



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 70/2014 z dnia 25 lutego 2014 r.
w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu
lecniczego Cholesterol Module we wskazaniu
Zespół Smitha-Lemliego-Opitza

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Cholesterol Module (Dieta eliminacyjna), proszek, 450g we wskazaniu: Zespół Smitha-Lemliego-Opitza.

Uzasadnienie

Brak jest technologii alternatywnych mogących zastąpić stosowanie Cholesterolu Module w Zespole Smitha-Lemliego-Opitza. Biorąc pod uwagę niewielką liczbę przypadków tej wady i pozytywne opinie ekspertów Rada Przejrzystości wnioskuje jak wyżej.

Przedmiot wniosku

Zlecenie dotyczy zbadania zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Cholesterol Module (Dieta eliminacyjna), proszek, 450 g, we wskazaniu: Zespół Smitha-Lemliego-Opitza.

Zlecenie z art. 31 e ust. 1 ustawy o z dnia 24 sierpnia 2004 roku 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.).

Problem zdrowotny

Zespół Smith-Lemli-Opitz (ZSLO) jest wrodzoną chorobą metaboliczną uwarunkowaną genetycznie, dziedziczną w sposób autosomalny recesywny. Powodem choroby są wysokie poziomy prekursorów cholesterolu 7-dehydrocholesterolu (DHCR7) oraz 8-dehydrocholesterolu (DHCR8) prowadzące do zaburzeń jego syntezy. W ZSLO dochodzi do gromadzenia się 7-dehydrocholesterolu (7-DHC) w tkankach całego organizmu. Niedobór cholesterolu z kolei powoduje występowanie szeregu zaburzeń rozwojowych u płodu, a w skrajnych przypadkach nawet do jego obumarcia.

Opis wnioskowanej technologii medycznej

Cholesterol Module jest środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego. Cholesterol Module wskazany jest w przypadku stosowania w Zespole Smith-Lemli-Opitz. Zalecany dla niemowląt, dzieci i dorosłych.

Alternatywne technologie medyczne

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



Skuteczność kliniczna, bezpieczeństwo stosowania

Do analizy klinicznej włączono 1 przegląd systematyczny autorstwa Svoboda (2012). W publikacji zwrócono uwagę, iż najbardziej powszechną formą suplementacji cholesterolu w diecie są żółtka jaja i/lub zawiesina cholesterolu, która jest dostępna jako krystaliczny proszek do rozpuszczania w oleju, wodzie lub posypywania żywności. Rzadziej, zwiększenie podaży cholesterolu, może polegać na stosowaniu diety bogato cholesterolowej z użyciem masła, śmietany i mięsa.

Do analizy klinicznej włączono 4 publikacji, dotyczących efektów suplementacji egzogenego cholesterolu u pacjentów z zespołem Smith-Lemli-Opitza. Tylko w jednym z badań (Szabo 2010, opis przypadku), odniesiono się bezpośrednio do zastosowania preparatu Cholesterol Module jako formy terapii. W pozostałych badaniach klinicznych, suplementację cholesterolu przedstawiono jako połączenie diety składającej się z cholesterolu pochodzącego ze źródeł naturalnych oraz stosowania cholesterolu w formie krystalicznej. Wyniki wszystkich zaprezentowanych badań klinicznych wskazują na pozytywny efekt zastosowania suplementacji egzogenego cholesterolu u pacjentów z zespołem Smith-Lemli-Opitza.

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

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Cholesterol Module jest środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego. Może być sprowadzany z zagranicy jeżeli jego zastosowanie jest niezbędne dla ratowania życia lub zdrowia pacjenta, na warunkach i w trybie określonym w art. 4 ustawy z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne (Dz. U. z 2008 r. Nr 45, poz. 271, z późn. zm.), tj. na podstawie zapotrzebowania, wystawianego przez szpital albo lekarza prowadzącego leczenie poza szpitalem, potwierdzone przez konsultanta z danej dziedziny medycyny. Na wniosek, Minister Zdrowia może wydać decyzję o objęciu refundacją sprowadzonego leku, na podstawie art. 39 ustawy o refundacji. Lek jest wtedy wydawany świadczeniobiorcy po wniesieniu opłaty ryczałtowej.

W 2012 r. wydano 18 zgód na import docelowy Cholesterol Module, łączna liczba zrefundowanych opakowań wyniosła 530, gdzie kwota za opakowanie wahała się w granicach 524,63 - 623,26 PLN. W 2013 r. (dane za II kwartał) wydano 10 zgód na import docelowy Cholesterol Module, łączna liczba zrefundowanych opakowań wyniosła 365, gdzie kwota za opakowanie wyniosła 649,42 PLN.

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Odnaleziono 1 rekomendację kliniczną Canadian Paediatric Surveillance Program dotyczącą pozytywnych efektów suplementacji cholesterolu u pacjentów z zespołem Smith-Lemli-Opitza. Rekomendacja nie odnosi się bezpośrednio do zastosowania produktu Cholesterol Module.

Nie odnaleziono rekomendacji dotyczących 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-DS-431-16/2013, Zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Cholesterol Module (Dieta eliminacyjna), proszek, 450 g, we wskazaniu: Zespół Smitha-Lemliego-Opitza, luty 2014 r.

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

1. Nie dotyczy.