



Rekomendacja nr 57/2014

z dnia 25 lutego 2014 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia: HCU Express 15 (dieta eliminacyjna) we wskazaniu homocystynuria.

Prezes Agencji rekomenduje wydawanie zgód na refundację w ramach procedury zapotrzebowania na sprowadzenie z zagranicy środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego nieposiadającego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu, niezbędnego dla ratowania życia lub zdrowia pacjenta (import docelowy): HCU Express 15 (dieta eliminacyjna) we wskazaniu homocystynuria dla pacjentów nie odpowiadających na pirydoksynę.

Uzasadnienie rekomendacji

Prezes Agencji, przychylając się do stanowiska Rady Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego żywieniowego: HCU Express 15 (dieta eliminacyjna) we wskazaniu homocystynuria dla pacjentów nie odpowiadających na pirydoksynę.

Nie zidentyfikowano wytycznych klinicznych, które zalecałyby stosowanie HCU Express 15 w homocystynurii, jednak odnotowano zalecenia stosowania syntetycznych preparatów nie zawierających metioniny. W przeglądzie systematycznym Vliet 2014 podkreślono, że u pacjentów nieodpowiadających na leczenie pirydoksyną w ramach postępowania dietetycznego stosuje się m.in.: preparaty niezawierające metioniny. Również australijski PBAC rekomendował finansowanie ze środków publicznych HCU Express 15 w tej grupie pacjentów. W Polsce w ramach programu lekowego pacjenci z klasyczną homocystynurią mogą być leczeni produktem leczniczym Cystadane (betaina bezwodna).

Przedmiot wniosku

Wniosek dotyczy zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspż): HCU Express 15 (dieta eliminacyjna) we wskazaniu homocystynuria. Środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego HCU Express 15 (dieta eliminacyjna) saszetki à 25 g nie posiada ważnego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu na terytorium Polski, może być jednak sprowadzany z zagranicy, jeżeli jego zastosowanie jest niezbędne dla ratowania życia lub zdrowia pacjenta, na warunkach i w trybie określonym 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.). Minister Zdrowia może wydać zgodę na refundację sprowadzanego



środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego na podstawie art. 39 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych. Preparat jest wtedy wydawany świadczeniobiorcy po wniesieniu opłaty ryczałtowej.

Problem zdrowotny

Homocystynuria (HCU) to genetyczne zaburzenie metaboliczne wynikające głównie z braku aktywności enzymu syntetyzującego cystationinę, co powoduje wzrost stężenia homocysteiny w surowicy i w moczu oraz podwyższony poziom metioniny. Powoduje to zespół objawów związanych z upośledzeniem dojrzewania kolagenu: zaburzenia układu kostnego z osteoporozą, zwężenie soczewek oraz zakrzepy w naczyniach. Celem leczenia jest obniżenie stężenia homocysteiny do jak najniższego. Uzyskuje się to poprzez: podawanie witaminy B6, witaminy B12 i kwasu foliowego (wzmocnienie działania enzymu β -syntazy cystationiny), zmniejszanie zawartości metioniny w diecie i ew. suplementację cystyny oraz podawanie bezwodnej betainy (stosowanie alternatywnego szlaku metabolicznego do eliminacji homocysteiny).

Według danych ORPHANET zapadalność na HCU wynosi 1-9:100 000 urodzeń, a według danych brytyjskich (dotyczy pirydoksyno-niezależnych) 1:144 000. Natomiast w Polsce liczba nowych przypadków w ciągu roku wynosi 3-28:100 000 urodzeń, a liczba osób z niniejszą jednostką chorobową dotyczy ok. 11 pacjentów.

Opis wnioskowanego świadczenia

HCU Express jest skondensowanym preparatem w proszku dla pacjentów od 3 r.ż., dostosowanym do potrzeb żywieniowych pacjentów z homocystynurią. HCU Express to niearomatyzowany proszek wolny od metioniny, zawierający egzo- i endogenne aminokwasy, węglowodany, cukry, witaminy, minerały i śladowe ilości innych elementów do zastosowania w postępowaniu dietetycznym w HCU.

Alternatywna technologia medyczna

Na podstawie opinii eksperta alternatywnymi technologiami stosowanymi w ocenianym wskazaniu w ramach postępowania dietetycznego są: HCU Anamix Infant, HCU LV, Milupa HOM 2 prima, natomiast w ramach leczenia farmakologicznego: betaina bezwodna, pirydoksyna, kwas foliowy, hydroksykobalamina.

Skuteczność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania

Nie odnaleziono badań dotyczących stosowania HCU Express 15 u pacjentów z homocystynurią

Skuteczność praktyczna

Nie odnaleziono dowodów naukowych dokumentujących skuteczność praktyczną.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

W Polsce łączna kwota zgód na refundację w ramach importu docelowego śsspż HCU Express 15 we wskazaniu: homocystynuria wyniosła: 80,930 tys. PLN (6 wniosków, 6 zgód, sprowadzono łącznie 24 opakowania) w 2013 r. (do II kwartału). Wg danych otrzymanych od Ministerstwa Zdrowia w 2013 r. HCU Express 15 zrefundowano u 2 osób (liczba unikalnych numerów PESEL).

Jak poinformowała firma Nestle Polska S.A. we wszystkich krajach, w których oceniany śsspż jest zarejestrowany (Wielka Brytania, Irlandia, Niemcy, Austria, Hiszpania, Portugalia, Francja, Luksemburg, Grecja, Włochy, Dania, Holandia, Belgia, Szwecja, Norwegia, USA, Kanada, Australia, Turcja i pozostałe kraje Bliskiego Wschodu), jest też refundowany.

Omówienie rekomendacji wydawanych w innych krajach w odniesieniu do ocenianej technologii

Nie odnaleziono wytycznych klinicznych, które zalecałyby stosowanie HCU Express 15 w homocystynurii. Jednak we wszystkich 6 rekomendacjach (Expanded Newborn Screening, National

Institute for Health Research – NIHR (Anglia) 2012; National Organization for Rare Disorders – NORD (USA) 2012, U.S. National Library of Medicine, National Institutes of Health – NIH (USA) 2011, European Society of Cardiology – ESC (Europa) 2009, National Centre for Inherited Metabolic Disorders – NCIMD (Irlandia) 2006, Orpha.net (Europa), zalecano stosowanie specjalnej diety ubogiej w metioninę, w tym w 5 (NIHR 2012, NORD 2012, NIH 2011, NCIMD 2006, Orpha.net) z nich syntetyczne produkty niezawierające metioniny, a dostarczające niezbędnych aminokwasów, witamin i minerałów. Odnaleziono jedną australijską rekomendację refundacyjną (PBAC 2004 - Pharmaceutical Benefits Advisory Committee) zalecającą finansowanie ocenianej technologii medycznej ze środków publicznych.

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 03.07.2013r. Ministra Zdrowia (znak: MZ-PLD-460-18536-39/AL/13), w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspz) HCU Express 15 (dieta eliminacyjna) we wskazaniu homocystynuria, na podstawie art. 31e ustawy z dnia 24 sierpnia 2004 roku o świadczeniach zdrowotnych finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz. 1027, z późn. zm.), i w związku z art. 39 ust. 3 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 stanowiska Rady Przejrzystości nr 66/2014 z dnia 25 lutego 2014 r. w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego HCU Express 15 we wskazaniu: homocystynuria.

Piśmiennictwo:

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 66/2014 z dnia 25 lutego 2014 r. w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego HCU Express 15 we wskazaniu: homocystynuria.
2. Raport nr: AOTM-OT-431-22/2013, HCU Express 15 (dieta eliminacyjna) saszetki á 25 g we wskazaniu: homocystynuria. Raport ws. zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego. Warszawa, 20 luty 2014 r