



**Protokół nr 18/2013**  
**z posiedzenia Rady Przejrzystości**  
**w dniu 1 lipca 2013 roku**  
**w siedzibie Agencji Oceny Technologii Medycznych**

Członkowie Rady Przejrzystości (Rada) obecni na posiedzeniu:

1. Grzegorz Błażewicz
2. Anna Cieślik
3. Andrzej Kokoszka
4. Michał Myśliwiec
5. Jakub Pawlikowski
6. Janusz Szyndler
7. Barbara Wójcik-Klikiewicz
8. Andrzej Wysocki

Nieobecni na posiedzeniu członkowie Rady:

1. Jerzy Stelmachów
2. Rafał Suwiński

Porządek obrad:

1. Otwarcie posiedzenia.
2. Omówienie i zatwierdzenie porządku obrad.
3. Omówienie konfliktów interesów członków Rady i głosowanie nad ich wyłączeniem z głosowania albo z udziału w zakresie omawianego wniosku.
4. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Erbitux (cetuksymab) we wskazaniu leczenia płaskonabłonkowego raka narządów głowy i szyi w skojarzeniu z radioterapią w miejscowo zaawansowanej chorobie (ICD-10 C01, C05.0, C05.1, C05.2, C05.8, C05.9, C09.0, C09.1, C09.8, C09.9, C10.0, C10.1, C10.2, C10.3, C10.4, C10.8, C10.9, C12.0, C13.0, C13.1, C13.2, C13.8, C13.9, C32.0, C32.1, C32.2, C32.3, C32.8, C32.9).
5. Przygotowanie opinii w sprawie objęcia refundacją leku w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego w zakresie możliwości zastosowania fingolimodu i natalizumabu po nieskutecznej terapii z zastosowaniem octanu glatirameru w ramach programu lekowego: „Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu lub szybko rozwijającej się ciężkiej postaci stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35).
6. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku PKU COOLER (preparat złożony) we wskazaniu diety eliminacyjnej w fenylketonurii gotowa do użycia, w płynie, skondensowana,



porcjowana zawierająca DHA przeznaczona dla dzieci powyżej 3 r.ż., młodzieży, dorosłych oraz kobiet w ciąży.

7. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku PKU EXPRESS (preparat złożony) we wskazaniu dieta eliminacyjna w fenylketonurii – skondensowany, porcjowany preparat w proszku, przeznaczony dla dzieci powyżej 3 r.ż., młodzieży, dorosłych oraz kobiet w ciąży.
8. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Mepact (mifamurtyd) we wskazaniu leczenie immunomodulacyjne mięsaka kościopochodnego (OSTEOSARCOMA) (ICD-10 C40-41).
9. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Esbriet (pirfenidon) we wskazaniu leczenie idiopatycznego włóknienia płuc (ICD-10 J 84.1).
10. Przygotowanie stanowiska w sprawie oceny leku Sutent (sunitynib) we wskazaniu leczenie wysoko zróżnicowanego nowotworu neuroendokrynnego trzustki (ICD-10 C25.4).
11. Przygotowanie stanowiska w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Kenalog (triamcinolone acetonide) we wskazaniach bliznowiec, świerzbieżka guzkowa, ciężka postać trądzika skupionego/bliznowaciejącego.
12. Zamknięcie posiedzenia.

**Ad.1.** Posiedzenie o godzinie 10:25 otworzył Wiceprzewodniczący Rady Michał Myśliwiec.

**Ad.2.** Rada przyjęła jednogłośnie propozycję porządku obrad przedstawioną przez Michała Myśliwca.

**Ad.3.** Konflikty interesów zgłosili:

- 1) ██████████, którego Rada w wyniku głosowania, jednogłośnie postanowiła nie wyłączać z głosowań, ani z udziału w pracach nad tematami objętymi dzisiejszym porządkiem obrad.
- 2) ██████████, którego Rada w wyniku głosowania, jednogłośnie postanowiła nie wyłączać z głosowań, ani z udziału w pracach nad tematami objętymi dzisiejszym porządkiem obrad.

**Ad.4.** Pracownik Agencji przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej Nr: AOTM-OT-4351-4/2013 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie ceny urzędowej leku Erbitux (cetuksymab) we wskazaniu: Leczenie pacjentów z rakiem płaskonabłonkowym w obrębie głowy i szyi w skojarzeniu z radioterapią w miejscowo zaawansowanej chorobie”.

W dalszej kolejności projekt stanowiska przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady.

Zaplanowana w tym miejscu telekonferencja z ekspertem zaproszonym do udziału w telekonferencji nie odbyła się, ponieważ podjęta próba połączenia telefonicznego nie powiodła się.

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, przyjęła uchwały będącą jej stanowiskami, które stanowią załączniki do protokołu:

- 1) Erbitux, cetuksymab, roztwór do infuzji, 5 mg/ml, 1 fiolka a 20 ml, kod EAN 5909990035922 – w wyniku głosowania 8 głosów za, 0 głosów przeciw;
- 2) Erbitux, cetuksymab, roztwór do infuzji, 5 mg/ml, 1 fiolka a 100 ml, kod EAN 5909990035946 – w wyniku głosowania 8 głosów za, 0 głosów przeciw.

**Ad.5.** Opinię na temat objęcia refundacją leku w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego w zakresie możliwości zastosowania fingolimodu i natalizumabu po nieskutecznej terapii z zastosowaniem octanu glatirameru w ramach programu lekowego: „Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu lub szybko rozwijającej się ciężkiej postaci stwardnienia rozsianego przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady.

Zaplanowana w tym miejscu telekonferencja z ekspertem zaproszonym do udziału w telekonferencji nie odbyła się, ponieważ podjęta próba połączenia telefonicznego nie powiodła się.

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, 8 głosami za, przy 0 głosów przeciw, przyjęła uchwałę będącą jej opinią, która stanowi załącznik do protokołu.

**Ad. 6 i 7.** Pracownicy Agencji przedstawili najistotniejsze informacje z analiz weryfikacyjnych:

- 1) nr: 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 506001405141; 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 506001405155; 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 Orange, płyn, produkt gotowy do spożycia, 20 g białka/174 ml, 30 torebek po 174 ml EAN 5060014051684 - we wskazaniu: 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”;
- 2) nr: 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”.

Następnie projekty stanowisk przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady.

Prowadzący posiedzenie Michał Myśliwiec zaproponował, aby w przypadku obu omówionych wyżej środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, Rada podjęła po jednej uchwale dla każdego środka spożywczego, obejmującej wszystkie zgłoszone kody produktu leczniczego dla danej substancji czynnej.

Wniosek został przyjęty przez aklamację.

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, przyjęła uchwały będącą jej stanowiskami, które stanowią załączniki do protokołu:

- 1) 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 Orange, płyn, produkt gotowy do spożycia, 20 g białka/174 ml, 30 torebek po 174 ml EAN 5060014051684 – w wyniku głosowania 8 głosów za, 0 głosów przeciw;
- 2) 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 – w wyniku głosowania 8 głosów za, 0 głosów przeciw.

**Ad.8.** Pracownik Agencji przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej Nr: AOTM-DS-4351-1/2013 „Wniosek o objęcie refundacją leku Mepact (mifamurtyd) we wskazaniu: leczenie immunomodulacyjne mięsaka kościopochodnego (OSTEOSARCOMA) (ICD-10 C40-41)”.

Następnie projekt stanowiska przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady.

W dalszej kolejności przeprowadzono telekonferencję z ekspertem w dziedzinie onkologii klinicznej. Ekspert zadeklarował brak konfliktu interesów.

W tym miejscu posiedzenia, jeden z Członków Rady, złożył wniosek aby wysłuchać eksperta, którego pisemna opinia została uwzględniona w analizie weryfikacyjnej, a którego nie zaproszono do udziału w telekonferencji. Jego zdaniem Rada powinna mieć możliwość wysłuchania opinii ekspertów mających przeciwne zdania na temat tego leku.

Prowadzący posiedzenie polecił podjęcie próby przeprowadzenia telekonferencji z ekspertem, a do tego czasu odłożył dyskusję i głosowanie w tej sprawie.

**Ad.9.** Pracownik Agencji przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej Nr: AOTM-OT-4351-3/2013 „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Esbriet (pirfenidon) w ramach Programu Lekowego: „Leczenie idiopatycznego włóknienia płuc (ICD-10 J84.1)”.

W dalszej kolejności projekt stanowiska przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady.

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, przyjęła uchwały będącą jej stanowiskami, które stanowią załączniki do protokołu:

- 1) Esbriet 267 mg kapsułki twarde, 63 kaps., kod EAN 8881661 – w wyniku głosowania 8 głosów za, 0 głosów przeciw;
- 2) Esbriet 267 mg kapsułki twarde, 252 kaps., kod EAN 8881661 – w wyniku głosowania 8 głosów za, 0 głosów przeciw.

**Ad. 10.** Pracownik Agencji przedstawił najistotniejsze informacje z analizy weryfikacyjnej Nr: AOTM-OT-4351-5/2013 „Wniosek o objęcie refundacją leków: Sutent (sunitynib) kapsułki twarde, 12,5 mg, 28 szt. kod EAN 5909990079377; Sutent (sunitynib) kapsułki twarde, 25 mg, 28 szt. kod EAN 5909990079384 - w ramach programu lekowego: leczenie wysoko zróżnicowanego nowotworu neuroendokrynnego trzustki (ICD 10: C25.4)”.

W dalszej kolejności projekt stanowiska przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady.

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, przyjęła uchwały będącą jej stanowiskami, które stanowią załączniki do protokołu:

- 1) Sutent (sunitynib), kapsułki twarde 12,5 mg, 28 szt. kod EAN 5909990079377 – w wyniku głosowania 8 głosów za, 0 głosów przeciw;
- 2) Sutent (sunitynib), kapsułki twarde 25 mg, 28 szt. kod EAN 5909990079384 – w wyniku głosowania 8 głosów za, 0 głosów przeciw.

**c.d. Ad. 8.** Kontynuując prace nad tematem objętym pkt 8 porządku obrad przeprowadzono telekonferencję z ekspertem w dziedzinie onkologii i hematologii dziecięcej. Ekspert zadeklarował brak konfliktu interesów.

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, 6 głosami za, przy 2 głosach przeciw, przyjęła uchwałę będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

**Ad.11.** Pracownik Agencji przedstawił najistotniejsze informacje z raportu Nr: AOTM-RK-431-9/2013 „Kenalog (triamcinolone acetonide) ampułki 0,01 g/ml oraz 0,04 g/ml, we wskazaniach: bliznowiec; świerzbieżka guzkowa; ciężka postać trądzika skupionego/bliznowaciejącego”.

W dalszej kolejności projekt stanowiska przedstawił wyznaczony przez prowadzącego posiedzenie członek Rady.

W wyniku przeprowadzonej dyskusji Rada, 6 głosami za, przy 2 głosach przeciw, przyjęła uchwałę będącą jej stanowiskiem, która stanowi załącznik do protokołu.

**Ad.12.** Prowadzący posiedzenie Michał Myśliwiec zakończył posiedzenie Rady o godzinie 14:40.

Protokół zatwierdził prowadzący posiedzenie:

.....  
Michał Myśliwiec  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości



Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 99/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie oceny leku Erbitux (cetuksymab), EAN 5909990035922  
we wskazaniu: leczenie pacjentów z rakiem płaskonabłonkowym  
w obrębie głowy i szyi w skojarzeniu z radioterapią w miejscowo  
zaawansowanej chorobie

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leku Erbitux (cetuksymab), w ramach istniejącej grupy limitowej, we wskazaniu: leczenie pacjentów z rakiem płaskonabłonkowym w obrębie głowy i szyi w skojarzeniu z radioterapią w miejscowo zaawansowanej chorobie i wydawanie go bezpłatnie, w ramach programu lekowego. Rada uważa, że w kryteriach kwalifikacji pacjentów do programu powinny być uwzględnione: eGFR poniżej 50ml/min., niedosłuch umiarkowany (40-70 dB) i udowodnienie obecności polineuropatii w oparciu o badanie elektromiograficzne (EMG) lub elektroneurograficzne (ENG).*

**Uzasadnienie**

*Stosowanie napromieniania łącznie z cetuksymabem u chorych z miejscowo zaawansowanym (III i IV stopień zaawansowania po wyłączeniu IV stopnia z obecnością przerzutów w odległych narządach) rakiem płaskonabłonkowym narządów głowy i szyi w bardzo dobrym lub dobrym stanie sprawności oraz przeciwwskazaniami do stosowania cisplatyny podczas chemioradioterapii jest obecnie najskuteczniejszą terapią, zgodną z zaleceniami klinicznymi, zarówno polskimi jak i pochodzącymi z innych krajów. Dodatkowo, zgodnie z sugestią Krajowego Konsultanta w dziedzinie onkologii klinicznej, Rada proponuje aby finansowanie cetuksymabu w ramach programu lekowego dotyczyło wyselekcjonowanej grupy pacjentów tj.*

- stan sprawności jest bardzo dobry lub dobry (90-100 według skali Karnofsky'go);*
- istniejące przeciwwskazania do stosowania chemioradioterapii z udziałem cisplatyny;*
- stosowana jest radioterapia 3D konformalna lub napromienianie z modulowaną intensywnością wiązki.*

**Przedmiot wniosku**

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Erbitux (cetuksymab), w ramach programu lekowego „Leczenie płaskonabłonkowego raka narządów głowy i szyi w skojarzeniu z radioterapią w miejscowo zaawansowanej chorobie”. Wniosek dotyczy zamieszczenia w



Wykazie refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych jako leków dostępnych bezpłatnie w ramach zaproponowanego programu lekowego oraz grupy limitowej [REDAKTOWANE] następujących dawek i opakowań:

- Erbitux (cetuksymab), roztwór do infuzji, 5 mg/ml, 1 fiolka a 20 ml, kod EAN 5909990035922
- Erbitux (cetuksymab), roztwór do infuzji, 5 mg/ml, 1 fiolka a 100 ml, kod EAN 5909990035946

Niniejsze stanowisko dotyczy opakowania: Erbitux (cetuksymab), roztwór do infuzji, 5 mg/ml, 1 fiolka a 20 ml, kod EAN 5909990035922.

### **Problem zdrowotny**

Nowotwory złośliwe głowy i szyi (ICD-10: C00-C14 i C30-C32) – większość nowotworów rozwijających się w obrębie górnego odcinka układu pokarmowego i dróg oddechowych to raki płaskonabłonkowe, wywodzące się z nabłonka wielowarstwowego płaskiego nierogowaciejącego (tzw. raki płaskonabłonkowe głowy i szyi).

Podstawowym czynnikiem przyczynowym płaskonabłonkowych raków narządów głowy i szyi są kancerogeny zawarte w dymie tytoniowym. Inne czynniki rakotwórcze o udowodnionym znaczeniu to: nadużywanie wysokoprocentowego alkoholu, zła higiena jamy ustnej oraz mechaniczne drażnienie błon śluzowych (np. źle dopasowane protezy stomatologiczne).

W Polsce nowotwory nabłonkowe regionu głowy i szyi stanowią nieco ponad 5% wszystkich zarejestrowanych nowotworów złośliwych, w tym ok. 7% wśród mężczyzn i ponad 1% wśród kobiet. W ostatnich latach występuje rocznie około 6000 nowych zachorowań i 3800 zgonów z powodu omawianych nowotworów. Raki narządów głowy i szyi najczęściej występują u osób po 45. roku życia. Wyjątek stanowi rak nosowej części gardła, charakteryzujący się występowaniem dwóch szczytów zachorowalności: pomiędzy 15. a 35. rokiem życia oraz powyżej 50. roku życia. Zachorowalność na raka narządów głowy i szyi jest prawie 5-krotnie wyższa wśród mężczyzn niż wśród kobiet.

Rutynowymi metodami postępowania u chorych na raka narządów głowy i szyi we wczesnych stopniach zaawansowania klinicznego (I–II — cT1–2N0) są leczenie chirurgiczne oraz radioterapia (RTH). Często stosuje się kojarzenie obu metod (zawsze w sekwencji zabieg operacyjny–RTH). U chorych w stopniu zaawansowania I–II odsetek trwałych wyleczeń wynosi 60–90%. W nowotworach bardziej zaawansowanych (stopnie III–IV — cT3–4 i/lub N1–3) (z wyjątkiem części przypadków raka głośni) wyniki leczenia z zastosowaniem RTH i/lub chirurgii są znacznie gorsze (odsetek niepowodzeń miejscowych powyżej 60% i wyższe ryzyko przerzutów w narządach odległych), co uzasadnia wprowadzenie do klinicznej praktyki jednoczesnej chemioradioterapii (CRTH) z udziałem cisplatyny.

### **Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Produkt leczniczy Erbitux (grupa farmakoterapeutyczna: leki przeciwnowotworowe, przeciwciała monoklonalne), kod ATC: L01XC 06) zawiera substancję czynną cetuksymab, będący chimerycznym przeciwciałem monoklonalnym IgG1 skierowanym swoiście przeciwko receptorowi nabłonkowego czynnika wzrostu (EGFR). Cetuksymab hamuje proliferację i wzbudza apoptozę ludzkich komórek nowotworowych wykazujących ekspresję EGFR. W badaniach in vitro cetuksymab hamuje wytwarzanie czynników angiogennych przez komórki nowotworowe i blokuje migrację komórek śródbłonkowych. W badaniach in vivo cetuksymab hamuje ekspresję czynników angiogennych przez komórki nowotworowe i powoduje zmniejszenie unaczynienia i przerzutowania nowotworu.

### **Alternatywne technologie medyczne**

Technologią najczęściej rekomendowaną we wskazaniu: leczenie lokalnie zaawansowanego płaskonabłonkowego raka narządów głowy i szyi jest radioterapia lub chemioradioterapia stosowana w skojarzeniu z cisplatyną lub cetuksymabem. Jednakże zgodnie z wnioskowanym projektem programu lekowego: „Leczenie płaskonabłonkowego raka narządów głowy i szyi w skojarzeniu z radioterapią w miejscowo zaawansowanej chorobie” kryterium kwalifikacji do programu stanowi m.in. „potwierdzenie obecności medycznych przeciwwskazań do jednoczesnej chemioradioterapii z

udziałem pochodnych platyny”. W związku z tym, technologią alternatywną dla cetuksymabu pozostaje sama radioterapia.

### **Skuteczność kliniczna**

Celem analizy była ocena skuteczności klinicznej i bezpieczeństwa cetuksymabu w połączeniu z radioterapią (ERT), w leczeniu lokalnie zaawansowanego raka płaskonabłonkowego głowy i szyi. Niniejszą analizę oparto o 1 RCT bez zaślepienia (3 publikacje Bonner 2006, Curran 2007, Bonner 2010).

W ww. badaniu dominowali pacjenci z rakiem części ustnej gardła, którzy stanowili 63,4% pacjentów w grupie radioterapii i 56% w grupie otrzymującej cetuksymab + radioterapię.

Dodatkowo zidentyfikowano 5 prospektywnych, niekontrolowanych badań obserwacyjnych, w których analizowano skuteczność i bezpieczeństwo stosowania cetuksymabu w przedmiotowym wskazaniu (Alongi 2012, Dattareya 2011, Pryor 2009, Valeriani 2012 i Robert 2001). W badaniu Alongi 2012 oceniano tylko bezpieczeństwo.

W analizie klinicznej wykazano istotne statystycznie (IS) różnice na korzyść cetuksymabu w połączeniu z radioterapią w porównaniu z samą radioterapią w odniesieniu do następujących punktów końcowych: czasu kontroli loko-regionalnej (14,9 mc vs 24,4 mc), czasu przeżycia (29,3 mc vs 49 mc), czasu przeżycia bez progresji (12,4 mc vs 17,1 mc), odsetka kontroli loko-regionalnej po 3 latach, odsetka przeżycia całkowitego (overall survival, OS) po 3 latach (wynik na granicy IS), odsetka przeżyć bez progresji po 3 latach, całkowitej odpowiedzi na leczenie.

Nie wykazano IS różnic między analizowanymi interwencjami odnośnie częstości występowania następujących punktów końcowych: odsetek kontroli loko-regionalnej po 1. roku i po 2. latach, odsetek przeżyć po 2 latach oraz po 5 latach (wynik na granicy IS), odsetek przeżyć bez progresji po 2 latach oraz skumulowanej liczby stwierdzonych przerzutów odległych po 1. roku i 2 latach oraz nowotworów wtórnych po 2 latach obserwacji.

W badaniach obserwacyjnych całkowitą odpowiedź na leczenie zaobserwowano u 21%-85% chorych. Częściową odpowiedź na leczenie uzyskało 33% chorych w badaniu Robert 2001 i 47% chorych w badaniu Dattareya 2011. W badaniu Dattareya 2011 przeżycie całkowite w 2-letniej obserwacji obserwowano u ponad 84% pacjentów.

W ramach analizy post-hoc wykazano istotne zwiększenie prawdopodobieństwa przeżycia całkowitego w grupie otrzymujących ERT w podgrupach pacjentów: z pierwotnym umiejscowieniem nowotworu w części ustnej gardła, z oceną T1-3 zaawansowania guza wg AJCC, poddanych radioterapii przyspieszonej z jednoczesowym podwyższeniem dawki (concomitant boost), z oceną N1-N3 zajęcia węzłów chłonnych wg AJCC (American Joint Committee on Cancer), z wysokim wynikiem, 90-100 wg KPS, wśród mężczyzn i w wieku <65 lat.

### **Skuteczność praktyczna**

Nie odnaleziono publikacji oceniających skuteczność praktyczną przedmiotowej technologii medycznej.

### **Bezpieczeństwo stosowania**

Po 3-letniej obserwacji, działaniami niepożądanymi (DN) występującymi IS częściej w grupie cetuksymabu z radioterapią niż w grupie z samą radioterapią były: wysypki trądzikowe, reakcje na wstrzyknięcie leku, anemia (we wszystkich stopniach nasilenia oraz w 3-5 stopniu nasilenia wg CTC), utrata masy ciała, nudności, gorączka, ból głowy, świąd, dreszcze (we wszystkich stopniach nasilenia) i po 5 latach obserwacji: wysypki trądzikowe (we wszystkich stopniach nasilenia, jak i 3-4 stopniu nasilenia wg COSTAR (nie ma Internetu nie mogę sprawdzić), reakcje skórne (w 3-4 stopniu nasilenia) oraz reakcje na wstrzyknięcie (we wszystkich stopniach nasilenia).

Najczęściej zgłaszanymi DN w badaniach obserwacyjnych były: toksyczność skórna wysypka trądzikowa, zapalenie skóry oraz zapalenie błony śluzowej.

Wg Charakterystyki Produktu Leczniczego głównymi DN cetuksymabu są reakcje skórne (>80% pacjentów), hipomagnezemia (>10% pacjentów) i reakcje związane z podaniem wlewu dożylnego



(>10% pacjentów z łagodnymi lub umiarkowanymi objawami, u > 1% pacjentów z ciężkimi objawami). Ponadto po podaniu cetuksymabu z radioterapią odnotowywano przypadki zapalenia błon śluzowych jamy ustnej, popromiennego zapalenia skóry, reakcji alergicznych na cetuksymab czy pogorszenie ogólnego stanu zdrowia

### **Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Nie dotyczy.

### **Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Celem analizy ekonomicznej było oszacowanie efektywności kosztów zastosowania cetuksymabu w połączeniu z radioterapią w porównaniu do samej radioterapii u pacjentów z lokalnie zaawansowanym rakiem szyi i głowy, którzy mają przeciwwskazania do zastosowania chemioradioterapii opartej na pochodnych platyny.

[Redacted text block]

[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**

Celem analizy było oszacowanie wpływu na budżet NFZ finansowania cetuksymabu (Erbitux) w terapii lokalnie zaawansowanego płaskonabłonkowego raka szyi i głowy w populacji, która ma przeciwwskazania do zastosowania chemioradioterapii opartej na pochodnych platyny w horyzoncie kolejnych 2 lat od wprowadzenia refundacji.

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

### **Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

[Redacted text block]

### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Odnaleziono 7 pozytywnych rekomendacji klinicznych (Polska, Stany Zjednoczone, Hiszpania, Kanada, Francja, Szkocja) i 6 pozytywnych rekomendacji dotyczących finansowania (Australia, Francja, Wielka Brytania, Szkocja, Kanada, Czechy), w tym 4 z ograniczeniami, odnoszących się do stosowania cetuksymabu w połączeniu z radioterapią w zaawansowanym raku głowy i szyi.

### **Dodatkowe uwagi Rady**

Brak uwag.

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

.....  
[Redacted text block]

### **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-4351-4/2013, „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie ceny urzędowej leku Erbitux (cetuksymab) we wskazaniu: Leczenie pacjentów z rakiem płaskonabłonkowym w obrębie głowy i szyi w skojarzeniu z radioterapią w miejscowo zaawansowanej chorobie.”, czerwiec 2013.

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

1. Stanowisko eksperckie przedstawione w trakcie posiedzenia w dniu 1.07.2013r.



Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 100/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie oceny leku Erbitux (cetuksymab) EAN 5909990035946  
we wskazaniu Leczenie pacjentów z rakiem płaskonabłonkowym  
w obrębie głowy i szyi w skojarzeniu z radioterapią w miejscowo  
zaawansowanej chorobie.

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leku Erbitux (cetuksymab), w ramach istniejącej grupy limitowej, we wskazaniu: leczenie pacjentów z rakiem płaskonabłonkowym w obrębie głowy i szyi w skojarzeniu z radioterapią w miejscowo zaawansowanej chorobie i wydawanie go bezpłatnie, w ramach programu lekowego. Rada uważa, że w kryteriach kwalifikacji pacjentów do programu powinny być uwzględnione: eGFR poniżej 50ml/min., niedosłuch umiarkowany (40-70 dB) i udowodnienie obecności polineuropatii w oparciu o badanie elektromiograficzne (EMG) lub elektroneurograficzne (ENG).*

**Uzasadnienie**

*Stosowanie napromieniania łącznie z cetuksymabem u chorych z miejscowo zaawansowanym (III i IV stopień zaawansowania po wyłączeniu IV stopnia z obecnością przerzutów w odległych narządach) rakiem płaskonabłonkowym narządów głowy i szyi w bardzo dobrym lub dobrym stanie sprawności oraz przeciwwskazaniami do stosowania cisplatyny podczas chemioradioterapii jest obecnie najskuteczniejszą terapią, zgodną z zaleceniami klinicznymi, zarówno polskimi jak i pochodzącymi z innych krajów. Dodatkowo, zgodnie z sugestią Krajowego Konsultanta w dziedzinie onkologii klinicznej, Rada proponuje aby finansowanie cetuksymabu w ramach programu lekowego dotyczyło wyselekcjonowanej grupy pacjentów tj.*

- stan sprawności jest bardzo dobry lub dobry (90-100 według skali Karnofsky'go);*
- istniejące przeciwwskazania do stosowania chemioradioterapii z udziałem cisplatyny;*
- stosowana jest radioterapia 3D konformalna lub napromienianie z modulowaną intensywnością wiązki.*

**Przedmiot wniosku**

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Erbitux (cetuksymab), w ramach programu lekowego „Leczenie płaskonabłonkowego raka narządów głowy i szyi w skojarzeniu z radioterapią w miejscowo zaawansowanej chorobie”. Wniosek dotyczy zamieszczenia w



Wykazie refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych jako leków dostępnych bezpłatnie w ramach zaproponowanego programu lekowego oraz grupy limitowej [REDAKTOWANE] następujących dawek i opakowań:

- Erbitux (cetuksymab), roztwór do infuzji, 5 mg/ml, 1 fiolka a 20 ml, kod EAN 5909990035922
- Erbitux (cetuksymab), roztwór do infuzji, 5 mg/ml, 1 fiolka a 100 ml, kod EAN 5909990035946

Niniejsze stanowisko dotyczy opakowania: Erbitux (cetuksymab), roztwór do infuzji, 5 mg/ml, 1 fiolka a 100 ml, kod EAN 5909990035946.

### **Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 99/2013.

### **Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 99/2013.

### **Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 99/2013.

### **Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 99/2013.

### **Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 99/2013.

### **Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 99/2013.

### **Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 99/2013.

### **Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 99/2013.

### **Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 99/2013.

### **Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 99/2013.

### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 99/2013.

### **Dodatkowe uwagi Rady**

Jak w stanowisku nr 99/2013.

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

.....

[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-4351-4/2013, „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie ceny urzędowej leku Erbitux (cetuksymab) we wskazaniu: Leczenie pacjentów z rakiem płaskonabłonkowym w obrębie głowy i szyi w skojarzeniu z radioterapią w miejscowo zaawansowanej chorobie.”, czerwiec 2013.

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

1. Stanowisko eksperckie przedstawione w trakcie posiedzenia w dniu 1.07.2013r.



Opinia Rady Przejrzystości

nr 187/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leku przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w ChPL w zakresie możliwości zastosowania fingolimodu i natalizumabu po nieskutecznej terapii z zastosowaniem octanu glatirameru w ramach programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu lub szybko rozwijającej się ciężkiej postaci stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)”

*Rada Przejrzystości wyraża pozytywną opinię w sprawie objęcia refundacją fingolimodu i natalizumabu, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego, po nieskutecznej terapii z zastosowaniem octanu glatirameru, w ramach programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu lub szybko rozwijającej się ciężkiej postaci stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)”.*

**Uzasadnienie**

*Leczenie stwardnienia rozsianego w postaci rzutowo-remisyjnej według aktualnego stanu wiedzy obejmuje stosowanie leków modyfikujących przebieg choroby, których mechanizmy działania związane są z istotnym wpływem na układ immunologiczny. Do leków pierwszego rzutu zalicza się preparaty interferonów beta oraz octanu glatirameru. W przypadku szybko postępującej postaci stwardnienia rozsianego lub przy nieskuteczności leczenia przy pomocy interferonu, zgodnie z zatwierdzonymi charakterystykami produktów leczniczych, zastosowanie znajdują natalizumab lub fingolimod.*

*W chwili obecnej brak jest twardych danych pochodzących z wysokiej jakości badań klinicznych, niemniej jednak, według zaleceń ekspertów (Fazekas 2013; Fazekas 2012; Rio 2011) oraz dowodów klinicznych niższej jakości natalizumab i fingolimod mogą być stosowane w przypadku nieskuteczności leczenia pierwszorzutowego przy pomocy octanu glatirameru czyli w grupie pacjentów z wysoką aktywnością choroby, jako leki drugiego rzutu.*

**Przedmiot zlecenia**



Przedmiotem zlecenia Ministra Zdrowia było przygotowanie opinii Rady Przejrzystości w sprawie wydania z urzędu decyzji o objęciu refundacją leku przy danych klinicznych, w zakresie wskazań do stosowania lub dawkowania, lub sposobu podawania odmiennych niż określone w Charakterystyce Produktu Leczniczego w zakresie możliwości zastosowania fingolimodu i natalizumabu po nieskutecznej terapii z zastosowaniem octanu glatirameru w ramach programu lekowego „Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu lub szybko rozwijającej się ciężkiej postaci stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)” (pismo z dnia 24 czerwca 2013 r. o sygnaturze MZ-PLA-460-16752-45/KK/13). Substancje czynne i wnioskowane wskazania pozarejestacyjne:

L.p.	Substancja czynna	Wnioskowany program lekowy
1	Fingolimod	„Leczenie stwardnienia rozsianego po niepowodzeniu terapii lekami pierwszego rzutu lub szybko rozwijającej się ciężkiej postaci stwardnienia rozsianego (ICD-10 G 35)” – załączono opis programu
2	Natalizumab	

.....

[Redacted]

[Redacted]

#### Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 40 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. 2011 nr 122 poz. 696 z późn. zm.) w związku z art. 31s ust. 6 p. 5 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych Dz.U. 2004 Nr 210 poz. 2135 z późn. zm.).

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

1. Nie dotyczy.



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**

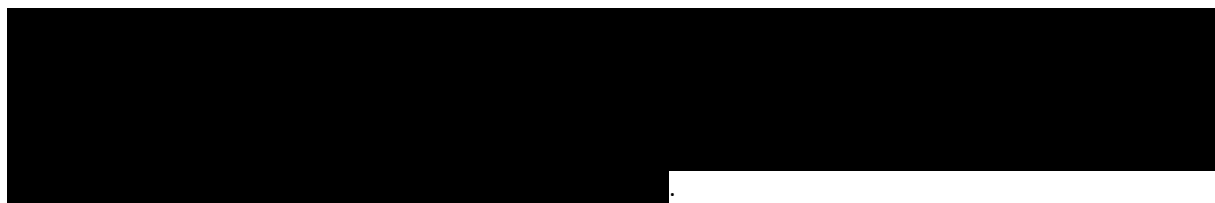
Klasyczna hiperfenyloalaninemia, nazywana fenyloketonurią (phenylketonuria, PKU), jest spowodowana całkowitym brakiem aktywności hydroksylazy fenyloalaniny, enzymu warunkującego przemianę fenyloalaniny w tyrozynę. Badania przesiewowe w kierunku PKU, wykonywane u wszystkich noworodków, umożliwiają rozpoznanie 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).

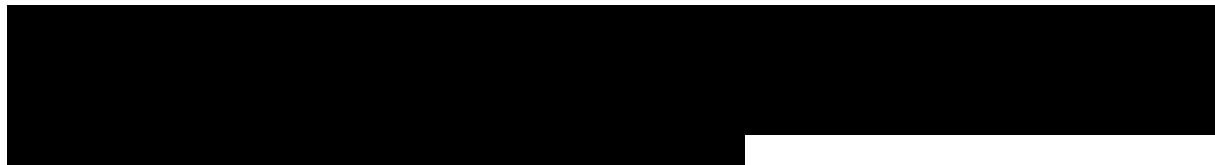
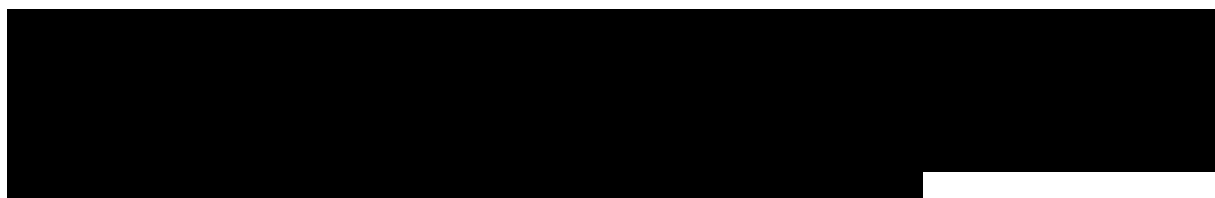
### **Opis wnioskowanej technologii medycznej**

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 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]

**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 fenylketonurii 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.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 102/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Cooler 10 Orange EAN 5060014051370 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 żywieniowego 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 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**

Przedmiotem wniosku jest objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, 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 Orange, płyn, produkt gotowy do spożycia, 10 g białka/87 ml, 30 torebek po 87 ml EAN 5060014051370.

### **Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Dodatkowe uwagi Rady**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

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 fenylketonurii 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.





Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 103/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Cooler 10 Purple EAN 5060014051387 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 żywieniowego 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 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**

Przedmiotem wniosku jest objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, 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 Purple, płyn, produkt gotowy do spożycia, 10 g białka/87 ml, 30 torebek po 87 ml EAN 5060014051387.

### **Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Dodatkowe uwagi Rady**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

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 fenylketonurii 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.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 104/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Cooler 10 White EAN 5060014051394 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 żywieniowego 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 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**

Przedmiotem wniosku jest objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, 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 White, płyn, produkt gotowy do spożycia, 10 g białka/87 ml, 30 torebek po 87 ml EAN 5060014051394.

### **Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Dodatkowe uwagi Rady**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

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 fenylketonurii 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.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 105/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Cooler 15 Orange EAN 5060014051424 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 żywieniowego 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 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**

Przedmiotem wniosku jest objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, 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 15 Orange, płyn, produkt gotowy do spożycia, 15 g białka/130 ml, 30 torebek po 130 ml EAN 5060014051424.

### **Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Dodatkowe uwagi Rady**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

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 fenylketonurii 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.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 106/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Cooler 15 Purple EAN 5060014051431 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 żywieniowego 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 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**

Przedmiotem wniosku jest objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, 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 15 Purple, płyn, produkt gotowy do spożycia, 15 g białka/130 ml, 30 torebek po 130 ml EAN 5060014051431.

### **Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr xx/2013.

### **Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Dodatkowe uwagi Rady**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

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 fenylketonurii 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.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 107/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Cooler 15 Red EAN 5060014051417 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 żywieniowego 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 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**

Przedmiotem wniosku jest objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, 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 15 Red, płyn, produkt gotowy do spożycia, 15 g białka/130 ml, 30 torebek po 130 ml EAN 5060014051417.

### **Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Dodatkowe uwagi Rady**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

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 fenylketonurii 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.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 108/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Cooler 15 White EAN 5060014051479 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 żywieniowego 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 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**

Przedmiotem wniosku jest objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, 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 15 White, płyn, produkt gotowy do spożycia, 15 g białka/130 ml, 30 torebek po 130 ml EAN 5060014051479.

### **Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Dodatkowe uwagi Rady**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

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 fenylketonurii 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.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 109/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Cooler 20 Orange EAN 5060014051547 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 żywieniowego 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 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**

Przedmiotem wniosku jest objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, 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 20 Orange, płyn, produkt gotowy do spożycia, 20 g białka/174 ml, 30 torebek po 174 ml EAN 5060014051547.

### **Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Dodatkowe uwagi Rady**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

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 fenylketonurii 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.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 110/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Cooler 20 Purple EAN 5060014051554 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 żywieniowego 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 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**

Przedmiotem wniosku jest objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, 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 20 Purple, płyn, produkt gotowy do spożycia, 20 g białka/174 ml, 30 torebek po 174 ml EAN 5060014051554.

### **Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Dodatkowe uwagi Rady**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

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.





Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 111/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Cooler 20 Red EAN 5060014051530 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 żywieniowego 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 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**

Przedmiotem wniosku jest objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, 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 20 Red, płyn, produkt gotowy do spożycia, 20 g białka/174 ml, 30 torebek po 174 ml EAN 5060014051530.

### **Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Dodatkowe uwagi Rady**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

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 fenylketonurii 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.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 112/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Cooler 20 White EAN 5060014051684 we wskazaniu: 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

*Rada uważa za zasadne finansowanie środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego 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 żywieniowych dostępnych w Polsce dla pacjentów z fenylketonurią. Różnorodność form i smaków preparatów dla pacjentów z fenylketonurią jest kluczowa dla poprawy stosowania się do zaleceń lekarzy (adherencji).*

**Przedmiot wniosku**

Przedmiotem wniosku jest objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, stosowanych we wskazaniu: 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. 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 20 White, płyn, produkt gotowy do spożycia, 20 g białka/174 ml, 30 torebek po 174 ml EAN 5060014051684.

### **Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

### **Dodatkowe uwagi Rady**

Jak w stanowisku nr 101/2013.

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 fenylketonurii 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.



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

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia  
żywnościowego 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 żywnościowego 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 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**

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy objęcia refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywnościowego, 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**

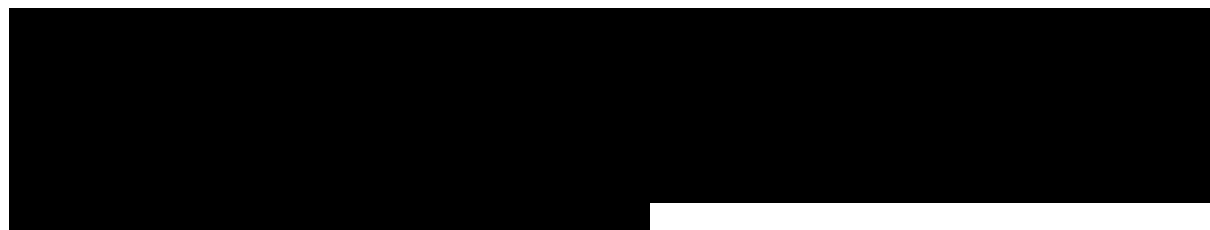
Rodzina produktów PKU Cooler - dietetyczne środki spożywcze specjalnego przeznaczenia medycznego.

Data wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu: 31.12.2012r.

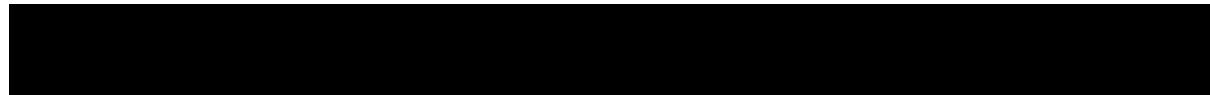
Wskazanie: dieta eliminacyjna w fenylketonurii gotowa do użycia, w płynie, skondensowana, porcjowana zawierająca DHA przeznaczona dla dzieci powyżej 3 r.ż., młodzieży, dorosłych oraz kobiet w ciąży.

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.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 114/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Express 20 o smaku neutralnym EAN 5060014051639 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 objęcie 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 20 o smaku neutralnym, proszek, 20 g białka/25 g, 30 saszetek po 34 g, kod EAN 5060014051639.

**Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Dodatkowe uwagi Rady**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

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-4350-8/2013, „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.





Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 115/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Express 15 o smaku pomarańczowym EAN 5060014051738 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 objęcie 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 pomarańczowym, proszek, 15 g białka/25 g, 30 saszetek po 25 g, kod EAN 5060014051738.

**Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Dodatkowe uwagi Rady**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

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-4350-8/2013, „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 fenyloketonurii – 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.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 116/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Express 15 o smaku cytrynowym EAN 5060014051745 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 objęcie 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 cytrynowym, proszek, 15 g białka/25 g, 30 saszetek po 25 g, kod EAN 5060014051745.

**Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Dodatkowe uwagi Rady**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

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-4350-8/2013, „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.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 117/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Express 15 o smaku owoców tropikalnych EAN 5060014051752 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 objęcie 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 owoców tropikalnych, proszek, 15 g białka/25 g, 30 saszetek po 25 g, kod EAN 5060014051752.

**Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Dodatkowe uwagi Rady**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

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-4350-8/2013, „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.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 118/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Express 20 o smaku pomarańczowym EAN 5060014051769 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 objęcie 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 20 o smaku pomarańczowym, proszek, 20 g białka/25 g, 30 saszetek po 34 g, kod EAN 5060014051769.

**Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Dodatkowe uwagi Rady**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

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-4350-8/2013, „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.



Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 119/2013 z dnia 1 lipca 2013

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Express 20 o smaku cytrynowym EAN 5060014051776 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 objęcie 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 20 o smaku cytrynowym, proszek, 20 g białka/25 g, 30 saszetek po 34 g, kod EAN 5060014051776.

#### **Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

#### **Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

#### **Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

#### **Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

#### **Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

#### **Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

#### **Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

#### **Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

#### **Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

#### **Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

#### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

#### **Dodatkowe uwagi Rady**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

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-4350-8/2013, „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 fenyloketonurii – 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.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 120/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Express 20 o smaku owoców tropikalnych EAN 5060014051783 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 objęcie 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 20 o smaku owoców tropikalnych, proszek, 20 g białka/25 g, 30 saszetek po 34 g, kod EAN 5060014051783.

**Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

**Dodatkowe uwagi Rady**

Jak w stanowisku nr 113/2013.

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-4350-8/2013, „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 fenyloketonurii – 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.



Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 121/2013 z dnia 1 lipca 2013

w sprawie oceny leku Esbriet (pirfenidon), EAN: 8881661,  
opakowanie 63 szt. w ramach programu lekowego: „Leczenie  
idiopatycznego włóknienia płuc (ICD-10 J84.1)”.

*Rada Przejrzystości uważa za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Esbriet (pirfenidon) kaps. twarda 267 mg, 63 szt., (1x21 i 1x42) w ramach programu lekowego: „Leczenie idiopatycznego włóknienia płuc (ICD-10 J84.1)”.*

**Uzasadnienie**

*Opublikowane dotychczas wyniki badań nie wskazują jednoznacznie na istotne korzyści ze stosowania pirfenidonu w grupie chorych na idiopatyczne włóknienie płuc, zwłaszcza w zakresie wpływu na ryzyko zgonu i czas przeżycia całkowitego. Wiadomo również, że jest to terapia obciążona licznymi działaniami niepożądanymi. W chwili obecnej trwają wielośrodkowe badania nad przebiegiem idiopatycznego włóknienia płuc, których wyników należy się spodziewać w ciągu najbliższych kilkunastu miesięcy.*

**Przedmiot wniosku**

Przedmiotem wniosku jest zlecenie Ministra Zdrowia dotyczące przygotowanie analizy weryfikacyjnej AOTM, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa AOTM na zasadzie art. 35 ust.1 ustawy o refundacji w przedmiocie objęcia refundacją produktu leczniczego Esbriet (pirfenidon) kaps. twarda 267 mg, 63 szt., (1x21 i 1x42) EAN: 8881661 oraz Esbriet (pirfenidon) kaps. twarda 267 mg, 252 szt., (4x63) EAN: 8881661 w ramach Programu Lekowego: „Leczenie idiopatycznego włóknienia płuc (ICD-10 J84.1)”.

Niniejsze stanowisko dotyczy opakowania: Esbriet (pirfenidon) kaps. twarda 267 mg, 63 szt., (1x21 i 1x42) EAN: 8881661.

**Problem zdrowotny**

Idiopatyczne włóknienie płuc (IPF) należy do idiopatycznych śródmiąższowych zapaleń płuc i polega na nasilonym włóknieniu przegród pęcherzykowych prowadzącym do stopniowego pogorszenia warunków dyfuzji gazów i ograniczenia pojemności życiowej płuc. Wydolność oddechowa większości pacjentów pogarsza się powoli, lecz systematycznie, co staje się przyczyną śmierci, zwłaszcza w przypadkach powikłanych niewydolnością serca i nadciśnieniem płucnym. U niektórych chorych progresja jest szybka lub przebiega skokowo, przez zaostrzenia, które mogą być powodowane przez zakażenia. U 10–15% chorych rozwija się rak płuca. Rokowanie jest złe; mediana czasu od rozpoznania do śmierci nie przekracza 2-3 lat, a 5 lat przeżywa <20% chorych bez względu na terapię, z wyj. przeszczepienia płuca, które daje 5-letnie przeżycie 50-56% chorym.



## Opis wnioskowanej technologii medycznej

Grupa farmakoterapeutyczna: Leki immunosupresyjne, inne leki immunosupresyjne, kod ATC: L04AX05

Mechanizm działania pirfenidonu nie został w pełni poznany. Istniejące dane sugerują jednak, że pirfenidon wywiera działanie antyfibrotyczne i przeciwzapalne w różnych układach *in vitro* i zwierzęcych modelach włóknienia płuc (włóknienie wywołane bleomycyną i przeszczepem).

Pirfenidon zmniejsza proliferację fibroblastów, wytwarzanie białek i cytokin związanych z włóknieniem oraz zwiększoną biosyntezę i gromadzenie macierzy zewnątrzkomórkowej w odpowiedzi na cytokinowe czynniki wzrostu, takie jak TGF $\beta$  i PDGF (Schaeffer 2011).

## Alternatywne technologie medyczne

Jako komparatory dla pirfenidonu (PIR) wnioskodawca wskazał terapię trójlekową (N-acetylocysteina, azatiopryna, prednizon), najlepsze leczenie podtrzymujące (BSC) oraz brak leczenia. W opinii analityków Agencji wybór terapii trójlekowej jest niezasadny w świetle dostępnych dowodów i wytycznych klinicznych.

## Skuteczność kliniczna

Skuteczność pirfenidonu w porównaniu z placebo została oceniona na podstawie 4 badań randomizowanych, podwójnie zaślepionych: SP2 trwającego 39 tygodni (Azuma 2005), SP3 trwającego 52 tygodnie (Taniguchi 2010) i PIPF-004 oraz PIPF-006 trwających 72 tygodnie (Noble 2011). Jako główne należy uznać rejestracyjne badania PIPF-004 oraz PIPF-006 (w analizie wykorzystano skumulowane wyniki tych dwóch badań).

Wpływ PIR na ryzyko zgonu jest bardzo niepewny – statystycznie znamiennej różnicę wykazano tylko w analizie *on-treatment* dla zgonów związanych z IPF, natomiast nie wykazano istnienia znamiennej statystycznie różnicy w pozostałych wykonanych analizach (kumulacji PIPF4+6 *on-treatment* dla zgonów ogółem, kumulacji PIPF4+6 ITT dla zgonów związanych z IPF oraz kumulacji PIPF4+6, SP2 i SP3 ITT dla wszystkich zgonów). W badaniu SP2 był tylko 1 zgon.

Wpływ PIR na czas przeżycia całkowitego jest niepewny – tylko w analizie *on-treatment* w odniesieniu do zgonów związanych z IPF w kumulacji PIPF4+6 uzyskano istotnie statystyczny HR, nie wykazano natomiast istnienia znamienności statystycznej HR w pozostałych wykonanych analizach (PIPF4+6 *on-treatment* dla zgonów ogółem, PIPF4+6 ITT dla zgonów związanych z IPF oraz dla wszystkich zgonów)

Wpływ PIR na czas wolny od progresji jest udokumentowany na korzyść PIR vs PLC w badaniu PIPF-004 i kumulacji PIPF4+6 oraz w badaniu SP3, natomiast w badaniu PIPF-006 nie było znamiennej statystycznie różnicy w tym zakresie, a w badaniu SP2 wynik ten nie był oceniany.

Wpływ PIR na pojemność życiową płuc nie jest pewny ze względu na niezgodne wyniki badań PIPF-004 i PIPF-006, w badaniu PIPF-004 stwierdzono statystycznie znamienne mniejszy spadek natężonej pojemności życiowej (FVC, ang. *forced vital capacity*) w grupie PIR vs PLC, co zdaje się potwierdzać kumulacja PIPF4+6, natomiast w badaniu PIPF-006 i

Wpływ PIR na spadek dystansu marszu ciągłego (6MWD) nie jest pewny ze względu na niezgodne wyniki badań PIPF-004 i PIPF-006; w badaniu PIPF-004 nie było znamiennej statystycznie różnic między grupami PIR i PLC, natomiast w badaniu PIPF-006 stwierdzono statystycznie mniejszy spadek 6MWD w grupie PIR w porównaniu do PLC, co znalazło odzwierciedlenie także w kumulacji

## Skuteczność praktyczna

Nie odnaleziono publikacji oceniających skuteczność praktyczną przedmiotowej technologii medycznej.

## Bezpieczeństwo stosowania

Stosowanie pirfenidonu w IPF związane było z występowaniem wielu zdarzeń niepożądanych. W badaniach SP2, SP3 i PIPF4+6 notowano znaczny odsetek wycofań z badania ze względu na zdarzenia niepożądane i był on większy w grupie PIR niż PLC (PIPF4+6: 51/345 (14,8%) vs 30/347 (8,6%); SP3 15/109 (13,8%) vs 7/107 (6,5%), SP2 11/73 (15,1%) vs 2/36 (5,6%).

Odsetek wszystkich zdarzeń niepożądanych w badaniach dla grupy PIR vs PLC wynosił: dla PIPF4+6 340/345 (98,6%) vs 339/347 (97,7%), dla SP2 72/73 (98,6%) vs 32/36 (88,9%), dla SP3 109/109 (100,0%) vs 106/107 (99,1%). Odsetek ciężkich zdarzeń niepożądanych raportowano tylko w badaniach PIPF-004 i PIPF-006 i wynosił on w grupie PIR 113/345 (32,8%), a w grupie PLC 109/347 (31,4%).

Najbardziej charakterystycznymi raportowanymi zdarzeniami niepożądanymi były objawy nadwrażliwości skóry na światło (12-51% w grupie PIR i 0-22% w grupie PLC w badaniach PIPF4+6, SP2 i SP3) oraz wysypka (32% w grupie PIR i 12% w grupie PLC w badaniu PIPF4+6), ale w badaniu PIPF4+6 tylko ok. 1% chorych wycofano z badań z obu tych powodów łącznie.

Drugą grupą bardzo częstych zdarzeń obserwowanych w trakcie badań SP2, SP3 i PIPF4+6 były zaburzenia czynności układu trawiennego (podano zakres średnich odsetków dla grup PIR vs PLC w dostępnych badaniach): nudności (22-36% vs 6-17%), wymioty (14% vs 4%), wzdęcia (10% vs 6%), palenie w śródpiersiu (16% vs 3%), dyskomfort w nadbrzuszu (3-30% vs 0-8%), a także utrata apetytu (9% vs 3%), chudnięcie (8% vs 4%), a nawet anoreksja (u 11-32% chorych z grupy PIR i 3-6% w grupie PLC).

Kolejną grupę często obserwowanych zdarzeń niepożądanych stanowią (podano PIR vs PLC) senność (23% vs 17%), zmęczenie (22% vs 3%), osłabienie (7% vs 4%), bezsenność (10% vs 7%) i zawroty głowy (7-18% vs 1-7%).

Wzrost aktywności gamma-glutamylotransferazy (GGTP) obserwowano (podano PIR vs PLC) w 23-27% vs 8-9%, a AspAT w 6% vs 17%.

Poważnym problemem jest niezgodność wyników badań PIPF-004 i PIPF-006 dla niemal wszystkich punktów końcowych.

## Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

## Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]



### **Wpływ na budżet płatnika publicznego**



### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Francuski HAS w 2012 roku i brytyjski NICE w 2013 roku wydali pozytywne rekomendacje do stosowania leku Esbriet w leczeniu łagodnej do umiarkowanej postaci IPF.

### **Dodatkowe uwagi Rady**

Brak.

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-4351-3/2013, „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Esbriet (pirfenidon) w ramach Programu Lekowego: „Leczenie idiopatycznego włóknienia płuc (ICD-10 J84.1)”, 20 czerwiec 2013.

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

1. Nie dotyczy

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy InterMune UK Ltd., Wielka Brytania.

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem InterMune UK Ltd., Wielka Brytania o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. Nr 112, poz. 1198 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2003 r., Nr 153, poz. 1503 z późn. zm.).

**Organ dokonujący wyłączenia jawności:** Agencja Oceny Technologii Medycznych

**Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** InterMune UK Ltd., Wielka Brytania.

Dane zakreślone **kolorem czerwonym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na prywatność osoby fizycznej.

**Zakres wyłączenia jawności:** dane osobowe.

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust. 1 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. Nr 112, poz. 1198 z późn. zm.) w zw. z art. 1 ust. 1 oraz art. 23 ust. 1 ustawy z dnia 29 sierpnia 1997 r. o ochronie danych osobowych (Dz. U. z 2002 r., Nr 101, poz. 926 z późn. zm.).

**Organ dokonujący wyłączenia jawności:** Agencja Oceny Technologii Medycznych

**Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** osoba fizyczna.



Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 122/2013 z dnia 1 lipca 2013

w sprawie oceny leku Esbriet (pirfenidon), EAN: 8881661,  
opakowanie 252 szt. w ramach Programu Lekowego: „Leczenie  
idiopatycznego włóknienia płuc (ICD-10 J84.1)”.

*Rada Przejrzystości uważa za niezasadne objęcie refundacją produktu leczniczego Esbriet (pirfenidon) kaps. twarda 267 mg, 252 szt., (4x63) w ramach Programu Lekowego: „Leczenie idiopatycznego włóknienia płuc (ICD-10 J84.1)”.*

**Uzasadnienie**

*W chwili obecnej brak jest skutecznego leczenia idiopatycznego włóknienia płuc, jednak opublikowane dotychczas wyniki badań nie wskazują jednoznacznie na poważne korzyści ze stosowania pirfenidonu w tej grupie chorych, zwłaszcza w zakresie wpływu na ryzyko zgonu i czas przeżycia całkowitego. Wiadomo również, że jest to terapia obciążona licznymi niepożądanymi objawami ubocznymi. W chwili obecnej trwają wielośrodkowe badania nad przebiegiem idiopatycznego włóknienia płuc, których wyników należy się spodziewać w ciągu najbliższych kilkunastu miesięcy. Z powyższych powodów Rada Przejrzystości nie rekomenduje objęcia refundacją produktu leczniczego Esbriet w ramach programu lekowego, ale proponuje jego ponowną ocenę po upływie dwóch lat z uwzględnieniem wyników najnowszych badań.*

**Przedmiot wniosku**

Przedmiotem wniosku jest zlecenie Ministra Zdrowia dotyczące przygotowanie analizy weryfikacyjnej AOTM, stanowiska Rady Przejrzystości oraz rekomendacji Prezesa AOTM na zasadzie art. 35 ust.1 ustawy o refundacji w przedmiocie objęcia refundacją produktu leczniczego Esbriet (pirfenidon) kaps. twarda 267 mg, 63 szt., (1x21 i 1x42) EAN: 8881661 oraz Esbriet (pirfenidon) kaps. twarda 267 mg, 252 szt., (4x63) EAN: 8881661 w ramach Programu Lekowego: „Leczenie idiopatycznego włóknienia płuc (ICD-10 J84.1)”.

Niniejsze stanowisko dotyczy opakowania: Esbriet (pirfenidon) kaps. twarda 267 mg, 252 szt., (4x63) EAN: 8881661.

**Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 121/2013.

**Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 121/2013.

**Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 121/2013.





**Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 121/2013.

**Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 121/2013.

**Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 121/2013.

**Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 121/2013.

**Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 121/2013.

**Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 121/2013.

**Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 121/2013.

**Dodatkowe uwagi Rady**

Jak w stanowisku nr 121/2013.

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-4351-3/2013, „Wniosek o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu produktu leczniczego Esbriet (pirfenidon) w ramach Programu Lekowego: „Leczenie idiopatycznego włóknienia płuc (ICD-10 J84.1)”, 20 czerwiec 2013.

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

1. Nie dotyczy

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy InterMune UK Ltd., Wielka Brytania.

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem InterMune UK Ltd., Wielka Brytania o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. Nr 112, poz. 1198 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2003 r., Nr 153, poz. 1503 z późn. zm.).

**Organ dokonujący wyłączenia jawności:** Agencja Oceny Technologii Medycznych

**Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** InterMune UK Ltd., Wielka Brytania.

Dane zakreślone **kolorem czerwonym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na prywatność osoby fizycznej.

**Zakres wyłączenia jawności:** dane osobowe.

**Podstawa prawna wyłączenia jawności:** art. 5 ust. 1 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. Nr 112, poz. 1198 z późn. zm.) w zw. z art. 1 ust. 1 oraz art. 23 ust. 1 ustawy z dnia 29 sierpnia 1997 r. o ochronie danych osobowych (Dz. U. z 2002 r., Nr 101, poz. 926 z późn. zm.).

**Organ dokonujący wyłączenia jawności:** Agencja Oceny Technologii Medycznych

**Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności:** osoba fizyczna.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 123/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie oceny leku Sutent (sunitynib) EAN 5909990079377  
w ramach programu lekowego: „Leczenie wysoko zróżnicowanego  
nowotworu neuroendokrynnego trzustki (ICD-10 C25.4)”

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leku Sutent (kaps. twarde, 12,5 mg, 28 szt. EAN 5909990079377), w ramach programu lekowego „Leczenie wysoko zróżnicowanego nowotworu neuroendokrynnego trzustki”, jako leku dostępnego bezpłatnie w ramach istniejącej grupy limitowej. Rada akceptuje [REDACTED].*

**Uzasadnienie**

*Sutent (Sunitynib) jest lekiem istotnie wydłużającym czas przeżycia wolnego od progresji choroby oraz czas przeżycia całkowitego chorych z zaawansowanymi, nieoperacyjnymi wysoko wyróżnicowanymi nowotworami neuroendokrynnymi trzustki. Stopień bezpieczeństwa jest akceptowalny, a lek jest efektywny kosztowo, [REDACTED].*

**Przedmiot wniosku**

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Sutent (sunitynib), w ramach programu lekowego „Leczenie wysoko zróżnicowanego nowotworu neuroendokrynnego trzustki (ICD-10 C25.4)”. Wniosek dotyczy zamieszczenia w Wykazie refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych jako leków dostępnych bezpłatnie w ramach zaproponowanego programu lekowego oraz grupy limitowej, następujących dawek i opakowań:

- Sutent (sunitynib) kaps. twarde, 12,5 mg, 28 szt., EAN 5909990079377
- Sutent (sunitynib) kaps. twarde, 25 mg, 28 szt., EAN 5909990079384

Niniejsze stanowisko dotyczy opakowania: Sutent (sunitynib) kaps. twarde, 12,5 mg, 28 szt., EAN 5909990079377.

**Problem zdrowotny**

Guzy neuroendokrynnego trzustki (pNET) to rzadka choroba (4% wszystkich guzów neuroendokrynnych), której zapadalność kształtuje się od 4 do 12 przypadków/milion/rok. Klinicznie pNET dzieli się na: guzy sekrecyjne i niesekrecyjne (nie wytwarzające hormonów). Większość z nich to guzy wysoko zróżnicowane (o niskim/średnim stopniu złośliwości), wśród których dominuje insulinoma oraz guzy niesekrecyjne trzustki. pNET leczy się chirurgicznie: radykalnie i paliatywnie oraz zachowawczo: farmakoterapią objawową, terapią celowaną (analogi somatostatyny, interferon  $\alpha$ ), chemioterapią wielolekową oraz terapią radioizotopową.

**Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Produkt leczniczy Sutent (grupa farmakoterapeutyczna: Leki przeciwnowotworowe, inhibitory kinazy białkowej; kod ATC: L01XE04) zawiera substancję czynną sunitynib (SUN), który hamuje liczne receptory kinazy tyrozynowej, które biorą udział we wzroście nowotworów, w neoangiogenezie i w rozsiewie choroby nowotworowej z przerzutami. Sunitynib został zidentyfikowany jako inhibitor receptorów płytkowego czynnika wzrostu (PDGFR $\alpha$  i PDGFR $\beta$ ), receptorów czynników wzrostu śródbłonna naczyniowego (VEGFR1, VEGFR2 i



VEGFR3), receptorów czynnika komórek pnia (KIT), kinazy tyrozynowej podobnej do Fms-3 (FLT3), receptorów czynnika stymulującego powstawanie kolonii (CSF-1R) i receptorów glijopochodnego czynnika neurotroficznego (RET). W testach biochemicznych i komórkowych podstawowy metabolit sunitynibu wykazuje działanie podobne do sunitynibu.

### **Alternatywne technologie medyczne**

Na podstawie odnalezionych rekomendacji można stwierdzić, iż w leczeniu pacjentów z nieoperacyjnymi pNET rutynowe zastosowanie mają terapie z użyciem: analogów somatostatyny (oktreotyd i lanreotyd); analogów somatostatyny znakowanych Itrēm-90 i Lutetem-177; chemioterapii (tj. doksorubicyna, 5-fluorouracyl, cisplatyna lub karboplatyna, etopozyd, streptozotocyna, dakarbazyna), interferonu alfa; wielokinazowych inhibitorów angiogenezy i proliferacji tj. sunitinib, ewerolimus, sorafenib, temsirolimus; nowych chemioterapeutyków: temzolomid + kapecytabinę, oksaliplatyna, selektywnej wewnętrznej terapii radiacyjnej znakowanymi 90Y-mikrosferami.

Według danych NFZ, w przedmiotowym wskazaniu w Polsce stosowane były chemioterapia (carboplatinum, cisplatinum, etopozyd, fluorouracyl, gemcytabina, winkrystyna, ondasteron), ewerolimus, sunitynib oraz oktreotyd i lanreotyd (analogi somatostatyny). Wg 4 z 6 ekspertów, którzy przekazali AOTM opinie, stwierdzono, że sunitynib nie zastępuje innych terapii.

W analizie wnioskodawcy jako komparator przyjęto BSC (najlepsze leczenie wspomagające), uzasadniając wybór brakiem zarejestrowanych wskazań, innymi drogami podania, brakiem bezpośrednich badań oraz brakiem informacji o refundacji pozostałych stosowanych leków. Według AOTM, w świetle niniejszej analizy zasadne jest rozważenie ewerolimusu jako potencjalnego komparatora finansowanego w Polsce w ramach chemioterapii niestandardowej.

### **Skuteczność kliniczna**

W analizie wnioskodawcy jako komparator przyjęto BSC (najlepsze leczenie wspomagające).

Do analizy klinicznej wnioskodawcy włączono 1 badanie z randomizacją *Raymond 2011* porównujące efektywność kliniczną SUN + BSC vs. Placebo (PL)+BSC. Badanie uzyskało 5 punktów skali Jadad. Badanie zostało przerwane z powodu wysokiej liczby zgonów oraz poważnych działań niepożądanych w grupie placebo oraz w związku z oceną skuteczności sunitynibu w odniesieniu do głównego punktu końcowego. Chorzy z grupy PL+BSC przeszli do grupy SUN+BSC w ramach oddzielnego badania otwartego. Może to skutkować przeszacowaniem różnic pomiędzy badanymi grupami.

W badaniu wykazano istotną statystycznie różnicę na korzyść SUN+BSC vs PLC+BSC odnośnie do wydłużenia czasu przeżycia wolnego od progresji choroby oraz przeżycia całkowitego, wyniki te potwierdzono w analizie *per protocol* oraz z wykorzystaniem modelu RPSFT (*rank-preserving structural failure time*), zastosowanych w celu minimalizacji wpływu *crossover* (przechodzenia chorych z grupy do grupy). Istotna stat. przewaga SUN+BSC nad PLC+BSC dotyczyła też zwiększenia wystąpienia odsetka obiektywnej odpowiedzi na leczenie, w tym częściowej odpowiedzi na leczenie, oraz oceny jakości życia – biegunki i bezsenności, zmniejszenia odsetka zgonów i rezygnacji z leczenia z powodu progresji lub nawrotu choroby. W grupie SUN+BSC w porównaniu z PLC+BSC zanotowano istotnie statystycznie częstsze występowanie działań niepożądanych, tj.: nadciśnienia, neutropenii (ogółem, 1-2 oraz 3-4 stopnia toksyczności), biegunki, zmiany koloru włosów, erytrodyzestezji dłoniowo-podeszwowej, zapalenia błony śluzowej jamy ustnej, zaburzenia smaku, krwawienia z nosa, wysypki (ogółem oraz 1-2 stopnia toksyczności) oraz trombocytopenii.

Pomiędzy grupami nie wykazano znamienych statystycznie różnic w stosunku do wystąpienia: całkowitej odpowiedzi, choroby stabilnej, braku możliwości oceny odpowiedzi, oceny jakości życia (dla parametrów wyżej nie wymienionych), zgonu w okresie leczenia, rezygnacji z leczenia z powodu wystąpienia działań niepożądanych oraz zgonu, poszczególnych ciężkich działań niepożądanych (wyżej nie wymienionych).

### **Skuteczność praktyczna**

Nie odnaleziono publikacji oceniających skuteczność praktyczną przedmiotowej technologii medycznej.

### **Bezpieczeństwo stosowania**

Na podstawie Charakterystyki Produktu Leczniczego Sutent oraz odnalezionych przeglądów literatury, opisów przedstawionych przez wnioskodawcę do bardzo często zgłaszanych działań niepożądanych należą: zmniejszenie apetytu, zaburzenia smaku, nadciśnienie tętnicze, uczucie zmęczenia, zaburzenia ze strony przewodu pokarmowego, przebarwienia skórne oraz erytrodyzestezja dłoniowo-podeszwowa. Nasilenie tych objawów może się zmniejszać wraz z kontynuacją leczenia. Podczas leczenia może rozwinąć się niedoczynność tarczycy. Do najczęściej występujących działań niepożądanych należą również zaburzenia hematologiczne np. neutropenia, małopłytkowość i niedokrwistość. Ciężkie działania niepożądane związane z SUN to: niewydolność

nerek, niewydolność serca, zator tętnicy płucnej, perforacja jelita oraz krwotoki (z układu oddechowego, przewodu pokarmowego, guza).

### Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

### Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Celem analizy była ocena opłacalności stosowania terapii SUN+BSC w ramach programu lekowego w leczeniu nieoperacyjnych, wysoko zróżnicowanych nowotworów neuroendokrynych trzustki (w stadium miejscowo zaawansowanym lub z przerzutami) u dorosłych, u których doszło do progresji choroby, w porównaniu do PL+BSC w ramach analizy koszty-użyteczność oraz dodatkowej analizy koszty-efektywność. Analizę przeprowadzono z użyciem modelu Markowa w dożywotnim horyzoncie czasowym (10 lat). Uwzględniono perspektywę płatnika (NFZ) oraz perspektywę wspólną. Efekty kliniczne zaczerpnięto z analizy skuteczności klinicznej. Uwzględniono koszty: SUN, związane z podaniem leku w ramach programu lekowego, diagnostyki i monitorowania, analogów somatostatyny, BSC, leczenia działań niepożądanych i opieki paliatywnej. Przyjęto roczne stopy dyskontowe 5% dla kosztów oraz 3,5% dla wyników zdrowotnych.

Głównymi ograniczeniami analizy są:

- analiza efektów zdrowotnych, rozważanych w analizie wnioskodawcy opierała się na wynikach jednego badania klinicznego,
- przyjęcie założeń dotyczących m.in. mediany czasu przyjmowania leku, przyjęcie dawkowania,
- koszty BSC zostały oszacowane jedynie odnośnie zużycia leczenia przeciwbólowego,
- mała liczba danych na temat użyteczności w badanej populacji.

### Wpływ na budżet płatnika publicznego

Celem analizy wnioskodawcy było przedstawienie wydatków NFZ w przypadku refundacji leku Sutent zawierającego sunitynib w ramach programu lekowego w leczeniu nieoperacyjnych, wysoko zróżnicowanych nowotworów neuroendokrynych trzustki (w stadium miejscowo zaawansowanym lub z przerzutami), u dorosłych, u których doszło do progresji choroby w Polsce. Analizę przeprowadzono z perspektywy płatnika publicznego dla dwuletniego horyzontu czasowego 2014-2015.

W analizie założono dwa scenariusze:

- scenariusz „istniejący” (lata 2014-2015), zakładający brak refundacji sunitynibu (leku Sutent) w ramach programu lekowego w leczeniu nieoperacyjnych, wysoko zróżnicowanych nowotworów neuroendokrynych trzustki;
- scenariusz „nowy” (lata 2014-2015), w którym sunitynib uzyskuje refundację w ramach programu lekowego w leczeniu nieoperacyjnych, wysoko zróżnicowanych nowotworów neuroendokrynych trzustki.

Wnioskowane warunki objęcia refundacją zakładają zakwalifikowanie leku do istniejącej grupy limitowej 1079.0 Sunitynib. Lek dostępny będzie w ramach programu lekowego i będzie bezpłatny dla pacjenta.

[REDAKTURA] Oszacowanie populacji przedstawione przez wnioskodawcę jest spójne z opiniami ekspertów i zbliżone do danych otrzymanych z NFZ.

Ograniczeniem analizy jest oparcie przyjętego udziału poszczególnych metod leczenia w scenariuszu „nowym” na opinii jednego eksperta. W analizie nie rozważono innych poza SUN+BSC oraz PL+BSC schematów postępowania. Potencjalnym komparatorem finansowanym w Polsce w ramach chemioterapii niestandardowej jest ewerolimus.

[REDAKTURA]

[REDAKTURA]

[REDAKTURA]

### **Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

[REDAKTURA]

[REDAKTURA]

### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Odnaleziono osiem rekomendacji klinicznych dotyczących stosowania sunitynibu we wnioskowanej populacji, z czego pięć było pozytywnych (ENETS 2012, NCCN 2013, FFCO 2011, UKINETS 2011 oraz NG 2010) i trzy wskazujące sunitynib jako obiecującą lub innowacyjną terapię (odpowiednio ESMO 2010, NANETS 2010 oraz PSGN 2008).

Odnaleziono także 6 rekomendacji refundacyjnych dla sunitynibu we wnioskowanej populacji, z czego 3 były pozytywne (HAS 2011, CVZ 2011, AWMSG 2011), 2 pozytywne warunkowo (pCODR ERC 2012, SMC 2011) oraz 1 negatywna (PBAC 2011). Warunki 2 pozytywnych rekomendacji odnosiły się do wprowadzenia *Patient Access Scheme* oraz dostosowania efektywności-kosztowej leku do poziomu opłacalności. Negatywna rekomendacja PBAC została uzasadniona wysoką i niepewną wartością ICER.

### **Dodatkowe uwagi Rady**

Brak uwag.

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

.....  
[REDAKTURA]

**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-4351-5/2013, „Wniosek o objęcie refundacją leków: Sutent (sunitynib) kapsułki twarde, 12,5 mg, 28 szt. kod EAN 5909990079377, Sutent (sunitynib) kapsułki twarde, 25 mg, 28 szt. kod EAN 5909990079384 w ramach programu lekowego: leczenie wysoko zróżnicowanego nowotworu neuroendokrynnego trzustki (ICD 10: C25.4)”, 20 czerwca 2013 r.

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

1. Nie dotyczy.



**Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 124/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.  
w sprawie oceny leku Sutent (sunitynb) EAN 5909990079384  
w ramach programu lekowego: „Leczenie wysoko zróżnicowanego  
nowotworu neuroendokrynnego trzustki (ICD-10 C25.4)”**

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne objęcie refundacją leku Sutent (kaps. twarde, 25 mg, 28 szt EAN 5909990079384), w ramach programu lekowego „Leczenie wysoko zróżnicowanego nowotworu neuroendokrynnego trzustki”, jako leku dostępnego bezpłatnie w odrębnej grupie limitowej. Rada akceptuje [REDACTED].*

**Uzasadnienie**

*Sutent (Sunitynib) jest lekiem istotnie wydłużającym czas przeżycia wolnego od progresji choroby oraz czas przeżycia całkowitego chorych z zaawansowanymi, nieoperacyjnymi wysoko wyróżnicowanymi nowotworami neuroendokrynnymi trzustki. Stopień bezpieczeństwa jest akceptowalny, a lek jest efektywny kosztowo, przy [REDACTED].*

**Przedmiot wniosku**

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy objęcia refundacją produktu leczniczego Sutent (sunitynib), w ramach programu lekowego „Leczenie wysoko zróżnicowanego nowotworu neuroendokrynnego trzustki (ICD-10 C25.4)”. Wniosek dotyczy zamieszczenia w Wykazie refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych jako leków dostępnych bezpłatnie w ramach zaproponowanego programu lekowego oraz grupy limitowej, następujących dawek i opakowań:

- Sutent (sunitynib) kaps. twarde, 12,5 mg, 28 szt., EAN 5909990079377
- Sutent (sunitynib) kaps. twarde, 25 mg, 28 szt., EAN 5909990079384

Niniejsze stanowisko dotyczy opakowania: Sutent (sunitynib) kaps. twarde, 25 mg, 28 szt., EAN 5909990079384

**Problem zdrowotny**

Jak w stanowisku nr 123/2013.

**Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 123/2013.

**Alternatywne technologie medyczne**

Jak w stanowisku nr 123/2013.





**Skuteczność kliniczna**

Jak w stanowisku nr 123/2013.

**Skuteczność praktyczna**

Jak w stanowisku nr 123/2013.

**Bezpieczeństwo stosowania**

Jak w stanowisku nr 123/2013.

**Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Jak w stanowisku nr 123/2013.

**Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Jak w stanowisku nr 123/2013.

**Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Jak w stanowisku nr 123/2013.

**Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Jak w stanowisku nr 123/2013.

**Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Jak w stanowisku nr 123/2013.

**Dodatkowe uwagi Rady**

Jak w stanowisku nr 123/2013.

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-4351-5/2013, „Wniosek o objęcie refundacją leków: Sutent (sunitynib) kapsułki twarde, 12,5 mg, 28 szt. kod EAN 5909990079377, Sutent (sunitynib) kapsułki twarde, 25 mg, 28 szt. kod EAN 5909990079384 w ramach programu lekowego: leczenie wysoko zróżnicowanego nowotworu neuroendokrynnego trzustki (ICD 10: C25.4)”, 20 czerwca 2013 r.

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

1. Nie dotyczy.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 125/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie oceny leku Mepact (mifamurtyd) we wskazaniu: leczenie immunomodulacyjne mięsaka kościopochodnego (ICD-10 C40-41)

*Rada Przejrzystości uważa za niezasadne objęcie refundacją leku Mepact (mifamurtyd) we wskazaniu: leczenie immunomodulacyjne mięsaka kościopochodnego (ICD-10 C40-41), w ramach programu lekowego.*

**Uzasadnienie**

*Jedynie badanie RCT dotyczące mifamurtydu budzi wątpliwości metodologiczne i daje niejednoznaczne i niespójne wyniki. Lek nie jest efektywny kosztowo. Bardzo wysokie koszty leczenia powodują, że nie jest on refundowany w żadnym kraju o zbliżonym do Polski poziomie PKB per capita.*

**Przedmiot wniosku**

Przedmiotem wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu jest Mepact (mifamurtyd) proszek do sporządzania zawiesiny do infuzji, 4 mg, 1 fioła 50 ml + 1 filtr, kod EAN 5909991004552 w ramach uzgodnionego z wnioskodawcą programu lekowego „Leczenie immunomodulacyjne mięsaka kościopochodnego (osteosarcoma) (ICD-10 C40-C41)” w ramach programu lekowego; poziom odpłatności: bezpłatnie. Wnioskodawca zaproponował instrument dzielenia ryzyka polegający na zapewnieniu jednej ampułki leku za darmo pod koniec terapii. Wnioskowana technologia nie była do tej pory przedmiotem oceny AOTM.

**Problem zdrowotny**

Kostniakomięsak to nowotwór złośliwy wywodzący się z komórek wytwarzających osteoid. Jego przyczyna jest nieznana. Zazwyczaj występuje u nastolatków, w czasie ich gwałtownego wzrostu. Kostniakomięsak jest najczęstszym nowotworem złośliwym w praktyce ortopedycznej. Występuje rzadko — stanowią poniżej 0,5% nowych przypadków wszystkich nowotworów złośliwych. Kostniakomięsak jest rozpoznawany w Polsce u około 60–100 osób rocznie (2–3 na 1 000 000). Ogólnie przeżycia 5-letnie wynoszą około 70% lub więcej pod warunkiem prawidłowego rozpoznania i leczenia. W celu miejscowego opanowania choroby konieczne jest leczenie chirurgiczne (wysoki poziom złośliwości). Jednocześnie stosuje się uzupełniającą chemioterapię przed operacją i po niej (doksorubicyna, cisplatyna, ifosfamid i metotreksat) w celu poprawy przeżycia wolnego od przerzutów do płuc. Zgodnie z opinią eksperta „immunomodulacja z mifamurtydem jest uzupełnieniem chemioterapii i leczenia operacyjnego i nie może tego postępowania zastąpić”.

**Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Mepact (mifamurtyd) kod EAN: 5909991004552 proszek do sporządzania zawiesiny do infuzji 1 fiołka 50 ml + 1 filtr. Lek został zarejestrowany w procedurze centralnej 06.03.2009 r. Ma status leku sierocego.

Ze względu na niewystarczające dowody skuteczności leku, Mepact (mifamurtyd) we wskazaniu resekcyjny kostniakomięsak o wysokim stopniu złośliwości nie został zarejestrowany przez FDA (opinia negatywna z kwietnia 2007 roku).

Mifamurtyd (muramylotripeptyd fosfatydyloetanolaminy, ang. MTP-PE) jest w pełni syntetyczną pochodną muramylodipeptydu (ang. MDP), najmniejszego naturalnie występującego składnika ścian komórkowych *Mycobacterium sp.*, posiadającą działanie immunostymulujące. MTP-PE jest silnym aktywatorem monocytów i



makrofagów. Dokładny mechanizm aktywacji monocytów i makrofagów przez produkt MEPACT prowadzący do działania przeciwnowotworowego u zwierząt i ludzi nie jest znany.

Produkt MEPACT jest wskazany do stosowania u dzieci, młodzieży i młodych osób dorosłych w leczeniu resekcyjnego kostniakomięsaka o znacznym stopniu zaawansowania po kompletnej makroskopowo resekcji chirurgicznej bez przerzutów. Produkt jest stosowany w terapii skojarzonej z pooperacyjną chemioterapią wielolekową. Bezpieczeństwo stosowania i skuteczność produktu oceniano w badaniach u pacjentów w wieku od 2 do 30 lat po wstępnej diagnozie.

Zalecana dla wszystkich pacjentów dawka mifamurtydu wynosi  $2 \text{ mg/m}^2$  powierzchni ciała. Produkt należy podawać jako leczenie uzupełniające po resekcji: dwa razy na tydzień z zachowaniem 3-dniowych przerw przez 12 tygodni, a następnie raz na tydzień przez kolejne 24 tygodnie, co razem stanowi 48 wlewów przez 36 tygodni.

### **Alternatywne technologie medyczne**

Alternatywne technologie medyczne dla mifamurtydu (Mepact) we wnioskowanym wskazaniu to schemat wielolekowy: cisplatyna, doksorubicyna, metotreksat (schemat A) oraz schemat wielolekowy: cisplatyna, doksorubicyna, metotreksat oraz ifosfamid (schemat B). Przeprowadzona przez Agencję ocena poprawności wyboru komparatorów nie wykazała żadnych nieprawidłowości. Wskazane przez wnioskodawcę komparatory są zgodne z aktualnymi wytycznymi postępowania klinicznego i opiniami ekspertów klinicznych.

### **Skuteczność kliniczna**

Do analizy włączono randomizowane badanie kliniczne INT-0133. Przeprowadzono analizę porównującą chemioterapię ogólnie (schematy A i B opisane powyżej) z chemioterapią w skojarzeniu w mifamurtydem. Wynik porównania wskazuje na istotną statystycznie różnicę na korzyść stosowania mifamurtydu dla punktu końcowego przeżycie całkowite. Ryzyko zgonu (HR) w grupie leczonej mifamurtydem w skojarzeniu z chemioterapią wynosi 71% ryzyka w grupie leczonej tylko chemioterapią – HR=0,71 (95% CI:0,52; 0,96; p=0,03). Wynik porównania wskazuje na bliską istotności statystycznej przewagę chemioterapii w skojarzeniu z mifamurtydem nad samą chemioterapią dla punktu końcowego przeżycie bez zdarzenia (event-free survival; rozumiane jako czas przeżycia bez progresji choroby, diagnozy innego nowotworu, zgonu, ale także czas do utraty kontaktu z pacjentem) – HR=0,8 (95% CI:0,62;1; p=0,08).

Stwierdzono istotną statystycznie przewagę schematu B w skojarzeniu z mifamurtydem nad schematem B pod względem przeżycia bez zdarzenia dla 6-letniego okresu badania, podczas gdy różnica w ogólnym przeżyciu była bliska istotności statystycznej. Nie stwierdzono istotnej statystycznie różnicy pomiędzy schematem A i schematem A w skojarzeniu z mifamurtydem.

Zgodnie z raportem NIHR w analizie *post hoc* nie wykazano istotnych statystycznie różnic pomiędzy schematami A i B stosowanymi osobno lub w połączeniu z mifamurtydem względem ogólnego przeżycia, a także względem przeżycia wolnego do choroby (disease-free survival).

Przedstawione wyniki jedyne badania RCT budzą wątpliwości ze względu na dobór grup, odmienności w lekach stosowanych w dwóch schematach chemioterapii, a w szczególności ze względu na brak istotnych różnic po dodaniu mifamurtydu do podstawowego schematu trójlekowego.

### **Skuteczność praktyczna**

Wnioskodawca nie przedstawił informacji dotyczących skuteczności praktycznej.

### **Bezpieczeństwo stosowania**

Dane dotyczące bezpieczeństwa stosowania mifamurtydu dla badania INT-0133 opublikowano w analizie EMA z uwzględnieniem jedynie ciężkich zdarzeń niepożądanych (stopień 3 i 4). Zgodnie z tym opracowaniem najczęstszymi zdarzeniami niepożądanymi 3. i 4. stopnia są: zmniejszenie liczby krwinek (neutrofilii – 47%, leukocytów – 24%, trombocytów – 29% pacjentów), nudności i wymioty (18% pacjentów) oraz obiektywnie oceniona utrata słuchu (12%). Nie stwierdzono istotnych statystycznie różnic pomiędzy grupami dla wymienionych zdarzeń z wyjątkiem utraty słuchu: obiektywnie oceniony deficyt – RR=1,63 (95%CI: 1,01; 2,66 p=0,0474). Autorzy analizy zwrócili uwagę, że najczęściej występujące zdarzenia niepożądane są działaniami niepożądanymi charakterystycznymi dla chemioterapii.

Spośród zdarzeń niepożądanych zgłoszonych w dokumentach ICSR (ang. *Individual Case Safety Report*) zebranych w 5 dokumentach PSUR (ang. *Periodic Safety Update Report*) najwięcej dotyczyło klasy: zaburzenia ogólne i stany w miejscu podania (wg MedDRA, ang. *Medical Dictionary for Regulatory Activities*). Najczęściej występowały m.in. gorączka, neutropenia oraz dreszcze.

## Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

[REDACTED]

## Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Celem analizy była ocena efektów zdrowotnych oraz opłacalności dołączenia mifamurtydu do schematu chemioterapii stosowanej w leczeniu resekcyjnego kostniakomięsa o wysokim stopniu złośliwości, bez przerzutów, u pacjentów w wieku od 2 do 30 lat. Analizę przeprowadzono dla 60-letniego horyzontu czasowego.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

## Wpływ na budżet płatnika publicznego

Analizę wydatków NFZ przeprowadzono w perspektywie pięciu lat od wprowadzenia refundacji leku. Analizowano dwa scenariusze wydatków płatnika: scenariusz istniejący – aktualnie realizowany, bez refundacji preparatu Mepact oraz scenariusz nowy – po wprowadzeniu produktu Mepact do refundacji w ramach programu lekowego. Za najbardziej prawdopodobne uznano, iż mifamurtyd będzie stosowany u 50% docelowej grupy pacjentów w pierwszym roku, natomiast u wszystkich pacjentów w kolejnych latach.

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

## Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej

W analizie racjonalizacyjnej wnioskodawcy założono redukcję ceny detalicznej leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych stanowiących podstawy limitów w swoich grupach limitowych. W analizie wykorzystano możliwość obniżenia limitu finansowania, co wynikać będzie z wprowadzenia na rynek tańszych odpowiedników obecnie

stosowanych substancji. Ze względu na brak zidentyfikowanych możliwości uwolnienia środków z grupy leków stosowanych w leczeniu kostniakomięsa, w analizie przedstawiono możliwości uwolnienia środków w obrębie innych grup terapeutycznych.

Analizę przeprowadzono dla 5-letniego horyzontu czasowego, analogicznego dla horyzontu analizy wpływu na system opieki zdrowotnej. Wyniki przedstawiono w ujęciu rocznym, co pokazuje proporcjonalne oszczędności (uwolnienie środków) wynikające z wprowadzenia odpowiedników dla leków będących przedmiotem analizy racjonalizacyjnej.

### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Organizacje SMC (2011) oraz NICE (2011) zalecają stosowanie mifamurtydu w połączeniu z chemioterapią wieloskładnikową w kostniakomięsa. NICE w roku 2010 w komunikacie prasowym poinformował, iż skuteczność leku nie jest potwierdzona, jak również koszt leczenia lekiem jest wysoki, w związku z tym opinia nie może być pozytywna. Prescrire (2010) wydało rekomendacją negatywną.

NHS (2010), HAS (2010) nie zalecają stosowania mifamurtydu w połączeniu z chemioterapią wieloskładnikową w leczeniu kostniakomięsa.

Według informacji przedstawionych przez wnioskodawcę Mepact jest finansowany w 8 krajach UE i EFTA (na 30, dla których informacje przekazano). Rozpatrywany lek jest finansowany w żadnym kraju o zbliżonym do Polski poziomie PKB per capita.

### **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-DS-4351-1, "Wniosek o objęcie refundacją leku Mepact (mifamurtyd) we wskazaniu: leczenie immunomodulacyjne mięsaka kościopochodnego (OSTEOSARCOMA)(ICD-10 C40-41)", czerwiec 2013

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

1. Stanowisko eksperckie przedstawione na posiedzeniu w dniu 1.07.2013r.



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 126/2013 z dnia 1 lipca 2013 r.

w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację  
produktu leczniczego Kenalog (triamcinolonum acetonide)  
we wskazaniach: bliznowiec; świerzbieżka guzkowa; ciężka postać  
trądzika skupionego/bliznowaciejącego

*Rada uważa za zasadne wydawanie zgody na refundację produktu leczniczego Kenalog (triamcinolonum acetonide) we wskazaniach: bliznowiec; świerzbieżka guzkowa; ciężka postać trądzika skupionego/bliznowaciejącego.*

**Uzasadnienie**

*Acetonid triamcinolonu należy do glikokortykosteroidów, jest ketonową pochodną triamcinolonu o działaniu przeciwzapalnym, przeciwalergicznym i przeciwświądowym.*

*W praktyce klinicznej (w przedmiotowych wskazaniach) stosuje się głównie maści steroidowe w opatrunkach okluzyjnych lub bez oraz terapie skojarzone: iniekcje triamcinolonu w skojarzeniu z iniekcjami interferonu alfa 2b lub 5-fluorouracylu. Poza tym w cięższych przypadkach zmiany skórne usuwa się chirurgicznie.*

*Jak wskazuje ekspert:*

- 1. Doogniskowe podawanie Kenalogu (triamcinolone acetonide) jest jednym ze sposobów leczenia bliznowców;*
- 2. Doogniskowe podawanie Kenalogu (triamcinolone acetonide) jest alternatywną metodą leczenia świerzbieżki guzkowej w przypadku występowania dużych guzków, które nie poddają się innym sposobom leczenia;*
- 3. W przypadku trądziku bliznowaciejącego doogniskowe podawanie Kenalogu (triamcinolone acetonide) należy zaliczyć do ważnych sposobów leczenia w przypadku szpeczących bliznowców potrądzikowych.*

**Przedmiot wniosku**

Zlecenie dotyczy zbadania zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego Kenalog (triamcinolonum acetonide) we wskazaniach: bliznowiec; świerzbieżka guzkowa; ciężka postać trądzika skupionego/bliznowaciejącego. Oceniany produkt leczniczy nie jest zarejestrowany w procedurze centralnej (EMA).

Zlecenie z art. 31 e ust. 1 ustawy o z dnia 24 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz.1027 z późn. zm.) oraz art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2012 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. Nr 122, poz.696 z późn. zm.).



## **Problem zdrowotny**

Bliznowiec, inaczej keloid, jest to guz złożony z tkanki łącznej włóknistej, powstający bądź w miejscu urazów (bliznowce wtórne), bądź bez uchwytnej przyczyny (bliznowce samoistne).

Świerzbieżka guzkowa, zwana też świerzbieżką guzkową Hyde, ma postaci guzkowych, rozsianych zmian skórnych, będących wynikiem bardzo nasilonego świądu i uporczywego drapania. Jest to prawdopodobnie szczególnie nasilona rozsiana postać lichen simplex (neurdermitis). W części przypadków stwierdza się podwyższone stężenie IgE oraz odczyny natychmiastowe na alergen wziewne, co przemawia za pewnym związkiem z atopią. Podstawowe znaczenie ma jednakże związek z układem nerwowym i stresami psychicznymi. Chorzy z powodu świądu mogą mieć nawet tendencje samobójcze i wymagają często konsultacji psychiatrycznej.

Trądzik skupiony (acne conglobata) i trądzik bliznowaciejący (acne keloidea) są ciężkimi postaciami klinicznymi trądziku pospolitego. W trądziku skupionym zmiany polegają na występowaniu głębokich nacieków i torbieli ropnych, niekiedy zlewających się, oraz licznych, bardzo dużych zaskórników; gojenie następuje poprzez mostkowe, nierówne i przerosłe blizny; odmianę tę spotyka się prawie wyłącznie u mężczyzn, zmiany często – obok miejsc typowych – zajmują również okolice pachowe, pachwinowe i pośladki; jeśli zajęte są wyłącznie okolice nietypowe, niektórzy autorzy używają dla tych przypadków nazwy acne inversa. Trądzik bliznowcowy polega na tworzeniu się bliznowców w obrębie wykwitów trądzikowych, często towarzyszy trądzikowi ropowiczemu lub skupionemu, niekiedy dotyczy wyłącznie okolic karku.

## **Opis wnioskowanej technologii medycznej**

Acetonid triamcinolonu należy do glikokortykosteroidów, jest ketonową pochodną triamcinolonu o działaniu przeciwzapalnym, przeciwalergicznym i przeciwświądowym.

## **Alternatywne technologie medyczne**

Nie odnaleziono świadczeń refundowanych w przedmiotowych wskazaniach. W praktyce klinicznej stosuje się głównie maści steroidowe w opatrunkach okluzyjnych lub bez oraz terapie skojarzone: iniekcje triamcinolonu w skojarzeniu z iniekcjami interferonu alfa 2b lub 5-fluorouracylu. Poza tym w cięższych przypadkach zmiany skórne usuwa się chirurgicznie. Metody uciskowe nie wykazują się wysoką efektywnością.

## **Skuteczność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania**

Odnaleziono wyniki czterech badań oceniających skuteczność triamcinolonu w postaci iniekcji w bliznowcu, w tym dwa badania randomizowane (jedno umiarkowanej jakości, 3 w skali Jadad i jedno niskiej jakości, 1 w skali Jadad) oraz dwa badania obserwacyjne niskiej jakości. Nie zidentyfikowano żadnych badań oceniających skuteczność triamcinolonu w świerzbieżce guzkowej lub ciężkiej postaci trądziku skupionego/bliznowaciejącego.

Celem badania Lee 2008 było porównanie skuteczności monoterapii triamcinolonem z terapią skojarzoną triamcinolonem z interferonem alfa2b. Uzyskano istotną statystycznie różnicę w zmianie grubości bliznowca (81,6%,  $P=0,005$ ) i objętości bliznowca (86,6%,  $P=0,002$ ) dla terapii skojarzonej w porównaniu ze stanem początkowym. Dla pacjentów leczonych monoterapią uzyskano następujące wyniki: zmniejszenie grubości bliznowca, 66%,  $P=0,281$ ; objętości bliznowca, 73,4%,  $P=0,245$  w porównaniu ze stanem początkowym. Terapię skojarzoną uznano za metodę o wyższej skuteczności w porównaniu z monoterapią triamcinolonem, zalecaną szczególnie u pacjentów, u których nastąpiły nawroty bliznowca po poprzednim leczeniu.

Celem badania Darougeh 2007 było porównanie skuteczności iniekcji triamcinolonu z iniekcjami triamcinolonu w połączeniu z 5-fluorouracylem. W 8 tygodniu badania oraz w 12 tygodniu obserwacji obie grupy wykazały poprawę stanu pacjentów w zakresie prawie wszystkich punktów końcowych. W grupie triamcinolonu 20% pacjentów oceniło skuteczność terapii na poziomie dobrym lub doskonałym. W grupie leczenia skojarzonego 55% pacjentów oceniło skuteczność terapii na poziomie dobrym lub doskonałym i jest to różnica istotna statystycznie ( $P=0,02$ ). W ocenie lekarza odpowiedź na leczenie na poziomie dobrym lub doskonałym uzyskano u 15% pacjentów w grupie triamcinolonu i 40% pacjentów w grupie terapii skojarzonej. Różnica nie była istotna statystycznie. Badanie nie

wykazało wyższej skuteczności jednej z terapii, jednakże terapia skojarzona była bardziej akceptowana przez pacjentów.

Celem badania Muneuchi 2006 była długoterminowa ocena skuteczności niskich dawek iniekcji triamcinolonu w bliznowcu. Wyniki badania analizowano w 3 przedziałach czasowych skorelowanych z ilością otrzymanych przez pacjenta iniekcji: do 10 iniekcji, 11-30 iniekcji i powyżej 30 iniekcji. Skuteczność triamcinolonu w porównaniu ze stanem początkowym była najwyższa w grupie pacjentów, którzy otrzymali ponad 30 iniekcji. W kategorii objawów subiektywnych istotną poprawę uzyskano u 82% pacjentów. W kategorii objawów obiektywnych poprawę na poziomie średnim lub wyższym uzyskano u 63% pacjentów, a na poziomie dobrym lub wyższym u 39% pacjentów. Uznano, że leczenie niskimi dawkami triamcinolonu wymaga wykonania 20-30 iniekcji w czasie 3-5 lat.

Celem badania Asilian 2006 było zbadanie skuteczności różnych metod leczenia keloidów. W 8 i 12 tygodniu badania we wszystkich grupach pacjentów zaobserwowano redukcję bliznowców na poziomie akceptowalnym. Różnice między grupami były istotne statystycznie na korzyść terapii skojarzonych. Skuteczność terapii została oceniona na poziomie dobrym lub doskonałym przez: 20% pacjentów w grupie 1., 55% pacjentów w grupie 2. i 75% pacjentów w grupie 3., wszystkie wyniki były istotne statystycznie. Analogiczna ocena wykonana przez niezależnego obserwatora dała następujące wyniki: (dobra lub doskonała poprawa) 15% pacjentów w grupie 1., 40% pacjentów w grupie 2. i 70% pacjentów w grupie 3., wszystkie wyniki były istotne statystycznie. Skuteczność obu terapii kombinowanych była wyższa od monoterapii triamcinolonem. Terapia skojarzona z laserem była bardziej akceptowana przez pacjentów.

Producent wskazuje następujące działania niepożądane bez uwzględniania częstości ich występowania:

Reakcje alergiczne: wstrząs anafilaktyczny, w tym śmierć; obrzęk naczynioruchowy

Kardiologiczne: bradykardia, zatrzymanie akcji serca, zaburzenia rytmu serca, powiększenie serca, zapaść, zastoinowa niewydolność serca, otyłość płucna, nadciśnienie tętnicze, kardiomiopatia przerostowa u wcześniaków, zawał mięśnia sercowego, obrzęk płuc, omdlenie, tachykardia, zakrzepowo, zakrzepowe zapalenie żył, zapalenie naczyń krwionośnych

Dermatologiczne: trądzik, alergiczne zapalenie skóry, zanik skóry i tkanki podskórnej, łuszczenie się skóry, wybroczyny, obrzęk, rumień, zaburzenia pigmentacji, zaburzenia gojenia ran, zwiększona potliwość, toczeń rumieniowaty-podobne zmiany chorobowe, plamica, wysypka, sterylne ropnie, rozstępny, zmniejszenie grubości skóry, przerzedzenie włosów na skórze głowy, pokrzywka.

Endokrynologiczne: zmniejszona tolerancja na węglowodany i glukozę, rozwój zespołu Cushinga, cukromocz, nadmierne owłosienie, wzrost zapotrzebowania na insulinę lub doustne leki hipoglikemizujące w cukrzycy, objawy utajonej cukrzycy, nieprawidłowości miesiączkowania, wtórny brak reakcji kory nadnerczy i przysadki mózgowej (szczególnie w okresach stresu, jak w zwalczaniu urazu, zabiegu chirurgicznego lub choroby), zaburzenia wzrostu u dzieci i młodzieży

Zaburzenia płynów i elektrolitów: zastoinowa niewydolność serca u podatnych pacjentów, zatrzymanie płynów, zasadowica, utrata potasu, zatrzymanie sodu.

Gastrologiczne: Wzdęcia, jelit/pęcherza dysfunkcji, podwyższenie aktywności enzymów wątrobowych w surowicy (zwykle ustępują po odstawieniu), powiększenie wątroby, zwiększony apetytu, nudności, zapalenie trzustki, choroba wrzodowa z możliwością perforacji i krwawienia, perforacja jelita (w szczególności u pacjentów z zapalną chorobą jelit), wrzodziejące zapalenie przełyku.

Metaboliczne: ujemne saldo azotu z powodu katabolizmu białek.

Zaburzenia mięśniowo-szkieletowe: aseptyczna martwica głowy kości udowej i ramiennej, zwapnienia, artropatia neurogenna, utrata masy mięśniowej, osłabienie mięśni, osteoporoza, patologiczne złamania kości długich, wyrównania po wstrzyknięciu (po śródstawowe używać), steroid miopatia, zerwanie ścięgna, złamania kręgow kompresji.

Neurologiczne/psychiczne: drgawki, depresja, chwiejność emocjonalna, euforia, ból głowy, podwyższone ciśnienie śródczaszkowe z papilledema (guz rzekomy mózgu) zwykle po przerwaniu leczenia, bezsenność, wahania nastroju, zapalenie nerwów, neuropatia, parestezje, zmiany osobowości, zaburzenia psychiczne, zaburzenia równowagi.



Okulistyka: wytrzeszcz, jaskra, zwiększone ciśnienie śródgałkowe, zaćma

Inne: Nieprawidłowe złogi tłuszczu, zmniejszenie odporności na zakażenia, czkawka, zwiększona lub zmniejszona ruchliwość i ilość plemników, złe samopoczucie, twarz księżyca, zwiększenie masy ciała.

W badaniu Lee 2008 raportowano następujące zdarzenia niepożądane: objawy grypopodobne, umiarkowany ból oraz stan zapalny w miejscu podania.

Odnaleziono również jeden opis przypadku dotyczący wystąpienia zespołu Cushinga (6-letnia pacjentka), u której 2 i 5 miesięcy wcześniej zastosowano iniekcje triamcinolonu do leczenia bliznowca. Naturalny rytm wydzielania wewnętrznego kortyzolu, powrócił u pacjentki po 12 miesiącach od ostatniej dawki triamcinolonu.

### **Skuteczność praktyczna**

Nie odnaleziono badań oceniających skuteczność praktyczną technologii.

### **Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka**

Nie dotyczy.

### **Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych**

Nie dotyczy.

### **Wpływ na budżet płatnika publicznego**

Średnia cena za opakowanie Kenalogu w dawce 0,01 g/ml w IV kwartale 2012 roku wynosiła 435 PLN, w I kwartale 2013 roku cena wzrosła do 475 PLN. Średnia cena za opakowanie Kenalogu w dawce 0,04 g/ml w IV kwartale 2012 roku wynosiła 85 PLN, w I kwartale 2013 roku cena spadła do 54 PLN. Zastanawia fakt dużej różnicy w cenach między dawkami oraz niższa cena leku w wyższej dawce (ilość ampułek w obu opakowaniach jest identyczna).

Odnaleziono informację dotyczącą ceny ampułek acetonidu triamcinolonu obowiązującej na terenie Australii w 2013 roku (PBAC). Kenacort-A10: triamcinolone acetonide 10 mg/ml, 5x1 ml ampułki. Cena jednego opakowania 25,10 AUD (76,27 PLN); maksymalna cena dla pacjenta 30,32 AUD (92,13 PLN).

### **Rozwiązania proponowane w analizie racjonalizacyjnej**

Nie dotyczy.

### **Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej**

Odnaleziono 2 rekomendacje kliniczne dotyczące leczenia bliznowca, obie rekomendacje pozytywnie oceniają stosowanie iniekcji triamcinolonu. W obu rekomendacjach nie opisano, czy przegląd literatury miał charakter systematyczny. Jedna z rekomendacji zalecała stosowanie iniekcji triamcinolonu, w stężeniach 10-40 mg/ml, zarówno w monoterapii, jak i w terapii łączonej wraz z 5-fluorouracylem lub interferonem alfa-2a. Druga z rekomendacji zaleca stosowanie iniekcji steroidów (w tym triamcinolonu) jako pierwszą linię leczenia.

Warto zaznaczyć, iż iniekcje triamcinolonu są w tym wskazaniu (bliznowiec) standardem leczenia opisywanym w podręcznikach z dziedziny dermatologii.

Odnaleziono 1 rekomendację dotyczącą leczenia świerzbieżki guzkowej, nie opisano w niej, czy przegląd literatury miał charakter systematyczny. Iniekcje triamcinolonu są rekomendowane w dalszych liniach leczenia, w stężeniu 10-40 mg/ml z ewentualnym dodatkiem środka o działaniu przeciwbólowym.

Odnaleziono 1 rekomendację dotyczącą leczenia trądziku skupionego. Rekomendacja miała charakter przeglądu systematycznego i nie odniosła się do stosowania triamcinolonu w postaci iniekcji. W rekomendacji negatywnie oceniono stosowanie jakiegokolwiek leczenia „na skórę” w postaci monoterapii.

### **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. 31 e ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych, z uwzględnieniem raportu ws. zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego nr AOTM-RK-431-9/2013, Kenalog (triamcinolone acetonide) ampułki 0,01 g/ml oraz 0,04 g/ml, we wskazaniach: bliznowiec; świerzbiczka guzkowa; ciężka postać trądzika skupionego/bliznowaciejącego, czerwiec 2013.

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

1. Nie dotyczy.