



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 67/2014 z dnia 25 lutego 2014 r.
w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację
środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego
GA Gel we wskazaniu Acyduria glutarowa typu I

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego GA Gel we wskazaniu Acyduria glutarowa typu I.

Uzasadnienie

Brak badań klinicznych omawiających skuteczność i bezpieczeństwo kliniczne środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego GA Gel w podanym wskazaniu. Jednak odnaleziono 5 rekomendacji klinicznych i 1 finansową stwierdzającą przydatność GA Gel dla pacjentów od 6 mc do 10 r. życia. W wytycznych NHS NIHR 2012 wskazano ten środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego jako jeden z kilku do stosowania w diecie w Acydurii glutarowej typu I. Umożliwia pokrycie zapotrzebowania na białko w zależności od fazy rozwoju pacjenta, umożliwia przygotowanie preparatu w formie żelu, który można podać pacjentom od 6 mc. życia, jako jedyny nie wymaga dużych rozcieńczeń w jego przygotowaniu.

Przedmiot wniosku

Problem decyzyjny: zlecenie Ministra Zdrowia (pismo z dnia 4 lipca 2013 r., znak MZ-PLD-460-18536-38/AL/13) dotyczy zbadania zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspż) GA Gel (Dieta eliminacyjna), saszetki á 24 g we wskazaniu acyduria glutarowa typu 1, sprowadzanego zgodnie art. 29a ust. 5 ustawy z dnia 25 sierpnia 2006 r. o bezpieczeństwie żywności i żywienia (Dz.U. z 2010 r., Nr 136, poz. 914 z późn. zm.) .

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.).

Dodatkowe informacje: AOTM wystąpiła do MZ z prośbą o przekazanie danych dotyczących zleconego śsspż oraz wyrażenia zgody na przeprowadzenie skróconej oceny, ograniczonej do analizy skuteczności oraz profilu bezpieczeństwa, przeglądu dostępnych rekomendacji klinicznych i refundacyjnych na świecie oraz opinii ekspertów. Ministerstwo Zdrowia wyraziło zgodę na przeprowadzenie oceny skróconej.

Problem zdrowotny

Acyduria glutarowa typu 1, inaczej niedobór dehydrogenazy glutarylo-CoA (GDD) jest autosomalnie recesywnym zaburzeniem neurometabolicznym, charakteryzującym się przełomami ostrej encefalopatii, które powodują uszkodzenia w prądkowiu oraz poważne zaburzenia ruchu natury



o charakterze dystonii i dyskinezy. Należy do chorób rzadkich, częstość występowania choroby na całym świecie szacuje się na 1 na 100,000 urodzeń. Postępowanie terapeutyczne w chorobie obejmuje obecnie dietę o niskiej zawartości lizyny, suplementację karnityny, w wypadku wystąpienia chorób dodatkowych – przygotowanie na szybką interwencję medyczną. Podczas ostrych epizodów najważniejsze w postępowaniu jest zwiększenie podaży energii (20-100% powyżej zalecanego dziennego spożycia); eliminacja naturalnego białka przez 24-48 godzin a następnie stopniowe jego przywrócenie; podwojenie suplementacji L-karnityny oraz ściśle monitorowanie glukozy, elektrolitów, bilansu płynów, jak również mocznika i stanu wątroby przez kompetentny interdyscyplinarny zespół. Przestrzeganie zaleceń terapeutycznych medycyny ratunkowej jest konieczne, by zapobiec uszkodzeniu neuronów i późniejszej wtórnej dystonii.

Opis wnioskowanej technologii medycznej

GA Gel to bezsmakowy substytut białka, pozbawiony lizyny z niską zawartością tryptofanu w postaci proszku. Zawiera egzogenne i endogenne aminokwasy, węglowodany, witaminy, minerały i pierwiastki śladowe.

GA Gel to skondensowany preparat w postaci proszku przeznaczony dla pacjentów od 6 m.ż. do 10 r.ż. ze stwierdzoną acydurią glutarową. GA Gel jest preparatem dostosowanym do potrzeb żywieniowych niemowląt i młodszych dzieci z acydurią glutarową, który dostarcza wszystkie niezbędne egzo- i endogenne aminokwasy bez lizyny, z niską zawartością tryptofanu. GA Gel jest jedynym preparatem stosowanym w acydurii glutarowej, który można przyjmować w minimalnym rozcieńczeniu (30 ml płynu na saszetkę 24 g), co pozwala na przyjęcie preparatu w formie skondensowanej pasty.

Alternatywne technologie medyczne

W oparciu o opinię ekspercką alternatywnymi terapiami stosowanymi w ocenianych wskazaniach są: w ramach leczenia dietetycznego: GA1 Anamix Infant, LT-AM2, LT-AM3, w ramach farmakoterapii: L-karnityna (w dużych dawkach). W wytycznych NHS NIHR Expanded Newborn Screening 2012 wskazano kilka preparatów, które można w acydurii glutarowej typu I: GA Anamix Infant, GA Gel, XLys Low Try Maxamaid oraz XLys Try Glutaridon. Ponadto na stronach producentów śsspż zidentyfikowano inne preparaty stosowane w acydurii glutarowej typu I w grupie wiekowej obejmującej przedział od 6 mies. do 10 lat (wskazanie dotyczące GA Gel), są to: GA express15 i GA amino5 produkowane przez Vitaflo, GA produkowane przez Mead Johnson Nutrition, XLYS Low TRY Maxamaid, XLYS Low TRY Maxamum i XLYS TRY Glutaridon produkowane przez Nutricię, Glutarex 1 i Glutarex 2 produkowane przez Abbott Nutrition oraz ga 1, ga 2 i ga 2-prima produkowane przez Milupa Metabolics.

Skuteczność kliniczna

Nie odnaleziono żadnych przeglądów systematycznych ani badań klinicznych, na podstawie, których można by wnioskować o skuteczności i bezpieczeństwie klinicznym środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego GA Gel.

Skuteczność praktyczna

Nie odnaleziono badań dotyczących skuteczności praktycznej.

Bezpieczeństwo stosowania

Nie odnaleziono badań dotyczących bezpieczeństwa stosowania produktu GA Gel.

Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Brak danych.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

W Polsce łączna kwota zgód na refundację w ramach importu docelowego śsspż GA Gel we wskazaniu acyduria glutarowa typu 1 wyniosła ok 27 tys. PLN (sprowadzono 20 opakowań w latach 2012-2013)

Z odnalezionych informacji wynika, że śsspż GA Gel finansowany jest ze środków publicznych w Wielkiej Brytanii, Australii i Kanadzie.

Z informacji przekazanych przez podmiot odpowiedzialny wynika, iż cena zbytu netto środka GA Gel wynosi w krajach UE od 203,69 € do 303,79 €.

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Odnaleziono wytyczne kliniczne zalecają ogólnie dietę niskolizynową z jednoczesnym zapewnieniem właściwej podaży białek, kluczowych aminokwasów, energii, mikro/makroelementów i witamin w skojarzeniu z suplementacją L-karnityny. W wytycznych NHS NIHR Expanded Newborn Screening 2012 wskazano preparat GA Gel jako jeden z kilku, które można stosować w diecie w acydurii glutarowej typu I.

Odnaleziono 1 australijską pozytywną rekomendację PBAC z 2009 roku zalecającą finansowanie środka GA Gel w acydurii glutarowej typu I u pacjentów w wieku od 6 miesięcy do 10 lat.

Na stronie Ontario Ministry of Health and Long-Term Care odnaleziono 2 dokumenty zawierające listy środków finansowanych w ramach programu chorób metabolicznych. Na obu listach znajduje się środek GA Gel we wskazaniach: acyduria glutarowa typu I i napady padaczkowe uzależnione od pirydoksyny. Nie odnaleziono informacji o wysokości finansowania.

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-OT-431-24/2013, GA GEL (Dieta eliminacyjna) saszetki á 24 g we wskazaniu: Acyduria glutarowa typu I, luty 2014 r.

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

1. Nie dotyczy.