



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

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)

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgody na refundację w ramach importu docelowego dla środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego środka MCT Procal, saszetki, 16g, 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).

Uzasadnienie

Deficyt LCHAD i deficyt VLCAD są to wrodzone choroby rzadkie polegające na zaburzonej oksydacji długołańcuchowych kwasów tłuszczowych. Objawiają się one zwykle w okresie niemowlęcym, najczęściej w postaci ataków hipoglikemii wywołanych przedłużonym głodzeniem, a później prowadzą do uszkodzenia wątroby i serca. W deficycie LCHAD zaleca się stosowanie diety niskotłuszczowej i ograniczenie spożycia długich łańcuchów trójglicerydów (LCT) oraz unikanie głodzenia. W deficycie VLCAD zaleca się stosowanie diety niskotłuszczowej i ograniczenie spożycia bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych oraz unikanie głodzenia.

Produkt MCT Procal, należy do klasy produktów zawierających kwasy tłuszczowe średniej długości, które dzieci te mogą metabolizować. Wytyczne zalecają całą klasę produktów nie wspominając o MCT Procal.



Z uwagi na małą liczbę chorych wpływ finansowania tej technologii na budżet będzie znikomy.

.....

Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Michał Myśliwiec

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano 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 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 oceny zasadności wydawania zgody na refundację, raport nr OT.431.2.2017 „MCT Procal we wskazaniach: deficyt LCHAD i deficyt VLCAD”, data ukończenia: 10 maja 2017.