



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

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego HCU Express 15 we wskazaniu: homocystynuria dla pacjentów nie odpowiadających na pirydoksynę.

Uzasadnienie

Nie odnotowano wytycznych klinicznych, które zalecałyby stosowanie HCU Express 15 w homocystynurii, jednak odnotowano zalecenia stosowania syntetycznych produktów nie zawierających metioniny a odpowiadające w składzie środkowi spożywczemu specjalnego przeznaczenia żywieniowego HCU Express 15. Przegląd Vliet 2014 wykazał przydatność tego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego szczególnie u pacjentów nie odpowiadających na pirydoksynę. Również wskazania refundacyjne tego preparatu w Australii dotyczą tej grupy pacjentów. W Polsce refundowanym produktem leczniczym w tym wskazaniu jest Cystadane /betaina bezwodna/.

Przedmiot wniosku

Problem decyzyjny: zlecenie Ministra Zdrowia (pismo z dnia 03.07.2013 r., znak MZ-PLD-460-18536-39/AL/13) dotyczy zbadania zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspz): HCU Express 15 (dieta eliminacyjna) saszetki a 25 g we wskazaniu: homocystynuria (HCU); 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 Ministerstwa Zdrowia z prośbą o przekazanie danych dotyczących zleconego produktu leczniczego 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. Minister zdrowia wyraził zgodę na przeprowadzenie oceny skróconej.

Problem zdrowotny

Homocystynuria 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).

Opis wnioskowanej technologii medycznej

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.

Alternatywne technologie medyczne

W oparciu o opinię ekspercką 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, pirodyksyna, kwas foliowy, hydroksykobalamina.

Skuteczność kliniczna

W wyniku przeprowadzonego przeglądu nie odnaleziono badań dotyczących stosowania HCU Express 15 u pacjentów z homocystynurią.

Skuteczność praktyczna

Nie odnaleziono badań oceniających skuteczność praktyczną produktu HCU Express 15.

Bezpieczeństwo stosowania

Nie odnaleziono badań oceniających bezpieczeństwo stosowania produktu HCU Express 15.

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 HCU Express 15 we wskazaniu: homocystynuria wyniosła: 80,930 tys. PLN w 2013 r. (do II kwartału).

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.

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

W wyniku wyszukiwania nie odnaleziono wytycznych klinicznych, które zalecałyby stosowanie HCU Express 15 w homocystynurii. Jednak we wszystkich 6 odnalezionych dokumentach (2 amerykańskie, 2 europejskie, 1 angielskim, 1 irlandzkim) zalecano stosowanie specjalnej diety ubogiej w metioninę, w tym w 5 – syntetyczne produkty niezawierające metioniny, a dostarczające niezbędnych aminokwasów, witamin i minerałów. Odnaleziono także 1 australijską rekomendację refundacyjną zalecającą finansowanie ocenianej technologii medycznej ze środków publicznych.

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-431-22/2013, HCU Express 15 (dieta eliminacyjna) saszetki á 25 g we wskazaniu: homocystynuria, luty 2014 r.

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

1. Nie dotyczy.