



**Opinia Rady Konsultacyjnej
nr 1/2012 z dnia 30 stycznia 2012 r.
w sprawie utworzenia odrębnej grupy limitowej
dla każdego środka spożywczo specjalnego
przeznaczenia żywieniowego dostępnego w
aptece na receptę stosowanego w fenyloketonurii**

Rada Konsultacyjna uważa za zasadne utworzenie odrębnej grupy limitowej dla każdego środka spożywczo specjalnego przeznaczenia żywieniowego dostępnego w aptece na receptę stosowanego w fenyloketonurii.

Przedmiot opinii

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczyło wydania opinii dotyczącej utworzenia odrębnej grupy limitowej dla każdego środka spożywczo specjalnego przeznaczenia żywieniowego, dostępnego w aptece na receptę, stosowanego w fenyloketonurii.

Obecnie poziom finansowania przedmiotowych środków spożywczych regulowany jest przez Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 29 grudnia 2011 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1. stycznia 2012 r. Zgodnie z przytoczonym dokumentem, istnieje aktualnie sześć grup limitowych, ustalonych według kryterium wieku pacjentów. W każdej z grup znajduje się dokładnie po jednym środku spożywczym, dla którego limit został wyznaczony w stosunku do ceny, na takim poziomie, że odpłatność dla pacjenta wynosi 3,2 zł. Za pozostałe środki spożywcze w poszczególnych grupach pacjent zapłaci od ok. 80 zł do 320 zł, co wobec konieczności stosowania ich przez całe życie, może stanowić poważne obciążenie finansowe. W efekcie ten sposób refundacji sprowadza się do konieczności stosowania tylko tego środka spożywczo, dla którego odpłatność wynosi 3,2 zł, co w praktyce może oznaczać odcięcie pacjenta od odstępu do diety leczniczej.

Przed wejściem w życie aktualnie obowiązującego obwieszczenia, każdy ze środków spożywczych stosowanych w fenyloketonurii dostępny był dla pacjenta w cenie 3,2 zł.

Uzasadnienie

Fenyloketonuria jest wrodzoną chorobą metaboliczną, dziedziczną w sposób autosomalny recesywny. Mutacja genetyczna powoduje całkowity lub częściowy brak aktywności hydroksylazy fenyloalaninowej, enzymu wątrobowego katalizującego konwersję aminokwasu fenyloalaniny do tyrozyny. Konsekwencją tych zaburzeń jest nadmierne gromadzenie się fenyloalaniny i jej metabolitów we krwi oraz płynach ustrojowych, co prowadzi do nieodwracalnego uszkodzenia ośrodkowego układu nerwowego, a tym samym upośledzenia umysłowego i różnorodnych zaburzeń neurologicznych. Jedynie wczesne rozpoczęcie leczenia u noworodków (w okresie klinicznie bezobjawowym) pozwala zapobiec nieodwracalnym następstwom choroby, wynikającym z uszkodzenia ośrodkowego układu nerwowego.²

Częstość występowania tej choroby w Polsce, podobnie jak w innych krajach Europy Środkowej, wynosi od 1:7000 do 1:8000 noworodków. Natomiast w piśmiennictwie światowym waha się od 1:2600 do 1:12000.³



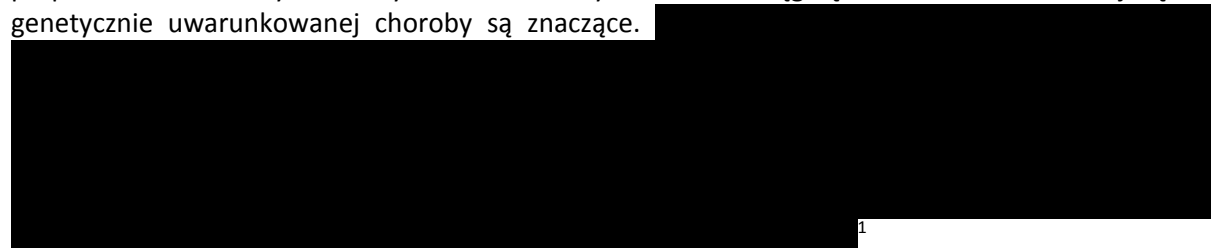
Warunkiem pozytywnych efektów leczenia jest wprowadzenie diety niskofenyloalaninowej (z równocześnie zapewnionym minimum niezbędnym dla syntezy białek nowonarodzonego człowieka) w 7-10 dobie życia noworodka, u którego stężenie fenyloalaniny w surowicy krwi przekracza ≥ 10 mg/dl.²

Środki spożywcze stosowane w fenyloketonurii - to podstawowe źródło białka dla chorych na fenyloketonurię. Aktualnie na rynku wśród 21 preparatów nie ma dwóch identycznych. Różnią się proporcjami składników odżywczych (bezfenyloalaninowe, niskofenyloalaninowe). Ponadto, odpowiednia postać preparatu (płyn, shake, granulaty, tabletki etc.) ułatwia jego spożywanie w różnorodnych warunkach, w zależności od wieku czy trybu życia pacjenta (szkoła, praca, dom). Również specjalnie przygotowane porcje umożliwiają dokładne i szybkie wyliczenie odpowiedniej dawki preparatu dla pacjenta. Dzienna dawka preparatu zależy między innymi od wieku, masy, stanu klinicznego oraz indywidualnej dobowej tolerancji fenyloalaniny. Leczenie dietetyczne chorych na fenyloketonurię trwa całe życie.

Agencja zwróciła się do ekspertów z prośbą o stanowisko w kwestii stworzenia odrębnych grup limitowych dla przedmiotowych środków spożywczych. W stanowiskach eksperckich przesłanki utworzenia odrębnych grup limitowych dotyczyły głównie następujących zagadnień: 1



W krajach Unii Europejskiej lekarze i pacjenci mają do dyspozycji szeroką gamę refundowanych preparatów stosowanych w fenyloketonurii. Dotychczasowe osiągnięcia Polski w leczeniu tej ciężkiej genetycznie uwarunkowanej choroby są znaczące.



Tryb przygotowania opinii

W piśmie zlecającym wydanie opinii (MZ-PLA-460-12525-39/KKU/12 z 16 stycznia 2012 r.) Minister Zdrowia powołuje się na art. 15 ust. 3 pkt. 3 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych z dnia 12 maja 2011 r. (Dz.U. Nr 122 poz. 696).

Niniejsza opinia wydana została przez Radę Konsultacyjną na podstawie art. 31 s ust. 6 pkt. 5 ustawy o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych z dnia 27 sierpnia 2004 r. (Dz.U. z 2008 r. Nr 164, poz. 1027 z późn. zm.) w oparciu o zestawienie informacji „Propozycja utworzenia odrębnej grupy limitowej dla każdego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego dostępnego w aptece na receptę stosowanego w fenylketonurii” nr AOTM-OT-434-1/2012.¹



Piśmiennictwo

1. Raport Nr: AOTM-OT-434-1/2012 „Propozycja utworzenia odrębnej grupy limitowej dla każdego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego dostępnego w aptece na receptę stosowanego w fenylketonurii”. Agencja Oceny Technologii Medycznych: Warszawa, styczeń 2012
2. Jachowicz S, et al. Wydział Medyczny Uniwersytetu Rzeszowskiego. Przegląd Medyczny Uniwersytetu Rzeszowskiego Rzeszów 2007; 1: 76–90
3. Sendeczka E. Standardy rozpoznawania i leczenia fenylketonurii. Medycyna wieku rozwojowego, 2001; 5: 77-94