



Rekomendacja nr 62/2014

z dnia 25 lutego 2014 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych

**w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego:
Glycosade (Dieta eliminacyjna), saszetki á 60 g
we wskazaniu: glikogenoza typu I.**

Prezes Agencji rekomenduje wydawanie zgód na refundację w ramach procedury zapotrzebowania na sprowadzenie z zagranicy produktu leczniczego nieposiadającego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu, niezbędnego dla ratowania życia lub zdrowia pacjenta (import docelowy), środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego: Glycosade (Dieta eliminacyjna), saszetki á 60 g we wskazaniu: glikogenoza typu I.

Uzasadnienie rekomendacji

Prezes Agencji, przychylając się do stanowiska Rady Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego: Glycosade (Dieta eliminacyjna), saszetki á 60 g we wskazaniu: glikogenoza typu I.

Dowody naukowe wskazujące na zasadność stosowania środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Glycosade w leczeniu glikogenozy typu I pochodzą z ograniczonej ilości, słabej/umiarkowanej jakości badań klinicznych. Stosowanie przetworzonej skrobi kukurydzianej u pacjentów cierpiących na glikogenozę typu I jest rekomendowane przez zespół European Study on Glycogen Storage Disease Type I. Brak jest danych pozwalających ocenić kosztową efektywność interwencji, jednak rekomendacje innych instytucji dotyczące finansowania produktu Glycosade we wskazaniu: choroby spichrzeniowe glikogenu, są również pozytywne.

Ze względu na ograniczoną ilość i jakość danych naukowych ocena środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego wymaga weryfikacji po ukazaniu się wyników kolejnych badań klinicznych.

Przedmiot wniosku

Wniosek dotyczy zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspż): Glycosade (Dieta eliminacyjna), saszetki á 60 g we wskazaniu: glikogenoza typu I. Środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego Glycosade (Dieta eliminacyjna), saszetki á 60 g nie posiada ważnego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu



na terytorium Polski, może być jednak sprowadzany z zagranicy, jeżeli jego zastosowanie jest niezbędne dla ratowania życia lub zdrowia pacjenta, na warunkach i w trybie określonym w art. 29a ust. 5 ustawy z dnia 25 sierpnia 2006 r. o bezpieczeństwie żywności i żywienia (Dz.U. z 2010 r., Nr 136, poz 914 z późn. zm.). Minister Zdrowia może wydać zgodę na refundację sprowadzanego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego na podstawie art. 39 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. Preparat jest wtedy wydawany świadczeniobiorcy po wniesieniu opłaty ryczałtowej.

Problem zdrowotny

Glikogenozy (ang. glycogen storage diseases – GSD) to choroby genetyczne wynikające z zaburzeń metabolizmu glikogenu - polimerycznej cząsteczki wielocukru będącego materiałem zapasowym, służącym, jako wewnątrzkomórkowe źródło energii.

Częstość występowania wszystkich typów glikogenoz w populacji wynosi 1:40 000, natomiast częstość występowania glikogenozy typu I wynosi 1:100 tysięcy żywych urodzeń.

Opis wnioskowanego świadczenia

Glycosade jest wskazany do stosowania dietetycznego w przypadku choroby związanej z odkładaniem glikogenu (GSD), gdzie wskazane jest stosowanie skrobi długo działającej. Każda saszetka 60 g Glycosade zawiera tyle samo węglowodanów co 55g nieprzetworzonej skrobi kukurydzianej.

Alternatywna technologia medyczna

W opinii ekspertów nie ma terapii alternatywnej dla stosowania Glycosade.

Skuteczność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania

Odnaleziono jedno randomizowane, kontrolowane badanie (Correia 2008) porównujące skuteczność skrobi modyfikowanej (Glycosade) z obecnie stosowaną terapią skrobią kukurydzianą u pacjentów z glikogenozą typu I. Wyniki wskazują, iż skrobia modyfikowana okazała się skuteczniejsza od standardowej terapii w celu zapobiegania hipoglikemii. Do analizy klinicznej włączono 2 przeglądy systematyczne. Zarówno w publikacjach autorstwa Froissart 2011 jak i Shah 2013, zwrócono uwagę, iż spożywanie modyfikowanej skrobi kukurydzianej utrzymuje znacznie dłużej stężenie glukozy we krwi, niż standardowo stosowana skrobia kukurydziana.

Skuteczność praktyczna

Nie odnaleziono dowodów naukowych dokumentujących skuteczność praktyczną.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

W 2012 r. wydano 7 zgód na import docelowy Glycosade, łączna liczba zrefundowanych opakowań wyniosła 30, gdzie kwota za opakowanie 738,55 PLN. W 2013 r. (dane za II kwartał) wydano 9 zgód na import docelowy Glycosade, łączna liczba zrefundowanych opakowań wyniosła 51, gdzie kwota za opakowanie wahała się w przedziale 451-743 PLN.

Na podstawie opinii ekspertów finansowanie Glycosade stosowanego we wskazaniu: glikogenoza typu I jest uzasadnione, ponieważ nie ma innej skutecznej terapii.

Omówienie rekomendacji wydawanych w innych krajach w odniesieniu do ocenianej technologii

Odnaleziono 2 rekomendacje kliniczne dotyczące postępowania klinicznego u pacjentów z glikogenozą typu I. Wytyczne autorstwa British Inherited Metabolic Disease Group nie zawierały informacji dotyczących zastosowania preparatu Glycosade we wnioskowanym wskazaniu. European

Study on Glycogen Storage Disease Type I rekomenduje stosowanie przetworzonej skrobi kukurydzianej u pacjentów cierpiących na glikogenezę typu I.

Odnaleziono 3 rekomendacje dotyczące finansowania produktu Glycosade we wskazaniu: choroby spichrzeniowe glikogenu. Do analizy włączono rekomendacje PBAC, Ontario - Ministry of Health and Long-Term Care oraz INAMI. Wszystkie przedstawione rekomendacje były pozytywne.

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 03.07.2013r. Ministra Zdrowia (znak: MZ-PLD-460-18536-42/AL/13), w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspż) Glycosade (Dieta eliminacyjna), saszetki á 60 g we wskazaniu: glikogenoza typu I, sprowadzanego zgodnie art. 29a ust. 5 ustawy z dnia 25 sierpnia 2006 r. o bezpieczeństwie żywności i żywienia (Dz.U. z 2010 r., Nr 136, poz. 914 z późn. zm.) na podstawie art. 31e ustawy z dnia 24 sierpnia 2004 roku o świadczeniach zdrowotnych finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz. 1027, z późn. zm.), i w związku z art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. Nr 122, poz. 696, z późn. zm.), po uzyskaniu stanowiska Rady Przejrzystości nr 71/2014 z dnia 25 lutego 2014 r. w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Glycosade (Dieta eliminacyjna), saszetki á 60 g we wskazaniu: glikogenoza typu I.

Piśmiennictwo:

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 71/2014 z dnia 25 lutego 2014 r. w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Glycosade (Dieta eliminacyjna), saszetki á 60 g we wskazaniu: glikogenoza typu I
2. Raport nr: AOTM-DS-431-13/2013, Zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Glycosade (Dieta eliminacyjna), saszetki á 60 g we wskazaniu: glikogenoza typu I. Data ukończenia: 20 lutego 2014 r.