



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 71/2014 z dnia 25 lutego 2014 r.

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

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgody na refundację w ramach importu docelowego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Glycosade (Dieta eliminacyjna), saszetki á 60 g we wskazaniu: glikogenoza typu I.

Uzasadnienie

Dowody naukowe wskazujące na przewagę środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Glycosade w leczeniu glikogenozy typu I pochodzą z ograniczonej ilości, słabej/umiarkowanej jakości badań klinicznych. Mimo to, ponieważ glikogenoza typu I należy do grupy chorób rzadkich, można je uznać za wystarczające dla uznania ocenianej interwencji za skuteczną klinicznie u części chorych w zakresie wtórnych punktów końcowych mogących wpłynąć na jakość ich życia. Stosowanie przetworzonej skrobi kukurydzianej u pacjentów cierpiących na glikogenozę typu I jest rekomendowane przez zespół European Study on Glycogen Storage Disease Type I. Brak jest danych pozwalających ocenić kosztową efektywność interwencji, jednak rekomendacje innych instytucji dotyczące finansowania produktu Glycosade we wskazaniu: choroby spichrzeniowe glikogenu, są również pozytywne.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministerstwa Zdrowia (pismo znak MZ-PLD-460-18536-42/AL/13 z dnia 3 lipca 2013 roku) dotyczy zbadania zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Glycosade (Dieta eliminacyjna), saszetki á 60 g we wskazaniu: glikogenoza typu I.

Tryb zlecenia: art. 31 e ust 1 ustawy z dnia 24 sierpnia 2004 roku o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U. 2004 nr 210 poz. 2135, z późn. zm.) w związku z art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. 2011 nr 122 poz. 696, z późn. zm.).

Przygotowano raport skrócony ograniczony do analizy skuteczności oraz profilu bezpieczeństwa z wykorzystaniem ogólnodostępnych informacji dotyczących rejestracji, danych pochodzących z badań wtórnych (metaanalizy oraz przeglądy systematyczne), a w przypadku ich braku z najbardziej wiarygodnych badań pierwotnych, wniosków płynących z przeglądu dostępnych rekomendacji klinicznych i refundacyjnych na świecie oraz w oparciu o opinie ekspertów klinicznych.

Zwrócono się także do Konsultantów Krajowych i Wojewódzkich w dziedzinie pediatrii oraz pediatrii onkologicznej, zidentyfikowanych przez analityków AOTM, jako posiadających doświadczenie



w stosowaniu ocenianej interwencji, z prośbą o opinię dotyczącą zbadania zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Glycosade (Dieta eliminacyjna) we wnioskowanym wskazaniu w ramach importu docelowego oraz dodatkowe dane, dotyczące aktualnej praktyki klinicznej w ocenianym wskazaniu.

Problem zdrowotny

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

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

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Glycosade jest wskazany do stosowania dietetycznego w przypadku choroby związanej z odkładaniem glikogenu (GSD), gdy wskazane jest stosowanie skrobi długo działającej.

Alternatywne technologie medyczne

Na podstawie opinii ekspertów klinicznych ds. pediatrii oraz pediatrii metabolicznej nie ma terapii alternatywnej dla stosowania Glycosade.

Skuteczność kliniczna

Do analizy klinicznej włączono jedno randomizowane, badanie z grupą kontrolną (Correia 2008) porównujące skuteczność skrobi modyfikowanej (Glycosade) z obecnie stosowaną terapią skrobią kukurydzianą u pacjentów glikogenozą typu I. Wyniki wskazują, iż skrobia modyfikowana okazała się skuteczniejsza od standardowej terapii w wydłużaniu czasu do wystąpienia hipoglikemii.

Do analizy klinicznej włączono 2 przeglądy systematyczne. Zarówno w publikacjach Froissart 2011, jak i Shah 2013 zwrócono uwagę, iż spożywanie modyfikowanej skrobi kukurydzianej utrzymuje znacznie dłużej prawidłowe stężenie glukozy we krwi niż spożywanie standardowo stosowanej skrobi kukurydzianej.

Skuteczność praktyczna

Brak danych.

Bezpieczeństwo stosowania

Nie odnaleziono dodatkowych informacji dotyczących bezpieczeństwa w bazach EMA, FDA i URPL. Preparat Glycosade nie posiada Charakterystyki Produktu Leczniczego.

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Brak danych.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

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

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Do analizy włączono 2 rekomendacje kliniczne dotyczące postępowania klinicznego u pacjentów z glikogenozą typu I. Wytyczne British Inherited Metabolic Disease Group nie zawierały informacji dotyczących zastosowania preparatu Glycosade we wnioskowanym wskazaniu. European Study on Glycogen Storage Disease Type I rekomenduje stosowanie przetworzonej skrobi kukurydzianej u pacjentów cierpiących na glikogenozę typu I.

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

Dodatkowe uwagi Rady

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

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

.....
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Michał Myśliwiec

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 (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz.1027 z późn .zm.) w związku z 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.), z uwzględnieniem raportu ws. zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego AOTM-DS-431-13/2013, Zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Glycosade (Dieta eliminacyjna), saszetki á 60 g we wskazaniu: glikogenoza typu I, luty 2014 r.

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

1. Nie dotyczy.