



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 113/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Express 15 o smaku neutralnym EAN 5060014051585 we wskazaniu: dieta eliminacyjna w fenyloketonurii – skondensowany, porcjowany preparat w proszku, przeznaczony dla dzieci powyżej 3 r.ż., młodzieży, dorosłych oraz kobiet w ciąży

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

**Uzasadnienie**

*Objęcie refundacją preparatu PKU Express zwiększy różnorodność preparatów żywieniowych 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**

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy objęcia refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, stosowanych we wskazaniu: dieta eliminacyjna w fenyloketonurii – skondensowany, porcjowany preparat w proszku, przeznaczony dla dzieci powyżej 3 r.ż., młodzieży, dorosłych oraz kobiet w ciąży. Zlecenie MZ dotyczy:

- PKU Express 15 o smaku cytrynowym, proszek, 15 g białka/25 g, 30 saszetek po 25 g, kod EAN 5060014051745;
- PKU Express 15 o smaku neutralnym, proszek, 15 g białka/25 g, 30 saszetek po 25 g, kod EAN 5060014051585;
- PKU Express 15 o smaku owoców tropikalnych, proszek, 15 g białka/25 g, 30 saszetek po 25 g, kod EAN 5060014051752;
- PKU Express 15 o smaku pomarańczowym, proszek, 15 g białka/25 g, 30 saszetek po 25 g, kod EAN 5060014051738;
- PKU Express 20 o smaku cytrynowym, proszek, 20 g białka/25 g, 30 saszetek po 34 g, kod EAN 5060014051776;
- PKU Express 20 o smaku neutralnym, proszek, 20 g białka/25 g, 30 saszetek po 34 g, kod EAN 5060014051639;
- PKU Express 20 o smaku owoców tropikalnych, proszek, 20 g białka/25 g, 30 saszetek po 34 g, kod EAN 5060014051783;
- PKU Express 20 o smaku pomarańczowym, proszek, 20 g białka/25 g, 30 saszetek po 34 g, kod EAN 5060014051769.



Niniejsze stanowisko dotyczy opakowania: PKU Express 15 o smaku neutralnym, proszek, 15 g białka/25 g, 30 saszetek po 25 g, kod EAN 5060014051585.

### **Problem zdrowotny**

Klasyczna hiperfenyloalaninemia, nazywana fenylketonurią (phenylketonuria = PKU), jest spowodowana całkowitym brakiem aktywności hydroksylazy fenylalaniny, enzymu warunkującego przemianę fenylalaniny w tyrozynę. Badania przesiewowe w kierunku PKU, wykonywane u wszystkich noworodków, umożliwiają rozpoznanie choroby w okresie bezobjawowym i wczesne eliminowanie fenylalaniny z diety, co zapobiega postępującemu uszkodzeniu mózgu. Warunkiem pełnej skuteczności leczenia fenylketonurii jest rozpoczęcie stosowania diety eliminacyjnej najpóźniej w 3. mż. i systematyczne jej przestrzeganie. W celu obniżenia stężenia fenylalaniny we krwi stosuje się różne mieszanki mlekozastępcze, które pozwalają na ograniczenie podaży fenylalaniny, bez zmniejszenia ogólnej podaży białka (specjalne mieszanki lecznicze różnych firm). Najwyższe stężenie fenylalaniny w czasie leczenia powinno wynosić 3-7 mg/dl (0,18-0,42 mmol/l). Nadmierne obniżenie podaży fenylalaniny 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 fenylalaniny poniżej 10 mg/dl (0,6 mmol/l) w czasie trwania ciąży u kobiet z fenylketonurią. Wyższe stężenia fenylalaniny u przyszłej matki zagrażają wystąpieniem u noworodka tzw. fenylketonurii matczynej, która objawia się opóźnieniem umysłowym, małogłowie, niekiedy wrodzoną wadą serca.

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

### **Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Rodzina produktów PKU Cooler - dietetyczne środki spożywcze specjalnego przeznaczenia medycznego.

Data wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu: 31.12.2012r.

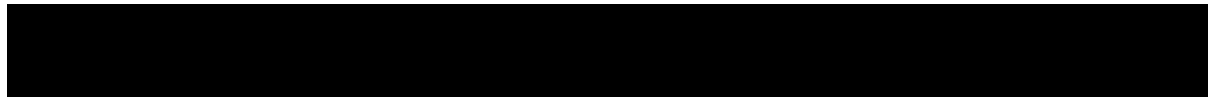
Wskazanie: dieta eliminacyjna w fenylketonurii gotowa do użycia, w płynie, skondensowana, porcjowana zawierająca DHA przeznaczona dla dzieci powyżej 3 r.ż., młodzieży, dorosłych oraz kobiet w ciąży.

Zalecana dawka produktu zależy od wieku, masy ciała oraz stanu klinicznego pacjenta.

### **Alternatywne technologie medyczne**



### **Skuteczność kliniczna**



[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[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 text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

**Wpływ na budżet płatnika publicznego**

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

**Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]
[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]	[Redacted]

[REDAKTOWANE]			
[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]
[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]	[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

### 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 Express. Podstawą diety są białkozastępcze preparaty nisko- lub bezfenyloalaninowe. Możliwe jest spożywanie niskobiałkowych pokarmów (owoce, warzywa niskoskrobiowe). Nie odnaleziono rekomendacji klinicznych odnoszących się wprost do wnioskowanego śsspż. Informację o refundacji diety PKU Express odnaleziono jedynie na stronie PBAC. Zamieszczono tam jedynie adnotację o pozytywnej rekomendacji.

### Dodatkowe uwagi Rady

Nie dotyczy.

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

[REDAKTOWANE]

[REDAKTOWANE]

### 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-4350-8/2013, „Wniosek o objęcie refundacją środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego: PKU Express 15 o smaku cytrynowym, proszek, 15 g białka/25 g, 30 saszetek po 25 g, kod EAN 5060014051745, PKU Express 15 o smaku neutralnym, proszek, 15 g białka/25 g, 30 saszetek po 25 g, kod EAN 5060014051585, PKU Express 15 o smaku owoców tropikalnych, proszek, 15 g białka/25 g, 30 saszetek po 25 g, kod EAN 5060014051752, PKU Express 15 o smaku pomarańczowym, proszek, 15 g białka/25 g, 30 saszetek po 25 g, kod EAN 5060014051738, PKU Express 20 o smaku cytrynowym, proszek, 20 g białka/25 g, 30 saszetek po 34 g, kod EAN 5060014051776, PKU Express 20 o smaku neutralnym, proszek, 20 g białka/25 g, 30 saszetek po 34 g, kod EAN 5060014051639, PKU Express 20 o smaku owoców tropikalnych, proszek, 20 g białka/25 g, 30 saszetek po 34 g, kod EAN 5060014051783, PKU Express 20 o smaku pomarańczowym, proszek, 20 g białka/25 g, 30 saszetek po 34 g, kod EAN 5060014051769, we wskazaniu: dieta eliminacyjna w fenylketonurii – skondensowany, porcjowany preparat w proszku, przeznaczony 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.