real-world effectiveness data from the UKHCDO registry presented at ISTH 2022. Presentation delivered at the ISTH Congress, London, UK.
64. Minister Zdrowia. Narodowy Program Leczenia Chorych Na Hemofilię i Pokrewne Skazy Krwotoczne na lata 2024-2028. <https://www.gov.pl/web/zdrowie/narodowy-program-leczenia-chorych-na-hemofilie-i-pokrewne-skazy-krwotoczne-na-lata-2024-2028>. Dostęp: 27.05.2025
65. Li, C. L., Chan, A. K. C., Matino, D., Bhatt, M. D., Decker, K., & Strike, K. (2021). Telemedicine in haemophilia during COVID-19 and beyond: A comprehensive review. *Journal of Haemophilia Practice*, 8(1), 98–110.
66. Centrum E-zdrowie. E-Konsylium II. <https://cez.gov.pl/pl/page/e-konsylium-ii>. Dostęp: 30.06.2025
67. Ministerstwo Zdrowia. Informacja o dofinansowaniu projektu pn. E-Konsylium II - realizacja zdalnych konsultacji medycznych z wykorzystaniem platformy telemedycznej. <https://www.gov.pl/web/zdrowie/informacja-o-dofinansowaniu-projektu-e-konsylium-realizacja-zdalnych-konsultacji-medycznych-z-wykorzystaniem-platformy-telemedycznej>. Dostęp: 30.06.2025
68. Megías, J. E., Bonanad Boix, S., Palomero Massanet, A., Rodríguez López, M., Canaro, M., Haya, S., Cid, A. R., Monte, E., Bosch, P., Sanz, G., & Poveda Andrés, J. L. (2022). National Survey on the Use of Mobile Applications in Patients with Hemophilia and Other Coagulopathies. *Blood*, 140(Supplement 1), 11308–11309.
69. mp.pl. Prawie normalne życie z hemofilią. <https://www.mp.pl/pacjent/hematologia/wywiady/show.html?id=377937>. Dostęp: 26.06.2025
70. Fundacja Sanguis. <https://skazykrwotoczne.pl/>. Dostęp: 05.08.2025
71. gov.pl. Hemofilia w Polsce – wyzwania i perspektywy. <https://www.gov.pl/web/nck/hemofilia-w-polsce--wyzwania-i-perspektywy>. Dostęp: 26.06.2025
72. hematoonkologia.pl. Webinary. <https://hematoonkologia.pl/webinary>. Dostęp: 26.06.2025

73. Polskie Towarzystwo Diagnostyki Laboratoryjnej. <https://ptdl.pl/>. Dostęp: 26.06.2025
74. World Federation of Hemophilia Shared Decision Making Tool. <https://sdm.wfh.org/>. Dostęp: 08.08.2025
75. Srivastava A, Santagostino E, Dougall A, Kitchen S, Sutherland M, Pipe SW, et al. WFH Guidelines for the Management of Hemophilia, 3rd edition. Haemophilia. 2020;26
76. EY. (2013). Metodyka pomiaru kosztów pośrednich w polskim systemie ochrony zdrowia. Związek Pracodawców Innowacyjnych Firm Farmaceutycznych INFARMA. https://www.infarma.pl/assets/files/raporty/Raport_Metodyka_pomiaru_kosztow_posrednich_2013.pdf (dostęp 22.08.2025)
77. Główny Urząd Statystyczny. Obwieszczenie w sprawie pierwszego szacunku wartości produktu krajowego brutto w 2024 r. <https://stat.gov.pl/sygnalne/komunikaty-i-obwieszczenia/lista-komunikatow-i-obwieszczen/obwieszczenie-w-sprawie-pierwszego-szacunku-wartosci-produktu-krajowego-brutto-w-2024-r-,280,12.html> (dostęp 22.08.2025)
78. Główny Urząd Statystyczny. Pracujący w gospodarce narodowej w Polsce w grudniu 2024 r. – Tablice. <https://stat.gov.pl/obszary-tematyczne/rynek-pracy/pracujacy-zatrudnieni-wynagrodzenia-koszty-pracy/pracujacy-w-gospodarce-narodowej-w-polsce-w-grudniu-2024-r-tablice,28,24.html> (dostęp 22.08.2025)
79. Café, A., Carvalho, M., Crato, M., Faria, M., Kjollerstrom, P., Oliveira, C., Pinto, P. R., Salvado, R., dos Santos, A. A., & Silva, C. (2019). Haemophilia A: health and economic burden of a rare disease in Portugal. Orphanet Journal of Rare Diseases, 14(211).
80. Henrard, S., Devleeschauwer, B., Beutels, P., Callens, M., De Smet, F., Hermans, C., & Speybroeck, N. (2014). The health and economic burden of haemophilia in Belgium: a rare, expensive and challenging disease. Orphanet Journal of Rare Diseases, 9, 39.
81. Zdziarska, J., Chojnowski, K., Klukowska, A., Łętowska, M., Mital, A., Musiał, J., Podolak-Dawidziak, M., Windyga, J., Ovesna, P., Brabec, P., & Zawilska, K. (2011). Registry of inherited bleeding disorders in Poland—current status and potential role of the HemoRec database. Haemophilia, 17(1), e189–e195.
82. praca.asistwork.pl. Ile zarabia sprzątaczką? Wynagrodzenia w usługach porządkowych. [https://praca.asistwork.pl/blog/zarobki-i-finance/ile-zarabia-sprzataczka-wynagrodzenia-w-uslugach-porzadkowych#:~:text=%C5%9Arednie%20wynagrodzenie%20sprz%C4%85taczki%20wynosi%205110,\(przy%20sprz%C4%85taniu%20prywatnych%20dom%C3%B3w\)](https://praca.asistwork.pl/blog/zarobki-i-finance/ile-zarabia-sprzataczka-wynagrodzenia-w-uslugach-porzadkowych#:~:text=%C5%9Arednie%20wynagrodzenie%20sprz%C4%85taczki%20wynosi%205110,(przy%20sprz%C4%85taniu%20prywatnych%20dom%C3%B3w)) (dostęp 02.09.2025)
83. Główny Urząd Statystyczny. Komunikat w sprawie przeciętnego wynagrodzenia w czwartym kwartale 2024 r. <https://stat.gov.pl/sygnalne/komunikaty-i-obwieszczenia/lista-komunikatow-i-obwieszczen/komunikat-w-sprawie-przecietnego-wynagrodzenia-w-czwartym-kwartale-2024-r-,271,47.html>. (dostęp 05.09.2025)
84. Hutton G. Valuation of goods in cost-effectiveness analysis. Geneva: WHO; 2002.
85. World Health Organization. Making choices in health: WHO guide to cost-effectiveness analysis. Geneva: WHO; 2003.
86. Garrison LP Jr, Neumann PJ, Erickson P, Marshall D, Mullins CD. The ISPOR drug cost task force report – a societal perspective. Value Health. 2010;13(1):8-13. doi:10.1111/j.1524-4733.2009.00596.x
87. Sittimart M, Limwattananon S, Teerawattananon Y. Defining the societal perspective in economic evaluations. Pharmacoeconomics. 2024;42(2):123-35. doi:10.1007/s40273-023-01278-3.
88. GBD 2021 Diseases and Injuries Collaborators. (2022). Global incidence, prevalence, years lived with disability, disability-adjusted life-years, and healthy life expectancy for 371 diseases and injuries in 204 countries and territories, 1990–2021: A systematic analysis for the Global Burden of Disease Study 2021. The Lancet, 400(10358), 1204–1250.
89. Global Burden of Disease Collaborative Network. (2022). Appendix 1: Methods appendix to “Global incidence, prevalence, years lived with disability (YLDs), disability-adjusted life-years (DALYs), and healthy life expectancy (HALE) for 371 diseases and injuries in 204 countries and territories and 811 subnational locations, 1990–2021: A systematic analysis for the Global Burden of Disease Study 2021.” Institute for Health Metrics and Evaluation (IHME).
90. Windyga J., Zdziarska J., Stefanska-Windyga E., Chmielewska E., Chojnowski K., Jamrozik M., Kostyra A, Justyna Kozinska, Halyna Krainiak, Jolanta Oleksiuk, Joanna Rupa-Matysek, Ewa Zarzycka, Anna Buczma; Eemiczumab in Management of Hemophilia_A Patients with High Titer FVIII Inhibitor - Real-World Evidence from Poland. Blood 2022; 140 (Supplement 1): 5621–5622. doi: <https://doi.org/10.1182/blood-2022-163567>

-
91. Fedewa SA, Valentino LA, Koo A, Cafuir L, Gillespie TW, Buckner TW, Tran DQ, Antun A, Kempton CL. Global patterns of hemophilia drug trials, hemophilia care, and health care measures. *Res Pract Thromb Haemost*. 2025 Feb 27;9(2):102714. doi: 10.1016/j.rpth.2025.102714.
-
92. Rekomendacja nr 71/2024 z dnia 19 lipca 2024 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie oceny leku Hemlibra (emicizumab) w ramach programu lekowego: „Zapobieganie krwawieniom u dorosłych z ciężką hemofilią A niepowikłaną inhibitorem (ICD-10: D66)”
https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2024/065/REK/2024%2007%2019%20BP%20Rekomendacja%20nr%2071_2024%20Hemlibra%20publikacja_BIP_REOPTR.pdf