



Rekomendacja nr 61/2014

z dnia 25 lutego 2014 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych

**w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego: Cholesterol
Module (Dieta eliminacyjna), proszek, 450 g,
we wskazaniu Zespół Smitha - Lemliego – Opitza.**

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 dla środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego: Cholesterol Module (Dieta eliminacyjna), proszek, 450 g, we wskazaniu Zespół Smitha - Lemliego – Opitza.

Uzasadnienie rekomendacji

Prezes Agencji, przychylając się do stanowiska Rady Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego: Cholesterol Module (Dieta eliminacyjna), proszek, 450 g, we wskazaniu Zespół Smitha - Lemliego – Opitza.

Brak jest technologii alternatywnych mogących zastąpić stosowanie Cholesterolu Module w Zespole Smitha-Lemliego-Opitza. Biorąc pod uwagę niewielką liczbę przypadków tej wady i pozytywne opinie ekspertów zasadnym jest finansowanie wnioskowanej technologii ze środków publicznych.

Przedmiot wniosku

Wniosek dotyczy zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspż): Cholesterol Module (Dieta eliminacyjna), proszek, 450g we wskazaniu: Zespół Smitha-Lemliego-Opitza. Środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego Cholesterol Module (dieta eliminacyjna), proszek, 450g 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 żywnościowego oraz wyrobów medycznych. Preparat jest wtedy wydawany świadczeniobiorcy po wniesieniu opłaty ryczałtowej.

Problem zdrowotny

Zespół Smith-Lemli-Opitz (SLOS) jest wrodzoną chorobą metaboliczną uwarunkowaną genetycznie, dziedziczną w sposób autosomalny recesywny. Powodem choroby są wysokie poziomy prekursorów cholesterolu 7-dehydrocholesterolu (DHCR7) oraz 8-dehydrocholesterolu (DHCR8) prowadzące do zaburzeń jego syntezy. W ZSLO dochodzi do gromadzenia się 7-dehydrocholesterolu (7-DHC) w tkankach całego organizmu. Niedobór cholesterolu z kolei powoduje występowanie szeregu zaburzeń rozwojowych u płodu, w skrajnych przypadkach nawet do jego obumarcia.

Opis wnioskowanego świadczenia

Cholesterol Module jest środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywnościowego wskazanym do stosowania w Zespole Smith-Lemli-Opitz. Preparat zalecany jest dla niemowląt, dzieci i dorosłych. Dawki powinny być oparte na poziomach cholesterolu w surowicy i jego metabolitach. Większość schematów leczenia sugeruje dawki preparatu 100 mg/kg/dzień. Jedna miarka Cholesterol Module zawiera około 5,9 gram cholesterolu.

Alternatywna technologia medyczna

Nie ma terapii alternatywnej dla stosowania Cholesterolu Module.

Skuteczność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania

Odnaleziono jeden przegląd systematyczny autorstwa Svoboda (2012). W publikacji zwrócono uwagę, iż najbardziej powszechną formą suplementacji cholesterolu w diecie są żółtka jaja i/lub zawiesina cholesterolu, która jest dostępna jako krystaliczny proszek do rozpuszczania w oleju, wodzie lub posypywania żywności. Rzadziej, zwiększenie podaży cholesterolu, może polegać na stosowaniu diety bogato cholesterolowej z użyciem masła, śmietany i mięsa.

Do analizy klinicznej włączono 5 publikacji (jeden przegląd systematyczny i 4 badania kliniczne), dotyczących efektów suplementacji egzogenego cholesterolu u pacjentów z zespołem Smith-Lemli-Opitza. Tylko w jednym z badań (Szabo 2010, opis przypadku), odniesiono się bezpośrednio do zastosowania preparatu Cholesterol Module jako formy terapii. W pozostałych badaniach klinicznych, suplementację cholesterolu przedstawiono jako połączenie diety składającej się z cholesterolu pochodzącego ze źródeł naturalnych oraz stosowania cholesterolu w formie krystalicznej. Wyniki wszystkich zaprezentowanych badań klinicznych wskazują na pozytywny efekt zastosowania suplementacji egzogenego cholesterolu u pacjentów z zespołem Smith-Lemli-Opitza.

Skuteczność praktyczna

Nie odnaleziono dowodów naukowych dokumentujących skuteczność praktyczną.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

W 2012 r. wydano 18 zgód na import docelowy Cholesterol Module, łączna liczba zrefundowanych opakowań wyniosła 530, gdzie kwota za opakowanie wahała się w granicach 524,63 - 623,26 PLN. W 2013 r. (dane za II kwartał) wydano 10 zgód (12 zgód na sprowadzenie) na import docelowy Cholesterol Module, łączna liczba zrefundowanych opakowań wyniosła 365, gdzie kwota za opakowanie wyniosła 649,42 PLN.

Omówienie rekomendacji wydawanych w innych krajach w odniesieniu do ocenianej technologii

Odnaleziono jedną rekomendację autorstwa Canadian Paediatric Surveillance Program dotyczącą pozytywnych efektów suplementacji cholesterolu u pacjentów z zespołem Smith-Lemli-Opitz. Rekomendacja nie odnosi się bezpośrednio do zastosowania produktu Cholesterol Module.

Nie odnaleziono rekomendacji finansowych dla wnioskowanego preparatu we wskazaniu będącym przedmiotem zlecenia.

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 01.10.2013r. Ministra Zdrowia (znak: MZ-PLD-460-18536-60/AL/13), w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspż) Cholesterol Module (Dieta eliminacyjna), proszek, 450 g, we wskazaniu: Zespół Smitha - Lemliego - Opitza, 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 70/2014 z dnia 25 lutego 2014 r. w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Cholesterol Module we wskazaniu Zespół Smitha-Lemliego-Opitza.

Piśmiennictwo:

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 70/2014 z dnia 25 lutego 2014 r. w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Cholesterol Module we wskazaniu Zespół Smitha-Lemliego-Opitza
2. Raport nr: AOTM-DS-431-16/2013, Zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Cholesterol Module (Dieta eliminacyjna), proszek, 450 g, we wskazaniu: Zespół Smitha - Lemliego – Opitza. Data ukończenia: 20 lutego 2014 r.