



Warszawa, dn. 4 sierpnia 2008 r.

**RZECZPOSPOLITA POLSKA**

**Rzecznik Praw Dziecka**

*Marek Michalak*

Ul. Śniadeckich 10, 00-656 Warszawa  
Tel.: 696 55 44, fax. 629 60 79

ZBIA /45/19-1/2008/EK

**Pani  
Ewa Kopacz  
Minister Zdrowia**

*Szanowna Pani Minister,*

Z satysfakcją i radością przyjąłem wiadomość o rozpoczęciu przez placówki służby zdrowia realizacji programu profilaktycznego „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”. Realizacja tego programu pozwoli dzieciom na normalne uczestniczenie w życiu społecznym oraz zapobiegnie występowaniu powikłań choroby.

Niepokojem jednak napawa fakt, że nie wszystkie chore dzieci będą mogły być objęte tym programem. Według danych zawartych w opublikowanym komunikacie Narodowego Funduszu Zdrowia, około 40 pacjentów chorujących na postać hemofilii powikłanej inhibitorem nie będzie objęta programem.

Zwracam się do Pani Minister z wielką prośbą o wnikliwe, powtórne rozpatrzenie zasadności pozbawienia tej grupy dzieci możliwości skorzystania z programu.

W opinii Rzecznika Praw Dziecka los każdego dziecka chorego na hemofilię jest ważny i każde dziecko ma prawo do skorzystania z programu profilaktycznego. Na nas, dorosłych spoczywa obowiązek zapewnienia kompleksowej pomocy wszystkim dzieciom. Dzieciom najciężej chorym nie możemy odbierać nadziei i skazywać na oczekiwanie.

Stosownie do art. 10 ust.1 pkt 1 ustawy z dnia 6 stycznia 2000 r. o Rzeczniku Praw Dziecka (Dz. U. Nr 6, poz. 69), zwracam się z prośbą o pilne rozpoznanie powyższego problemu i udzielenie informacji.

*Z wyrazami szacunku  
Marek Michalak*



# MINISTER ZDROWIA

Warszawa, 2008-09-11

MR-PZ-PZ-

Biuro Rzecznika Praw Dziecka  
400-4805-48/PK/08

WPLYNEŁO

17. 09. 2008 / 9813

Ilość załączników

Podpis

Dekretacja

p. Ewa Kowalska

Pan

Marek Michalak

Rzecznik Praw Dziecka

Szanowny Panie,

W odpowiedzi na pismo Pana Rzecznika znak: ZBIA/45/19-1/2008/EK, z dnia 4 sierpnia 2008 roku, w sprawie programu profilaktycznego pn., „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”, uprzejmie wyjaśniam, co następuje.

Celem terapeutycznego programu zdrowotnego finansowanego ze środków Narodowego Funduszu Zdrowia jest wprowadzenie profilaktyki krwawień u dzieci chorych na hemofilię A lub B, poprzez uzupełnianie niedoborów czynnika krzepnięcia VIII (hemofilia A) lub czynnika IX (hemofilia B). Takie leczenie nazywane substytucyjnym i zapobiega ciężkim powikłaniom tej choroby, do których należą m. in. wylewy do stawów. W wyniku leczenia u części chorych dochodzi powikłania choroby i wytworzenia przez organizm pacjenta przeciwciał (zwanych również inhibitorem lub antykoagulantem) skierowanych przeciwko czynnikowi krzepnięcia VIII lub IX. W rezultacie podawany czynnik krzepnięcia jest niszczone przez organizm pacjenta, a dalsze leczenie substytucyjne staje się nieskuteczne oraz może prowadzić do zwiększania się ilości (miana) inhibitora. Obecność inhibitora u dzieci chorych na hemofilię A i B stanowi kryterium wykluczające je z w/w programu profilaktycznego, gdyż mogłoby doprowadzić do zwiększenia się miana przeciwciał, co z kolei prowadzi do zaostrzenia choroby. Najlepszym sposobem leczenia tych pacjentów jest próba zmniejszenia miana inhibitora poprzez wywołanie immunotolerancji. Indukcja immunotolerancji (ang. *immune tolerance induction* – ITI) obejmuje regularne (codziennie lub kilka razy w tygodniu) wstrzykiwanie zmiennych, bardzo wysokich dawek czynnika VIII lub IX w okresie miesięcy lub nawet lat w celu zaprzestania produkcji przez system

immunologiczny pacjenta przeciwciał w kierunku czynnika VIII lub IX. Immunotolerancja jest skuteczna u większości pacjentów, jednakże jest niezwykle kosztowna i długotrwała. Z uwagi na fakt, że zgodnie ze wstępnymi szacunkami problem dotyczy 34 dzieci, czyli nielicznej grupy pacjentów jednakże wymagających bardzo kosztownej terapii, Zarządzeniem Ministra Zdrowia z dnia 21 lipca 2008 r. został powołany Zespół ds. Chorób Rzadkich, który m. in. powinien rozpatrzyć pod kątem zaliczenia do grupy chorób rzadkich hemofilię A i B powikłaną inhibitorem u dzieci. Ponadto, kwestia wywołania immunotolerancji u dzieci chorych na hemofilię A i B powikłaną inhibitorem, jest szczegółowo analizowana przez Wydział Monitoringu Kosztów Świadczeń Opieki Zdrowotnej w Agencji Oceny technologii Medycznych. Po uzyskaniu szczegółowych ekspertyz zostaną podjęte stosowne decyzje w przedmiotowej sprawie.

Pragnę podkreślić, że zabezpieczenie tej grupy pacjentów jest przedmiotem szczególnej troski Ministra Zdrowia i każde dziecko, u którego uda się przeprowadzić skuteczną immunotolerancję zostanie niezwłocznie włączone do programu profilaktycznego pn.: „Zapobieganie krwawieniom u dzieci z hemofilią A i B”, bowiem przedmiotowy program dotyczy wszystkich dzieci chorych na hemofilię A i B, które zgodnie z jego założeniem mają medyczne wskazania do profilaktyki.

*Z poważaniem*

Z upoważnienia  
MINISTRA ZDROWIA  
ODSEKRETARZ STANU  
*Marek Haber*