



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 24/2017 z dnia 6 marca 2017 roku  
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka  
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego IVA Cooler 15  
we wskazaniach: acyduria izowalerianowa  
i 3-metylokrotonyloglicynuria

*Rada Przejrzystości uważa za niezasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego IVA Cooler 15 we wskazaniach: acyduria izowalerianowa i 3-metylokrotonyloglicynuria.*

### Uzasadnienie

*IVA Cooler 15 to środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego, który nie posiada ważnego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu na terenie Rzeczypospolitej Polskiej. Jest to jeden z preparatów pozwalających na właściwe zbilansowanie diety u pacjentów, którzy wymagają redukcji zawartości leucyny w leczeniu dietetycznym. Zgodnie z danymi przekazanymi przez Ministerstwo Zdrowia środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego IVA Cooler 15 sprowadzany był w ramach importu docelowego w latach 2015-2016. Wydano zgodę na refundację wszystkich sprowadzonych opakowań. Na podstawie opinii ekspertów można oszacować populację docelową we wnioskowanych wskazaniach na maksymalnie 10 osób rocznie we wskazaniu acyduria izowalerianowa (IVA) i 20 osób we wskazaniu 3-metylokrotonyloglicynuria (3-MCG). W latach 2015-2016 w ramach importu docelowego we wskazaniach acyduria izowalerianowa oraz 3-metylokrotonyloglicynuria sprowadzано także inne alternatywne technologie medyczne niezawierające leucyny – Anamix Infant, zawierający także kwas dokozaheksaenowy (DHA), Milupa LEU 2 prima, XLEU Maxamaid, XLEU Maxamum. Ponadto w opinii ekspertów w ocenianych wskazaniach mogą być również stosowane u pacjentów preparaty Milupa Leu 1 (u dzieci w 1 roku życia), LEU-AM 2 i 3 oraz IVA Anamix Junior. Żaden z wyżej wymienionych produktów nie został wprowadzony do obrotu na terytorium RP i nie podlegał ocenie Agencji.*

*Większość ekspertów jako postępowanie alternatywne w omawianych wskazaniach wskazało również dietę z ograniczeniem białka naturalnego*



w oparciu o żywność niskobiałkową, która jest najtańszą alternatywną opcją terapeutyczną.

Nie odnaleziono rekomendacji postępowania klinicznego we wskazaniu: acyduria izowalerianowa i 3-metylokrotonyloglicynuria. Odnaleziono jedną rekomendację postępowania klinicznego w 3-metylokrotonyloglicynuria (Zespół amerykańskich ekspertów 2008). W tych wytycznych zwrócono uwagę na brak dowodów z randomizowanych badań klinicznych dotyczących stosowania diety o zmniejszonej ilości leucyny przez co skuteczność tego typu postępowania dietetycznego uznano za niejasną. Według wytycznych nie zaleca się ograniczania leucyny w diecie u dzieci oraz matek z bezobjawowym przebiegiem 3-MCG. Nie osiągnięto jednak konsensusu w zakresie wpływu diety na stan związany z objawowym przebiegiem choroby u dzieci i matek, że decyzja odnośnie ograniczenia leucyny w diecie powinna być podejmowana indywidualnie, w zależności od ciężkości objawów, czy odpowiedzi na stosowaną dietę

W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania przez analityków Agencji nie odnaleziono rekomendacji dotyczących finansowania IVA Cooler 15 w wymienionych w zleceniu MZ wskazaniach.

Nie odnaleziono także badań spełniających wymogi włączenia do raportu, opisujących skuteczność i bezpieczeństwo stosowania środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego niezawierających leucyny – IVA Cooler 15.

Wyniki uproszczonej analizy wpływu na budżet wskazują, że w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o refundacji środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego IVA Cooler 15, roczne wydatki płatnika publicznego wyniosą ok. 465 tys. zł.

Wszyscy eksperci uznali za zasadne finansowanie IVA Cooler 15 ze środków publicznych we wskazaniu acyduria izowalerianowa. W przypadku 3-metylokrotonyloglicynurii większość ekspertów opowiedziała się za finansowaniem ocenianego produktu ze środków publicznych. Jeden z ekspertów stwierdził jednak, że ta technologia nie powinna być finansowana ze środków publicznych, ponieważ nie wpływa na przebieg i rozwój choroby. W opiniach ekspertów podkreślano m. innymi wygodną dla pacjenta postać preparatu IVA Cooler (gotowy do spożycia), która może skutkować lepszym przestrzeganiem zaleceń terapeutycznych przez pacjentów niż w przypadku stosowania innych preparatów.

W 2014 roku w Agencji oceniano natomiast zasadność wydania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego LEU-Free Cooler we wskazaniu 3-metylokrotonyloglicynuria. Skład, wskazanie i postać produktu była taka sama, jak w przypadku IVA Cooler 15. Wydano negatywne stanowisko Rady Przejrzystości i negatywną rekomendację Prezesa

*Agencji dla produktu LEU-Free Cooler, powołując się na brak dowodów naukowych na skuteczność i bezpieczeństwo wnioskowanego produktu, a także brak rekomendacji klinicznych.*

*Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości przedstawia opinię jak na wstępie.*

*Jednocześnie, Rada zwraca uwagę na konieczność uregulowania prawnego sposobu refundacji środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, które regulowane są przez przepisy rozporządzenia Parlamentu Europejskiego i Rady (UE 609/2013 z 12 czerwca 2013 r.) i tym samym dopuszczone są do obrotu na terenie całej Unii Europejskiej.*

.....  
Przewodniczący Rady Przejrzystości  
prof. Tomasz Pasierski

**Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1793 z późn. zm.), w związku z art. 39 ust. 3 ustawy z 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2016 r. poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby zbadania zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego, raport nr OT.431.1.2017 „IVA Cooler 15 we wskazaniach: acyduria izowalerianowa 3-metylokrotonyloglicynuria”, Data ukończenia: 1 marca 2017.