

Rekomendacja nr 76/2013

z dnia 1 lipca 2013 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych

w sprawie objęcia refundacją środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Cooler 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

Prezes Agencji rekomenduje objęcie refundacją środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Cooler w postaciach:

- 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 roku życia, młodzieży, dorosłych oraz kobiet w ciąży, w ramach odrębnej grupy limitowej, z wnioskowanym poziomem odpłatności dla pacjenta ryczałt (art. 14 ust. 1 pkt 2a ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych).

Uzasadnienie rekomendacji

Prezes Agencji, przychylając się do stanowiska Rady Przejrzystości uważa, że objęcie refundacją preparatu PKU Cooler zwiększy różnorodność preparatów żywieniowych dostępnych w Polsce dla pacjentów z fenyloketonurią. Postać płynna produktu, a także różnorodność smaków, pozwoli nawet najmłodszym pacjentom na stosowanie zalecanej przez lekarzy diety w tym wskazaniu, co jest kluczowe dla zahamowania rozwoju choroby.

Mając na uwadze powyższe, finansowanie przedmiotowej technologii ze środków publicznych jest zasadne.

Przedmiot wniosku

Podmiot odpowiedzialny, we wniosku o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspz) zaproponował ceny zbytu netto:

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

[REDACTED]

Problem zdrowotny

Klasyczna hiperfenyloalaninemia, nazywana fenyloketonurią (ang. *phenylketonuria*, PKU), jest spowodowana mutacją punktową genu hydroksylazy fenyloalaninowej na 12 chromosomie, która prowadzi do całkowitego braku lub znacznego obniżenia aktywności tego enzymu, warunkującego przemianę fenyloalaniny w tyrozynę. Skutkiem uszkodzenia jednego ze składników systemu katabolizmu fenyloalaniny jest jej trwałe podwyższone stężenie we krwi i płynach ustrojowych.

W Polsce PKU występuje ze średnią częstością ok. 1:7500 żywych urodzeń. Według danych Polskiego Towarzystwa Fenyloketonurii, na terenie Polski zarejestrowanych jest ok. 2250 pacjentów, z których ok. 1900 utrzymuje kontakt z regionalną poradnią leczenia fenyloketonurii.

Pierwsze objawy choroby pojawiają się stopniowo około 3. mies. życia. Ulega zahamowaniu rozwój psychoruchowy, występują sporadyczne wymioty, wysypki skórne o charakterze wyprysku, jaśniejsza niż u rodzeństwa karnacja skóry, rozpoznawany jest też charakterystyczny zapach. Mogą występować

drgawki, nadpobudliwość, hipotonia mięśniowa, małowłowie. Iloraz inteligencji w nieleczonej fenylketonurii nie przekracza zwykle 50. Badania przesiewowe w kierunku PKU, wykonywane obecnie 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. mies.życia i systematyczne jej przestrzeganie. Uważa się, że ograniczenia dietetyczne należy stosować przez całe życie. W celu obniżenia stężenia fenylalaniny we krwi stosuje się różne mieszanki mlekozastępcze, które pozwalają na ograniczenie podaży fenylalaniny, bez zmniejszenia ogólnej podaży białka.

Wymagane jest utrzymywanie stężenia fenylalaniny (Phe) w czasie leczenia na stałym poziomie - najwyższe powinno wynosić 3-7 mg% (0,18-0,42 mmol/l). Nadmierna podaż fenylalaniny przyczynia się do stopniowego uszkodzenia mózgu, zaś nadmierne obniżenie podaży tego aminokwasu może prowadzić do jej niedoboru skutkującego zahamowaniem wzrostu, sennością, niedokrwistością, biegunką, a nawet zgonem. Szczególnie ważne jest utrzymanie stężenia fenylalaniny poniżej 10 mg% (0,6 mmol/l) u ciężarnych kobiet z fenylketonurią. Wyższe stężenia fenylalaniny u przyszłej matki zagrażają wystąpieniem u noworodka tzw. fenylketonurii matczynej, która objawia się opóźnieniem umysłowym, małowłowie, niekiedy wrodzoną wadą serca.

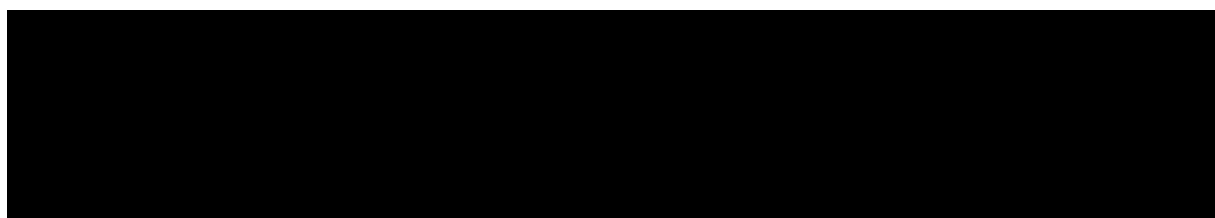
Opis wnioskowanego świadczania

PKU Cooler jest dietetycznym środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia medycznego. Do obrotu został dopuszczony 31.12.2012 roku. W składzie produktu znajduje się: woda, sacharoza, L-asparaginian L-lizyny, L-leucyna, L-tyrozyna, glicyna, regulator kwasowości (E330), L-asparaginian L-argininy, L-walina, L-prolina, L-treonina, L-izoleucyna, skrobia modyfikowana, fosforan wapnia, fosforan magnezu, L-seryna, cytrynian potasu, L-alanina, L-histydyna, diwinian choliny, L-cystyna, olej z tuńczyka, L-tryptofan, chlorek sodu, L-metionina, L-arginina, aromat, kwas L-askorbinowy, kazeinian sodu (z mleka), syrop glukozowy w proszku, dekstroza, emulgator (lecytyna sojowa), substancja zagęszczająca (E415), barwnik (E160a), substancja słodząca (acesulfam K), konserwanty (E202, E211), glukonian cynku, przeciwutleniacze (E301, mieszanina naturalnych tokoferoli, E304, E307), tauryna, L-winian L-karnityny, siarczan żelaza, maltodekstryna, octan DL-alfa-tokoferylu, glukonian manganu, nikotynamid, glukonian miedzi, octan retinylu, D-pantotnian wapnia, chlorowodorek pirydoksyny, chlorowodorek tiaminy, ryboflawina, kwas foliowy (kwas pteroilomonoglutaminowy), chlorek chromu (III), jodek potasu, molibdenian (VI) sodu, D-biotyna, selenin sodu, witamina K (filochinon), witamina D3 (cholekalcyferol), witamina B12 (cyjanokobalamina).

Alternatywna technologia medyczna



Skuteczność kliniczna



[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]

Wskazanie czy zachodzą okoliczności, o których mowa w art. 13 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. nr 122, poz.696 z późn. zm.)

Nie dotyczy.

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]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

[Redacted text block]

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

[Redacted text block]

Omówienie rekomendacji wydawanych w innych krajach w odniesieniu do ocenianej technologii

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). Nie odnaleziono rekomendacji klinicznych odnoszących się wprost do wnioskowanych śsspż.

Informację o pozytywnej rekomendacji refundacyjnej dla diety PKU Cooler odnaleziono jedynie na stronie PBAC.

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 30.04.2013 r. Ministra Zdrowia (znak pisma: MZ-PLA-460-18595-1/KWA/13), w sprawie objęcia refundacją i ustalenia urzędowej ceny zbytu środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego: 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; 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, oraz PKU Express 15 o smaku pomarańczowym, proszek, 15 g białka/25 g, 30 saszetek po 25 g, EAN 5060014051738; PKU Express 15 o smaku neutralnym, proszek, 15 g białka/25 g, 30 saszetek po 25 g, EAN 5060014051585; PKU Express 15 o smaku cytrynowym, proszek, 15 g białka/25 g, 30 saszetek po 25 g, EAN 5060014051745; PKU Express 15 o smaku owoców tropikalnych, proszek, 15 g białka/25 g, 30 saszetek po 25 g, EAN 5060014051752; PKU Express 20 o smaku pomarańczowym, proszek, 20 g białka/34 g, 30 saszetek po 34 g, EAN 5060014051769; PKU Express 20 o smaku neutralnym, proszek, 20 g białka/34 g, 30 saszetek po 34 g, EAN 5060014051639; PKU Express 20 o smaku cytrynowym, proszek, 20 g białka/34 g, 30 saszetek po 34 g, EAN 5060014051776; PKU Express 20 o smaku owoców tropikalnych, proszek, 20 g białka/34 g, 30 saszetek po 34 g, EAN 5060014051783; we wskazaniu: dieta eliminacyjna w fenylketonurii - skondensowany, porcjowany preparat w proszku, przeznaczony dla dzieci powyżej 3 r. ż., młodzieży, dorosłych oraz kobiet w ciąży, na podstawie art. 35 ust 1. ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. Nr 122, poz. 696, z późn. zm.), po uzyskaniu stanowisk Rady Przejrzystości nr 101 – 112/2013 z dnia 1 lipca 2013 r. w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Cooler.

Piśmiennictwo:

1. Stanowiska Rady Przejrzystości nr 101 – 112/2013 z dnia 1 lipca 2013 r. w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Cooler.
2. Analiza weryfikacyjna 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 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; 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.