

Rekomendacja nr 29/2017

z dnia 17 maja 2017 r.

**Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego MCT Procal,
saszetki, 16 g we wskazaniach: deficyt LCHAD - dehydrogenazy-3-
hydroksyacylo-CoA - długołańcuchowych kwasów tłuszczowych;
deficyt VLCAD - dehydrogenazy acylo-CoA - bardzo
długołańcuchowych kwasów tłuszczowych**

Prezes Agencji nie rekomenduje wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego MCT Procal, saszetki, 16 g we wskazaniach:

- deficyt LCHAD - dehydrogenazy-3-hydroksyacylo-CoA - długołańcuchowych kwasów tłuszczowych;
- deficyt VLCAD - dehydrogenazy acylo-CoA - bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych.

Uzasadnienie rekomendacji

Prezes Agencji, biorąc pod uwagę stanowisko Rady Przejrzystości uważa, że wyniki przeprowadzonego przeglądu systematycznego oraz oszacowanie kosztów związanych z ocenianą technologią nie uzasadniają wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego (ŚSSPŻ) MCT Procal, saszetki, 16 g we wskazaniach:

- deficyt LCHAD - dehydrogenazy-3-hydroksyacylo-CoA - długołańcuchowych kwasów tłuszczowych;
- deficyt VLCAD - dehydrogenazy acylo-CoA - bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych,

który miałby być finansowany przy założeniu, że wykorzystano u pacjenta dostępne alternatywne metody leczenia lub istnieją przeciwwskazania do prowadzenia terapii z użyciem takich metod we wnioskowanych wskazaniach.

Prezes ma na uwadze, że dostępność dowodów może być ograniczona z uwagi na rzadkie rozpowszechnienie choroby w populacji, jednak dla żadnej z wnioskowanych jednostek chorobowych nie odnaleziono badań umożliwiających przeprowadzenie oceny skuteczności

i bezpieczeństwa wnioskowanej interwencji. Tym samym niemożliwe jest też jakiegokolwiek odniesienie się do stosunku korzyści i ryzyka stosowania ocenianego środka.

W odnalezionych wytycznych klinicznych mieszanki niskotłuszczowe zawierające MCT są zalecane zarówno w deficycie LCHAD, jak i VLCAD, bądź generalnie w zaburzeniach oksydacji kwasów tłuszczowych. Potrzebna jest dodatkowa suplementacja niezbędnych, nienasyconych kwasów tłuszczowych. Jednocześnie wszystkie wytyczne zgodnie podkreślają, że wymaganą podstawą leczenia LCHAD i VLCAD jest odpowiednia modyfikacja diety poprzez wprowadzenie diety niskotłuszczowej ze szczególnym ograniczeniem długołańcuchowych kwasów tłuszczowych w diecie oraz unikanie długich przerw między posiłkami. Przyjmowanie długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (LCT) powinno być tak niskie, jak to możliwe a zapobieganie katabolicznemu stresowi głodowemu jest kluczowym aspektem postępowania dietetycznego. W obu deficytach zalecana się również suplementację średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych (MCT).

Z rejestru Głównego Inspektoratu Sanitarnego wynika, że obecnie na rynku dostępnych jest szereg środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego zawierających w swoim składzie, jako jeden z zasadniczych składników średniołańcuchowe trójglicerydy MCT. W opinii Konsultanta Krajowego w dziedzinie pediatrii metabolicznej, ich różnorodność pozwala na opracowanie zbilansowanej diety, najskuteczniejszej dla danego pacjenta.

Oszacowanie kosztów związanych ze stosowaniem ocenianej technologii przeprowadzono przyjmując średni koszt opakowania wnioskowanego ŚSSPŻ na poziomie 304,54 zł (koszt przy założeniu marż z ustawy o refundacji) w oparciu o dane Ministerstwa Zdrowia dot. importu docelowego. Na tej podstawie można przypuszczać, że w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o refundacji MCT Procal roczne wydatki płatnika publicznego wyniosą ok. 286 298 zł. Należy mieć jednak na uwadze ograniczenia powyższych oszacowań. Z uwagi na brak możliwości określenia ewentualnego efektu zdrowotnego środka MCT Procal w leczeniu wnioskowanej populacji nie jest możliwe przeprowadzenie wiarygodnej oceny ekonomicznej. Podobnie ocena wpływu na budżet płatnika publicznego została przeprowadzona z daleko idącym uproszczeniem z uwagi na niepewność co do wielkości populacji, a także sposobu rozliczania kosztów sprowadzanego w ramach importu docelowego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, który może być sprowadzany zarówno za pośrednictwem aptek ogólnodostępnych jak i aptek szpitalnych. Sposób sprowadzenia produktu warunkuje natomiast sposób rozliczenia, a tym samym alokację kosztów w systemie i ostateczną wielkość wydatków poniesionych na refundację.

Nie odnaleziono żadnych rekomendacji wskazujących na finansowanie w innych krajach MCT Procal w ocenianych wskazaniach.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego MCT Procal, saszetki, 16 g we wskazaniach:

- deficyt LCHAD - dehydrogenazy-3-hydroksyacylo-CoA - długołańcuchowych kwasów tłuszczowych;
- deficyt VLCAD - dehydrogenazy acylo-CoA - bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych;

przy założeniu, że wykorzystano u pacjenta dostępne alternatywne metody leczenia lub istnieją przeciwwskazania do prowadzenia terapii z użyciem takich metod, na podstawie art. 31 e ust. 1 ustawy

z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1793) i w zw. 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. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.).

Problem zdrowotny

Deficyt LCHAD – niedobór dehydrogenazy 3-hydroksyacylo-CoA – długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (ang. *long-chain 3-hydroxyacyl-coenzyme A dehydrogenase deficiency*), to zaburzenie procesu oksydacji kwasów tłuszczowych.

Deficyt LCHAD dziedziczy się w sposób autosomalny recesywny, a ujawnia się w niemowlęctwie lub wczesnym dzieciństwie niechęcią do jedzenia, wymiotami, hipoglikemią, hipotonią mięśniową, niewydolnością wątroby, polineuropatią obwodową i nieprawidłowościami siatkówki, które rozwijają się niezależnie od leczenia i prowadzą w końcu do ślepoty. Deficyt wiąże się z występowaniem kardiomiopatii przerostowej i rzadziej rozstrzeniowej, niewydolnością oddechową mogącą wymagać zastosowania respiratora.

Częstość występowania deficytu LCHAD oceniono na 0,8/10000 na terenie Unii Europejskiej. W Finlandii oszacowano tą częstość na 1/62000 ciąż. W Polsce, w roku 2011, opisano 65 dzieci z deficytem LCHAD (61 rodzin). Ekspert kliniczny szacuje liczbę osób z tym rozpoznaniem w populacji polskiej na ok. 60 osób (3-4 nowe przypadki w ciągu roku). LCHAD należy u nas do najczęściej ujawniających się klinicznie zaburzeń procesu oksydacji kwasów tłuszczowych. Wykryty w porę deficyt LCHAD dzięki odpowiedniej diecie i przestrzeganiu zaleceń lekarzy można skutecznie leczyć. Szacuje się, że Polsce żyje blisko 1/3 wszystkich chorych.

Deficyt VLCAD – dehydrogenazy Acylo-CoA – bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (ang. *very long chain fatty acyl-CoA dehydrogenase deficiency - VLCAD*) jest klinicznie podobny do deficytu LCHAD. Również należy do grupy zaburzeń zużytkowania wolnych kwasów tłuszczowych spowodowanych upośledzeniem ich utleniania wewnątrzmitochondrialnego (zaburzenia β -oksydacji kwasów tłuszczowych) i także dziedziczy się w sposób autosomalny recesywny, a objawia hipoglikemią hipoketotyczną, dysfunkcją wątroby, kardiomiopatią, hipoglikemią hipoketotyczną, dysfunkcją wątroby bez kardiomiopatii.

Szacuje się, iż częstość występowania deficytu VLCAD wynosi ok. 1:40 000 do 1:110 000 żywych urodzeń. Ekspert kliniczny szacuje liczbę osób z tym rozpoznaniem w populacji polskiej na ok. 30 osób (2-3 nowe przypadki w ciągu roku). Pacjenci z początkiem objawów występującym we wczesnym okresie niemowlęcym – najczęściej umierają w 1 r. ż. Pacjenci, u których objawy ujawniają się w późnym okresie niemowlęcym, dzieciństwie lub okresie dojrzewania rokoją dobrze, o ile zostało wdrożone odpowiednie leczenie.

Alternatywna technologia medyczna

Międzynarodowe wytyczne kliniczne zalecają, aby w deficycie LCHAD i VLCAD u niemowląt stosować specjalne mieszanki niskotłuszczowe wzbogacone MCT (średniołańcuchowe trójglicerydy (ang. *medium chain triglycerides*)). Natomiast u starszych dzieci rekomenduje się dietę z ograniczeniem długołańcuchowych tłuszczów, zmodyfikowaną o MCT (mieszanki lub olej). W deficycie VLCAD u niemowląt z bezobjawową chorobą dopuszcza się karmienie piersią, jednak w większości zaleca się uzupełnianie tego rodzaju jedzenia mieszankami zawierającymi MCT. W obu deficytach równie ważne są regularne posiłki i unikanie długich przerw między nimi.

Zgodnie z opinią eksperta klinicznego, w Polsce, podobnie jak na świecie, w deficycie LCHAD lub VLCAD rekomendowana jest dieta ze znacznym ograniczeniem długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (LCT) wraz z suplementacją średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych (MCT), w oparciu o dostępne preparaty. Ich różnorodność pozwala na opracowanie zbilansowanej diety, najskuteczniejszej dla

danego pacjenta. W opinii eksperta klinicznego u pacjentów w ocenianych wskazaniach są obecnie stosowane preparaty: Monogen, Lipistart, MCT Peptide, olej MCT.

Z rejestru Głównego Inspektoratu Sanitarnego (GIS) wynika, że obecnie dostępnych jest szereg środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego (ŚSSPŻ) zawierających w swoim składzie MCT (średniołańcuchowe trójglicerydy (ang. *medium chain triglycerides*)), jako jeden z zasadniczych składników: Bebilon pepti MCT, Humana z MCT i Milupa Cystilac, Nutricomp MCT (środek spożywczy specjalnego przeznaczenia medycznego), PediaSure Plus (dietetyczny środek spożywczy specjalnego przeznaczenia medycznego), PVL - MCT Oil, MCT GOLD (suplementy diety), bądź też jako nośnik substancji czynnej danego produktu (np. produkty z witaminą D, czy K). W toku wprowadzania do obrotu w RP są postępowania dotyczące kolejnych śsspż i suplementów diety zawierających w swoim składzie MCT (np. MCT OIL 5000, czy MCT Oil).

Zgodnie ze zleceniem MZ, którego przedmiotem ma być zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację ŚSSPŻ MCT Procal we wskazaniach: deficyt LCHAD i deficyt VLCAD (przy założeniu, że wykorzystano u pacjenta dostępne alternatywne metody leczenia lub istnieją przeciwwskazania do prowadzenia terapii z użyciem takich metod), właściwymi technologiami alternatywnymi dla ocenianej technologii są inne preparaty, które mogą być sprowadzane do Polski w trybie tzw. importu docelowego: Monogen, Lipistart, MCT Peptide, MCT Oil.

Opis wnioskowanego świadczenia

MCT Procal to środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego (ŚSSPŻ), będący produktem złożonym, zawierającym: tłuszcze, MCT, węglowodany, proteiny, sól, minerały i inne.

Jest on wskazany do stosowania od 1 roku życia w dietetycznym postępowaniu zaburzeń oksydacji długołańcuchowych kwasów tłuszczowych, zaburzeń wchłaniania tłuszczu i innych zaburzeń wymagających wysokiej suplementacji MCT i niskiej LCT.

MCT Procal nie znajduje się w obrocie na terytorium Polski.

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

Ocena ta polega na zebraniu danych o konsekwencjach zdrowotnych (skuteczność i bezpieczeństwo) wynikających z zastosowania nowej terapii w danym problemie zdrowotnym oraz innych terapii, które w danym momencie są finansowane ze środków publicznych i stanowią alternatywne leczenie dostępne w danym problemie zdrowotnym. Następnie ocena ta wymaga określenia wiarygodności zebranych danych oraz porównania wyników dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa nowej terapii względem terapii już dostępnych w leczeniu danego problemu zdrowotnego.

Na podstawie powyższego ocena skuteczności i bezpieczeństwa pozwala na uzyskanie odpowiedzi na pytanie o wielkość efektu zdrowotnego (zarówno w zakresie skuteczności, jak i bezpieczeństwa), którego należy oczekiwać względem nowej terapii w porównaniu do innych rozważanych opcji terapeutycznych.

Nie odnaleziono badań, które by opisywały skuteczność i bezpieczeństwo stosowania ŚSSPŻ MCT Procal.

Na stronach URPL, EMA, FDA i WHO nie zidentyfikowano ostrzeżeń lub komunikatów ani nie odnaleziono dodatkowych informacji dotyczących bezpieczeństwa stosowania ŚSSPŻ MCT Procal.

Ograniczenia analizy

Brak możliwości określenia skuteczności i bezpieczeństwa MCT Procal we wnioskowanych wskazaniach wynika z braku dostępnych danych pozwalających na wnioskowanie w tym zakresie.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Ocena ekonomiczna polega na oszacowaniu i zestawieniu kosztów i efektów zdrowotnych, jakie mogą wiązać się z zastosowaniem u pojedynczego pacjenta nowej terapii zamiast terapii już refundowanych.

Koszty terapii szacowane są w walucie naszego kraju, a efekty zdrowotne wyrażone są najczęściej w zyskanych latach życia (LYG, life years gained) lub w latach życia przeżytych w pełnym zdrowiu (QALY, quality adjusted life years) wskutek zastosowania terapii.

Zestawienie wartości dotyczących kosztów i efektów związanych z zastosowaniem nowej terapii i porównanie ich do kosztów i efektów terapii już refundowanych pozwala na uzyskanie odpowiedzi na pytanie, czy efekt zdrowotny uzyskany u pojedynczego pacjenta dzięki nowej terapii wiąże się z wyższym kosztem w porównaniu do terapii już refundowanych.

Uzyskane wyniki wskaźnika kosztów-efektów zdrowotnych porównuje się z tzw. progiem opłacalności, czyli wynikiem, który sygnalizuje, że przy zasobności naszego kraju (wyrażonej w PKB) maksymalny koszt nowej terapii, która ma wiązać się z uzyskaniem jednostkowego efektu zdrowotnego (1 LYG lub 1 QALY) w porównaniu do terapii już dostępnych, nie powinien przekraczać trzykrotności PKB per capita.

Aktualnie próg opłacalności zł wynosi 130 002 zł (3 x 43 334 zł).

Wskaźnik kosztów-efektów zdrowotnych nie szacuje i nie wyznacza wartości życia, pozwala jedynie ocenić i m. in. na tej podstawie dokonać wyboru terapii związanej z potencjalnie najlepszym wykorzystaniem aktualnie dostępnych zasobów.

Przeprowadzony dla przedmiotowego ŚSSPŻ we wnioskowanych wskazaniach przegląd systematyczny nie wskazał dowodów naukowych pozwalających na oszacowanie efektów zdrowotnych, jakich można by oczekiwać w wyniku zastosowania ocenianej substancji. Wobec tego nie jest możliwe przeprowadzenie modelowania.

Przedstawiono zatem wyłącznie koszty związane z nabyciem ocenianej substancji.

Na podstawie danych dotyczących kwoty refundacji produktu MCT Procal udostępnionych przez Ministerstwo Zdrowia sprowadzono:

- 376 opakowań produktu MCT Procal w 2016 r. za łączną kwotę 95,50 tys. zł;
- 254 opakowania produktu MCT Procal w roku 2015 za kwotę 64,52 tys. zł.

Koszt opakowania wnioskowanego ŚSSPŻ oszacowano na 307,74 zł (cena detaliczna), przy założeniu, że jest on sprowadzany za pośrednictwem apteki ogólnodostępnej (cena dla płatnika 304,54 zł).

Poniżej przedstawiono oszacowania cen zbytu netto (CZN) dla pojedynczego opakowania ŚSSPŻ sprowadzanych w ramach importu docelowego we wskazaniach deficyt LCHAD i deficyt VLCAD na podstawie danych udostępnionych przez Ministerstwo Zdrowia:

- MCT procal - cena zbytu netto (CZN) 254 zł;
- Monogen – CZN 314,68 zł w 2015 i 170,16 zł w 2016 r.;
- Lipistart – CZN 108 zł;
- MCT Pepdite – CZN 185 zł;
- MCT Oil – CZN 52,26 zł.

Należy mieć na uwadze, że poszczególne produkty przeznaczone są dla osób w różnym wieku, mają także różną postać i wielkość opakowania, w związku z czym zawierają różną ilość poszczególnych składników odżywczych.

Zgodnie z art. 39 ust.1 ustawy o refundacji środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego, które nie posiadają dopuszczenia do obrotu na terytorium RP mogą być wydawane po wniesieniu przez świadczeniobiorcę opłaty ryczałtowej za opakowanie jednostkowe, pod warunkiem wydania zgody na refundację takich produktów przez ministra właściwego do spraw zdrowia.

Ograniczenia analizy

Na niepewność oszacowań wpływają następujące czynniki:

- w odniesieniu do kosztów ocenianego śsspz podkreślenia wymaga to, że sposób dystrybucji i tym samym sposób rozliczania, a także fakt uzyskania zgody na refundację lub jej braku, warunkują wysokość finansowania ze środków publicznych oraz alokację w budżecie płatnika publicznego kosztów związanych z nabyciem tego śsspz. Tym samym brak jest pełnych danych o rzeczywistych kosztach omawianej technologii.

Wskazanie czy zachodzą okoliczności, o których mowa w art. 13 ust. 3 ustawy z dnia 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.);

Jeżeli analiza kliniczna wnioskodawcy nie zawiera randomizowanych badań klinicznych dowodzących wyższości leku nad technologiami medycznymi dotychczas refundowanymi w danym wskazaniu, to urzędowa cena zbytu leku musi być skalkulowana w taki sposób, aby koszt stosowania leku wnioskowanego do objęcia refundacją nie był wyższy niż koszt technologii medycznej o najkorzystniejszym współczynniku uzyskiwanych efektów zdrowotnych do kosztów ich uzyskania.

Nie dotyczy.

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia, w tym wpływu na budżet płatnika publicznego

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia składa się z dwóch istotnych części.

Po pierwsze, w analizie wpływu na budżet płatnika, pozwala na oszacowanie potencjalnych wydatków związanych z finansowaniem nowej terapii ze środków publicznych.

Szacunki dotyczące wydatków związanych z nową terapią (scenariusz „jutro”) są porównywane z tym ile aktualnie wydajemy na leczenie danego problemu zdrowotnego (scenariusz „dziś”). Na tej podstawie możliwa jest ocena, czy nowa terapia będzie wiązać się z koniecznością przeznaczenia wyższych środków na leczenie danego problemu zdrowotnego, czy też wiąże się z uzyskaniem oszczędności w budżecie płatnika.

Ocena wpływu na budżet pozwala na stwierdzenie, czy płatnik posiada odpowiednie zasoby na finansowanie danej technologii.

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia w drugiej części odpowiada na pytanie jak decyzja o finansowaniu nowej terapii może wpłynąć na organizację udzielania świadczeń (szczególnie w kontekście dostosowania do wymogów realizacji nowej terapii) oraz na dostępność innych świadczeń opieki zdrowotnej.

Przyjmując za wskazaniem ekspertów klinicznych liczebność populacji obejmującej pacjentów z wnioskowanymi rozpoznaniem można oszacować populację docelową na nie więcej niż 70 osób rocznie w Polsce, w tym:

- we wskazaniu deficyt LCHAD - maksymalnie 50 osób
- we wskazaniu deficyt VLCAD - 20 osób

Przyjmując szacunkowy koszt opakowania wnioskowanego ŚSSPŻ na 304,54 zł (przy marżach wynikających z ustawy o refundacji) przy założeniu, że jest on sprowadzany za pośrednictwem apteki

ogólnodostępnej, wyniki uproszczonej analizy wpływu na budżet z perspektywy NFZ wskazują, że w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o refundacji ŚSSPŻ MCT Procal roczne wydatki płatnika publicznego wyniosą ok. 286 298 zł.

Ograniczenia analizy

Na niepewność oszacowań mają wpływ:

- przybliżenia w oszacowaniu wielkości populacji docelowej spowodowane faktem, że nie są dostępne dane epidemiologiczne dla populacji polskiej; wobec powyższego wykorzystano szacunki ekspertów klinicznych, które mogą być subiektywne i nie oddawać rzeczywistej liczebności populacji docelowej;
- ograniczenia wskazane w ramach analizy klinicznej oraz ekonomicznej.

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Uwagi do zapisów programu lekowego

Nie dotyczy.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Przedmiotem analizy racjonalizacyjnej jest identyfikacja mechanizmu, którego wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wysokości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z podjęcia pozytywnej decyzji o refundacji wnioskowanej technologii medycznej.

Analiza racjonalizacyjna jest przedkładana jeżeli analiza wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wykazuje wzrost kosztów refundacji.

Nie dotyczy.

Omówienie rekomendacji wydawanych w innych krajach w odniesieniu do ocenianej technologii

W wyniku przeprowadzanego wyszukiwania na stronach krajowych i międzynarodowych organizacji regulatorowych w odnalezionych rekomendacji klinicznych dotyczących wnioskowanych wskazań nie wymieniono produktu MCT Procal.

W odnalezionych wytycznych klinicznych mieszanki niskotłuszczowe zawierające MCT były zalecane zarówno w deficycie LCHAD, jak i VLCAD bądź generalnie w zaburzeniach oksydacji kwasów tłuszczowych:

- Polska Grupa Ekspertów PGE 2014 - wskazuje preparat uzupełniający niskotłuszczowy, ew. MCT, dobrany indywidualnie do potrzeb;
- British Inherited Metabolic Disease Group BIMDG 2013 (Wielka Brytania) - w deficycie LCHAD dzieci powinny być karmione mieszanką Monogen, w której długołańcuchowe tłuszcze są zastąpione przez MCT; w deficycie VLCAD prawdopodobnie jest bezpieczne podawanie 50% mieszanki Monogen i 50% mleka z piersi – do przedyskutowania z dietetykiem;
- European Handbook of Neurological Management EFNS EBN 2011 (Europa) – leczenie w deficycie LCHAD polega na unikaniu głodzenia i długich przerw między posiłkami, podawaniu wysokowęglowodanowej i niskotłuszczowej diety;
- Europejska grupa ekspertów EGE 2009 (Europa) – VLCAD: u niemowląt dieta powinna składać się w 100% ze specjalnych mieszanek niskotłuszczowych, np.: Monogen, SHS lub Basic-f,

Milupa z olejem MCT; po 4 miesiącu życia (po wprowadzeniu stałego pożywienia) zazwyczaj dieta z ograniczeniem długołańcuchowych tłuszczów (ok 25-30% całkowitej energii) i zmodyfikowana o tłuszcze w postaci suplementacji MCT; w bezobjawowym VLCAD: u niemowląt w wieku 0-4 miesiąca zaleca się stosowanie pół na pół – karmienia piersią i specjalnych mieszanek niskotłuszczowych (Monogen, SHS lub Bacis-f, Milupa z olejem MCT); po 4 miesiącu życia zaleca się łagodną redukcję tłuszczów (do 30-40% całkowitej energii) i uzupełnienie MCT (10-15% energii); u pacjentów zarówno z objawowym, jak i bez objawowym deficytem LCHAD przyjmowanie długołańcuchowych tłuszczów (LCT) powinno być tak niskie, jak to możliwe. U niemowląt w wieku 0-4 miesiąca obligatoryjne są specjalne mieszanki z niską zawartością LCT i wysoką – MCT (np. Monogen, SHS lub Basic-f, Milupa z olejem MCT), które pokrywają wszystkie dietetyczne wymagania;

- Genetic Metabolic Dietitians International GMDI 2008 (Świat) - dla niemowląt z umiarkowanym lub łagodnym deficytem VLCAD połowa kalorii z tłuszczów dostarczana jest z MCT, a druga połowa z LCT; alternatywna metoda określa ilość przyjmowanego MCT, czyli 2-3 g/kg masy ciała; w ciężkim deficycie VLCAD (charakteryzującym się kardiomiopatią i chorobą wątroby) długołańcuchowe tłuszcze są ograniczone do 10%, a MCT do 30% spożycia energetycznego; u dzieci i dorosłych ilość całkowitych tłuszczów potrzebnych w diecie ogranicza się do ok 35% energii po ok 1 r.ż., 10-20% całkowitego spożycia energetycznego dostarczają długołańcuchowe kwasy tłuszczowe, a pozostałe są dostarczane jako MCT (co odpowiada 1-1,5 g MCT/kg/dzień). MCT może być przyjęty w specjalnej mieszance lub dodany, jako olej MCT;
- Nutritional Interventions for Children with Special Health Care Needs, Washington State Department of Health AGE 2010 (USA) - w deficycie LCHAD zaleca stosowanie diety niskotłuszczowej i ograniczenie spożycia LCT oraz unikanie głodzenia; w deficycie VLCAD zaleca stosowanie diety niskotłuszczowej i ograniczenie spożycia bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych oraz unikanie głodzenia; w obu deficytach zaleca się również suplementację olejem MCT;
- Amerykańsko-kanadyjska grupa ekspertów AKGE 2009 (USA-Kanada) - dla niemowląt zaleca się: karmienie piersią, karmienie piersią uzupełnione o MCT, specjalne mieszanki, specjalne mieszanki wzbogacone MCT (ok 50% tłuszczów jako MCT, np. Pregestamil, Special Care Advance, itp.) i mieszanki wzbogacone maksymalnie MCT (np. Portagen lub Monogen); mieszanki wzbogacone maksymalnie MCT są przeznaczone dla dzieci starszych niż 12 miesięcy; u niemowląt <12 miesięcy, z bezobjawowym deficytem VLCAD-C (ciężki fenotyp) karmionych piersią większość ekspertów (54%) nie zalecało jego zaprzestania tak długo, jak funkcjonowanie serca pozostaje w normie, podczas gdy 30% ekspertów zalecało jego przerwanie na rzecz mieszanek wzbogaconych maksymalnie MCT (pozostałych 16% pozostało neutralnych); u dzieci karmionych sztucznie większość ekspertów wybrało mieszanki wzbogacone maksymalnie MCT (w porównaniu do mieszanek zawierających MCT), ale nie osiągnięto konsensusu rekomendacji (64%); pozostali, którzy zalecali zmianę mieszanki sugerowali tę wzbogaconą MCT; u dzieci karmionych piersią czy sztucznie z objawową chorobą (patologia serca) osiągnięto konsensus, że sposób karmienia powinien być zmieniony na mieszanki wzbogacone maksymalnie MCT (85-86%).

W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania w dniu 29.03.2017 r. nie odnaleziono rekomendacji dotyczących finansowania MCT Procal w wymienionych w zleceniu MZ wskazaniach.

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 13.01.2017 r. Ministra Zdrowia (znak pisma: PLD.46434.183.2017.JŻ), odnośnie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego MCT Procal, saszetki, 16 g we wskazaniach: deficyt LCHAD - dehydrogenazy-3-hydroksyacylo-CoA - długołańcuchowych kwasów tłuszczowych; deficyt VLCAD - dehydrogenazy acylo-CoA - bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych, na podstawie art. 31e ust. 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2016 r., poz. 1793) oraz 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. z 2016 r., poz. 1536 z późn. zm.), po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości nr 47/2017 z dnia 15 maja 2017 roku w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego dla środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego środka MCT Procal we wskazaniu: deficyt LCHAD (dehydrogenazy 3-hydroksyacylo-CoA – długołańcuchowych kwasów tłuszczowych) i deficyt VLCAD (dehydrogenazy Acylo-CoA – bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych przy założeniu, że wykorzystano u pacjenta dostępne alternatywne metody leczenia lub istnieją przeciwwskazania do prowadzenia terapii z użyciem takich metod).

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 47/2017 z dnia 15 maja 2017 roku w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego dla środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego środka MCT Procal we wskazaniu: deficyt LCHAD (dehydrogenazy 3-hydroksyacylo-CoA – długołańcuchowych kwasów tłuszczowych) i deficyt VLCAD (dehydrogenazy Acylo-CoA – bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych przy założeniu, że wykorzystano u pacjenta dostępne alternatywne metody leczenia lub istnieją przeciwwskazania do prowadzenia terapii z użyciem takich metod).
2. MCT Procal we wskazaniach: deficyt LCHAD i deficyt VLCAD Opracowanie na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację Nr: OT.431.2.2017.