



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 17/2017 z dnia 27 lutego 2017 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego GA1 ANAMIX
INFANT we wskazaniach acyduria glutarowa I – GA I, drgawki
pirydoksynozależne.**

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego GA1 ANAMIX INFANT, proszek do sporządzania roztworu doustnego, puszka á 400 g, we wskazaniach acyduria glutarowa I – GA I, drgawki pirydoksynozależne, przy założeniu, że wykorzystano u pacjenta dostępne alternatywne metody leczenia lub istnieją przeciwwskazania do prowadzenia terapii z użyciem takich metod, sprowadzany zgodnie z art. 29a ust. 5 ustawy z dnia 25 sierpnia 2006 r. o bezpieczeństwie żywności i żywienia (Dz.U. z 2015 r. poz. 594).

Uzasadnienie

Acyduria glutarowa I (GA I) oraz drgawki pirydoksynozależne stanowią rzadkie choroby neurometaboliczne o podłożu genetycznym.

Produkt w ocenianych wskazaniach nie posiada ważnego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu na terenie Rzeczypospolitej Polskiej i sprowadzany jest zgodnie z art. 29a ustawy z dnia 25 sierpnia 2006 r. o bezpieczeństwie żywności i żywienia (Dz. U. z 2015 r., poz. 594) oraz wydawany świadczeniobiorcy po wniesieniu opłaty ryczałtowej.

Zgodnie z informacją dostępną na stronie internetowej producenta produkt jest przeznaczony wyłącznie dla pacjentów z potwierdzoną acydurią glutarową typu I. Brak jest natomiast informacji o możliwości jego stosowania u pacjentów z drgawkami pirydoksynozależnymi. Jednocześnie, zgodnie z informacją dostępną na stronie internetowej producenta, produkt jest przeznaczony dla dzieci do 3 r.ż.

Nie odnaleziono przeglądów systematycznych ani badań klinicznych dotyczących skuteczności i/lub bezpieczeństwa środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego GA1 Anamix Infant u pacjentów z acydurią glutarową typu I i drgawkami pirydoksynozależnymi. Do analizy włączono badania o niższym stopniu wiarygodności.



Analiza bezpieczeństwa nie wykazała działań niepożądanych związanych ze stosowaniem mieszanek aminokwasów bez lizyny oraz z ograniczoną zawartością tryptofanu. Oceniane w badaniach parametry antropometryczne i wskaźniki odżywienia nie wskazywały na istnienie niedożywienia.

Odnaleziono 5 rekomendacji dotyczących acydurii glutarowej typu I. W rekomendacjach wskazuje się na możliwość stosowania diety z ograniczeniem lizyny. W 3 rekomendacjach wskazuje się na możliwość realizacji diety z zastosowaniem mieszanek aminokwasów niezawierających lizyny oraz dodatkowo z niską zawartością lub niezawierających tryptofanu.

Odnaleziono 2 rekomendacje dotyczące postępowania w drgawkach pirydoksynozależnych. Obie rekomendacje wskazują na stosowanie diety ograniczającej lizynę jako opcji uzupełniającej terapię pirydoksyną, przy czym jedynie w publikacji Karnebeek 2014 wskazano możliwość podawania gotowych mieszanek aminokwasów. W rekomendacji Stockler 2011 zwrócono również uwagę, iż skuteczność diety eliminującej lizynę musi być jeszcze potwierdzona klinicznie, zanim zostanie oficjalnie rekomendowana.

Nie odnaleziono rekomendacji finansowych.

W wyniku uproszczonej analizy wpływu na budżet oszacowano, że w przypadku podjęcia pozytywnej decyzji o refundacji wnioskowanego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego wydatki płatnika, w przypadku braku wzrostu liczby pacjentów w porównaniu z 2016 rokiem oraz przy założeniu, że oceniany środek zastąpi inne środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego stosowane w ocenianych wskazaniach, będą wynosiły ok. 475 tys. złotych rocznie.

Otrzymano dwie pozytywne opinie ekspertów klinicznych. Na szczególną uwagę zasługuje informacja przekazana przez jednego z ekspertów, mówiąca że brak jest konsensusu, dotyczącego postępowania dietetycznego u chorych, ze względu na małą liczbę obserwowanych przypadków.

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.

.....
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 produktu leczniczego, raport nr OT.431.3.2017 „GA1 Anamix Infant, proszek do sporządzania roztworu doustnego, puszka á 400 g we wskazaniach: Acyduria glutarowa I – GA I, Drgawki pirydoksynozależne” z dn. 22.02.2017 r.