



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 101/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia
żywnościowego PKU Cooler 10 Red EAN 5060014051363
we wskazaniu: dieta eliminacyjna w fenyloketonurii
gotowa do użycia, w płynie, skondensowana, porcjowana zawierająca
DHA przeznaczona dla dzieci powyżej 3 r. ż., młodzieży, dorosłych
oraz kobiet w ciąży

Rada uważa za zasadne finansowanie środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywnościowego PKU Cooler we wszystkich zarejestrowanych wskazaniach, w ramach oddzielnej grupy limitowej z odpłatnością 30%. Rada nie akceptuje proponowanego mechanizmu podziału ryzyka.

Uzasadnienie

Objęcie refundacją preparatu PKU Cooler zwiększy różnorodność preparatów żywnościowych dostępnych w Polsce dla pacjentów z fenyloketonurią. Różnorodność form i smaków preparatów dla pacjentów z fenyloketonurią jest kluczowa dla poprawy stosowania się do zaleceń lekarzy (adherencji).

Przedmiot wniosku

Przedmiotem wniosku jest objęcia refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywnościowego, stosowanych we wskazaniu: dieta eliminacyjna w fenyloketonurii gotowa do użycia, w płynie, skondensowana, porcjowana zawierająca DHA przeznaczona dla dzieci powyżej 3 r. ż., młodzieży, dorosłych oraz kobiet w ciąży. Zlecenie MZ dotyczy:

- PKU Cooler 10 Purple, płyn, produkt gotowy do spożycia, 10 g białka/87 ml, 30 torebek po 87 ml EAN 5060014051387;
- PKU Cooler 10 White, płyn, produkt gotowy do spożycia, 10 g białka/87 ml, 30 torebek po 87 ml EAN 5060014051394;
- PKU Cooler 10 Red, płyn, produkt gotowy do spożycia, 10 g białka/87 ml, 30 torebek po 87 ml EAN 5060014051363;
- PKU Cooler 10 Orange, płyn, produkt gotowy do spożycia, 10 g białka/87 ml, 30 torebek po 87 ml EAN 5060014051370;
- PKU Cooler 15 Red, płyn, produkt gotowy do spożycia, 15 g białka/130 ml, 30 torebek po 130 ml EAN 5060014051417;
- PKU Cooler 15 Purple, płyn, produkt gotowy do spożycia, 15 g białka/130 ml, 30 torebek po 130 ml EAN 5060014051431;
- PKU Cooler 15 Orange, płyn, produkt gotowy do spożycia, 15 g białka/130 ml, 30 torebek po 130 ml EAN 5060014051424;
- PKU Cooler 15 White, płyn, produkt gotowy do spożycia, 15 g białka/130 ml, 30 torebek po 130 ml EAN 5060014051479;



- PKU Cooler 20 Purple, płyn, produkt gotowy do spożycia, 20 g białka/174 ml, 30 torebek po 174 ml EAN 5060014051554;
- PKU Cooler 20 Red, płyn, produkt gotowy do spożycia, 20 g białka/174 ml, 30 torebek po 174 ml EAN 5060014051530;
- PKU Cooler 20 Orange, płyn, produkt gotowy do spożycia, 20 g białka/174 ml, 30 torebek po 174 ml EAN 5060014051547;
- PKU Cooler 20 White, płyn, produkt gotowy do spożycia, 20 g białka/174 ml, 30 torebek po 174 ml EAN 5060014051684.

Niniejsze stanowisko dotyczy opakowania: PKU Cooler 10 Red, płyn, produkt gotowy do spożycia, 10 g białka/87 ml, 30 torebek po 87 ml EAN 5060014051363.

Problem zdrowotny

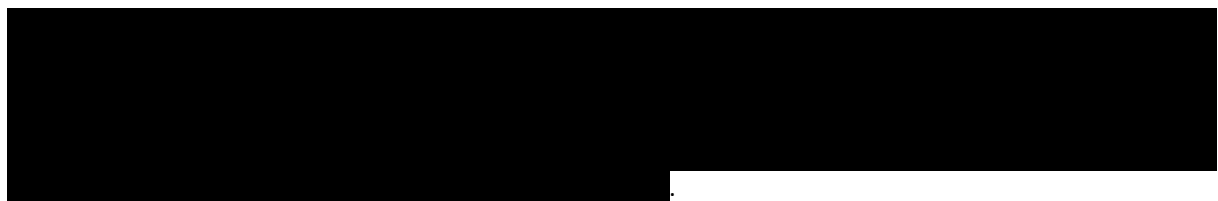
Klasyczna hiperfenyloalaninemia, nazywana fenyloketonurią (phenylketonuria, PKU), jest spowodowana całkowitym brakiem aktywności hydroksylazy fenyloalaniny, enzymu warunkującego przemianę fenyloalaniny w tyrozynę. Badania przesiewowe w kierunku PKU, wykonywane u wszystkich noworodków, umożliwiają rozpoznanie choroby w okresie bezobjawowym i wczesne eliminowanie fenyloalaniny z diety, co zapobiega postępującemu uszkodzeniu mózgu. Warunkiem pełnej skuteczności leczenia fenyloketonurii jest rozpoczęcie stosowania diety eliminacyjnej najpóźniej w 3. mż. i systematyczne jej przestrzeganie. W celu obniżenia stężenia fenyloalaniny we krwi stosuje się różne mieszanki mlekozastępcze, które pozwalają na ograniczenie podaży fenyloalaniny, bez zmniejszenia ogólnej podaży białka (specjalne mieszanki lecznicze różnych firm). Najwyższe stężenie fenyloalaniny w czasie leczenia powinno wynosić 3-7 mg/dl (0,18-0,42 mmol/l). Nadmierne obniżenie podaży fenyloalaniny może prowadzić do jej niedoboru: zahamowania wzrostu, senności, niedokrwistości, biegunki, a nawet do zgonu. Obecnie coraz powszechniej uważa się, że ograniczenia dietetyczne należy stosować przez całe życie. Szczególnie ważne jest utrzymanie stężenia fenyloalaniny poniżej 10 mg/dl (0,6 mmol/l) w czasie trwania ciąży u kobiet z fenyloketonurią. Wyższe stężenia fenyloalaniny u przyszłej matki zagrażają wystąpieniem u noworodka tzw. fenyloketonurii matczynej, która objawia się opóźnieniem umysłowym, małą głową, niekiedy wrodzoną wadą serca.

Warunkiem pełnej skuteczności leczenia fenyloketonurii jest rozpoczęcie stosowania diety eliminacyjnej najpóźniej w 3 mż. i systematyczne jej przestrzeganie. W celu obniżenia stężenia fenyloalaniny we krwi stosuje się różne mieszanki mlekozastępcze, które pozwalają na ograniczenie podaży fenyloalaniny, bez zmniejszenia ogólnej podaży białka (specjalne mieszanki lecznicze różnych firm).

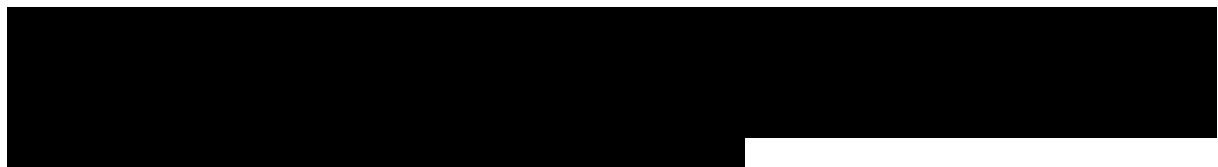
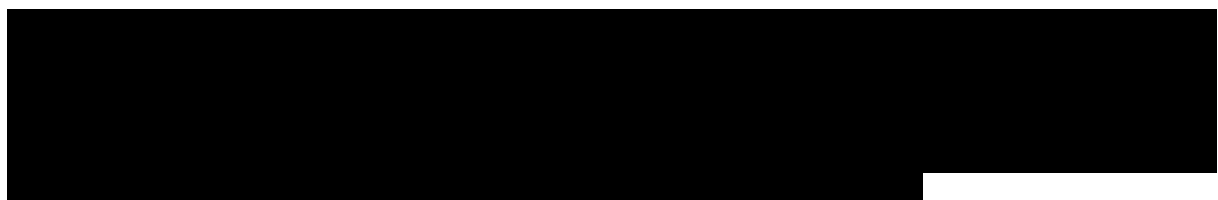
Opis wnioskowanej technologii medycznej

Rodzina produktów PKU Express - dietetyczne środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego.

Alternatywne technologie medyczne



Skuteczność kliniczna



[Redacted text block]

Skuteczność praktyczna

[Redacted text block]

Bezpieczeństwo stosowania

[Redacted text block]

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

[Redacted text block]

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

[Redacted text block]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Wpływ na budżet płatnika publicznego

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

Wydatki		paź-gru 2013	2014	2015
Środki uwolnione		paź-gru 2013	2014	2015

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Odnalezione wytyczne kliniczne zalecają stosowanie diety niskofenyloalaninowej; w żadnym z dokumentów nie znalazła się informacja zalecająca konkretnie dietę PKU Cooler. Podstawą diety są białkozastępcze preparaty nisko- lub bezfenyloalaninowe. Możliwe jest spożywanie niskobiałkowych pokarmów (owoce, warzywa niskoskrobiowe). Informację o pozytywnej rekomendacji refundacyjnej dla diety PKU Cooler odnaleziono jedynie na stronie PBAC.

Dodatkowe uwagi Rady

Brak uwag.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości przyjęła stanowisko jak na wstępie.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych AOTM-OT-4350-6/JM/2013, „PKU Cooler 10 Purple, płyn, produkt gotowy do spożycia, 10 g białka/87 ml, 30 torebek po 87 ml EAN 5060014051387, PKU Cooler 10 White, płyn, produkt gotowy do spożycia, 10 g białka/87 ml, 30 torebek po 87 ml EAN 5060014051394, PKU Cooler 10 Red, płyn, produkt gotowy do spożycia, 10 g białka/87 ml, 30 torebek po 87 ml EAN 5060014051363, PKU Cooler 10 Orange, płyn, produkt gotowy do spożycia, 10 g białka/87 ml, 30 torebek po 87 ml EAN 5060014051370, PKU Cooler 15 Red, płyn, produkt gotowy do spożycia,

15 g białka/130 ml, 30 torebek po 130 ml EAN 5060014051417, PKU Cooler 15 Purple, płyn, produkt gotowy do spożycia,
15 g białka/130 ml, 30 torebek po 130 ml EAN 5060014051431, PKU Cooler 15 Orange, płyn, produkt gotowy do spożycia,
15 g białka/130 ml, 30 torebek po 130 ml EAN 5060014051424, PKU Cooler 15 White, płyn, produkt gotowy do spożycia,
15 g białka/130 ml, 30 torebek po 130 ml EAN 5060014051479, PKU Cooler 20 Purple, płyn, produkt gotowy do spożycia,
20 g białka/174 ml, 30 torebek po 174 ml EAN 5060014051554 PKU Cooler 20 Red, płyn, produkt gotowy do spożycia,
20 g białka/174 ml, 30 torebek po 174 ml EAN 5060014051530, PKU Cooler 20 Orange, płyn, produkt gotowy do spożycia,
20 g białka/174 ml, 30 torebek po 174 ml EAN 5060014051547, PKU Cooler 20 White, płyn, produkt gotowy do spożycia,
20 g białka/174 ml, 30 torebek po 174 ml EAN 5060014051684 we wskazaniu: dieta eliminacyjna w fenyloketonurii gotowa do użycia, w płynie, skondensowana, porcjowana zawierająca DHA przeznaczona dla dzieci powyżej 3 r. ż., młodzieży, dorosłych oraz kobiet w ciąży” ,czerwiec 2013.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie:

1. Nie dotyczy.