



Rekomendacja nr 7/2018

z dnia 18 stycznia 2018r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Rena Start, proszek, puszka á 400 g we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek (ICD-10: N18.0)

Prezes Agencji nie rekomenduje wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Rena Start, proszek, puszka á 400 g we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek (ICD-10: N18.0).

Uzasadnienie rekomendacji

Prezes Agencji, biorąc pod uwagę stanowisko Rady Przejrzystości uważa za niezasadne wydawanie zgód na refundację produktu Rena Start, proszek, puszka á 400 g we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek (ICD-10: N18.0).

W ramach wyszukiwania dowodów naukowych odnaleziono jeden abstrakt konferencyjny, który nie dostarcza istotnych informacji na temat skuteczności stosowania wnioskowanej technologii w przewlekłej niewydolności nerek u dzieci. Brak jest m.in. danych dot. poprawy odżywienia dzieci, czy też wydłużenia okresu do rozpoczęcia dializ.

W odnalezionych rekomendacjach podkreśla się, że produkt ten może być stosowany jako uzupełnienie diety, jednak podstawą procesu terapeutycznego w omawianym wskazaniu jest odpowiednie postępowanie dietetyczne.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego: Rena Start, proszek, puszka á 400 g we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek (ICD-10: N18.0), na podstawie art. 31e ust. 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej (Dz.U. z 2016 r. poz. 1793 z późn. zm.) 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.).

Problem zdrowotny



Przewlekła choroba nerek (PChN) to wg definicji Kidney Disease Improving Global Outcomes utrzymujące się ≥ 3 miesiące uszkodzenie nerek (definiowane jako obecność strukturalnych lub czynnościowych nieprawidłowości) i/lub GFR (współczynnik przesączania kłębuszkowego, ang. glomerular filtration rate) < 60 ml/min/1,73 m² przez ≥ 3 miesiące z lub bez uszkodzenia nerek. PChN jest klasyfikowana na podstawie CGA (klasyfikacja na podstawie przyczyny, kategorii GFR oraz występowania albuminurii), tj.: przyczyny, kategorii GFR (G1-G5) oraz kategorii występowania albuminurii. Termin „przewlekła niewydolność nerek” (PNN) odnosi się do kategorii G3–G5 PChN; kategoria G5 to schyłkowa niewydolność nerek (SNN) lub mocznica.

Zachorowalność roczna na PChN wynosi około 150/milion. W USA PChN występuje u około 11% osób dorosłych (~30% stanowią pacjenci powyżej 65 r.ż.), a PNN – u około 8%. Ekstrapolowana chorobowość w Polsce wynosi 4-5 mln (1,5 – 2 mln w kategorii G3).

Częstość występowania PChN wśród dzieci w wieku poniżej 16 lat wynosi 1,5-3 na 1 000 000. W Europie częstość występowania choroby nerek ostatniego stadium u dzieci < 1 roku wynosi 9-16/milion/rok, czyli prawie dwukrotnie więcej niż dla całej populacji pacjentów w wieku 0-15 lat.

Przewlekła choroba nerek wpływa na wiele układów, w tym wydzielania wewnętrznego (przemiana wapniowo-fosforanowa, wzrost), krwiotwórczy, odpornościowy oraz sercowo-naczyniowy. U dzieci z PChN dochodzi do zaburzeń odżywiania i niedoborów białka z takich powodów, jak jadłowstręt, nudności i wymioty w przebiegu mocznicy, a także nieprawidłowe odczuwanie smaku. Szczególnie małe dzieci potrzebują odpowiedniej podaży kalorii w celu zapewnienia wzrostu oraz podaży białka umożliwiającej utrzymanie równowagi azotowej i zachowanie beztłuszczowej masy ciała. Niektórzy chorzy mogą wymagać dodatkowego żywienia przez sondę (zgiębnik nosowo-gardłowy) lub gastrostomię, jeśli odżywianie doustne nie zapewnia osiągnięcia właściwej masy ciała i wzrostu. Ponieważ podczas dializowania dochodzi do utraty wielu witamin, dzieci leczone tą metodą wymagają uzupełniania witamin w diecie, zwłaszcza kwasu foliowego, pierwiastków śladowych i witamin z grupy B

Alternatywna technologia medyczna

Zgodnie z wytycznymi klinicznymi w leczeniu przewlekłej niewydolności nerek wskazane jest stosowanie odpowiedniego postępowania dietetycznego. Wytyczne wskazują także na stosowanie preparatu RenaStart.

W odnalezionym raporcie UK 2013, w którym poinformowano, że na terenie Wielkiej Brytanii dostępne są dwa preparaty: Vitaflo Renastart i SHS Nutricia Kindergen stosowane w postępowaniu dietetycznym u niemowląt z chorobą nerek. Niemniej jednak według informacji otrzymanych od Ministerstwa Zdrowia w latach 2016-2017 dla przedmiotowego wskazania nie wydawano zgód na sprowadzenie alternatywnych śspż w ocenianym wskazaniu.

Opis wnioskowanego świadczenia

Środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego RenaStart jest to wysokoenergetyczny produkt z niską zawartością białek, wapnia, chlorku, potasu, fosforu i witaminy A. Zawiera białko serwatkowe, aminokwasy, węglowodany, tłuszcze, witaminy, minerały, pierwiastki śladowe i długołańcuchowe wielonienasycone kwasy tłuszczowe (LCP): kwas arachidonowy (AA) i dokozaheksaenowy

RenaStart wskazany jest do stosowania w dietetycznym postępowaniu w niewydolności nerek u dzieci od narodzin do 10 roku życia lub u dzieci od 1 roku życia.

Produkt RenaStart nie jest dostępny na polskim rynku ale może być sprowadzany w ramach importu docelowego. 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.

W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania odnaleziono jedno badanie Desloovere 2014, w postaci abstraktu, spełniające kryteria selekcji do raportu.

Celem badania było raportowanie doświadczenia z podawania nowej mieszanki w hiperkaliemii i uniknięcie lub redukcja stosowanych leków. 18 pacjentów z hiperkaliemią (>4,8 mmol K/l) z powodu choroby nerek (z Belgii) otrzymywało Renastart (Vitaflo). Średnia wieku: 0,6 (zakres: 0-3,5).

Dawka była dopasowywana w zależności od poziomu potasu (K⁺) we krwi. Pacjenci otrzymywali wyłącznie Renastart lub razem z normalnymi mieszankami lub karmieniem piersią, które dostosowywano w razie potrzeby. Niemowlętom, które przyjmowały żywienie w postaci stałej, dawka Renastart była dopasowana w zależności od poziomu K⁺ we krwi w celu maksymalizacji spożycia pokarmów stałych. 72% pacjentów przyjmowało wyłącznie Renastart, 17% Renastart wraz z mieszankami niemowlęcymi oraz 11% Renastart z mieszankami niemowlęcymi i pokarmem stałym. W zależności od tygodniowych wartości K⁺ we krwi, wskaźnik Renastart/mieszanek niemowlęcych był dostosowywany. Niektóre dzieci otrzymywały Renastart przez tubę (44%) podczas okresu ciężkiej choroby lub niewłaściwego przyjmowania pokarmów. Pozostałe przyjmowały Renastart doustnie (56%).

Zastosowanie Renastart spowodowało normalizację poziomu potasu (3,6-4,8 mmol K⁺/l) u każdego niemowlęcia lub dziecka. U większości pacjentów zakończono lub uniknięto przyjmowania leków. Pacjenci mogli otrzymywać normalne ilości stałych pokarmów dostosowanych do wieku poprzez zastosowanie Renastart. Uzyskano też więcej swobody w utrzymywaniu pozostałej diety tak normalnej jak to było możliwe. Akceptowano podawanie Renastart przez tubę w przypadku zaostrzeń choroby lub gdy występowały trudności w obniżeniu K⁺ dietą.

Ograniczenia analizy

Główne ograniczenie analizy klinicznej stanowi fakt, że nie odnaleziono dowodów naukowych wysokiej jakości, które pozwalałyby wnioskować w zakresie skuteczności i bezpieczeństwa ocenianej technologii medycznej. Odnalezione badanie stanowiło abstrakt konferencyjny badania obserwacyjnego, w którym udział brało 18 pacjentów. Ponadto w badaniu oceniano przede wszystkim poziom potasu i konieczność stosowania innych leków. Brakuje natomiast informacji odnośnie stanu odżywienia dzieci oraz konieczności wykonywania dializ.

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 wynosi 134 514 PLN (3 x 44 838 PLN))

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.

Nie odnaleziono danych, które pozwoliłyby w sposób wiarygodny przeprowadzić analizę ekonomiczną, która byłaby zgodna ze zleceniem Ministra Zdrowia. W związku z powyższym ograniczono się do przedstawienia kosztów związanych z ocenianym produktem leczniczym.

W toku przygotowywania analiz otrzymano dane dotyczące importu docelowego produktu leczniczego RenaStart w przedmiotowym wskazaniu w latach 2016-2017. Z otrzymanych danych wynika, że w tym okresie sprowadzono i zrefundowano łącznie 766 opakowań leku dla 21 pacjentów. Kwota refundacji wynosiła 170 205,20 zł.

Na podstawie ww. danych oszacowano średni koszt za opakowanie leku, który wynosi 267,58 zł.

Ograniczenia analizy

W odniesieniu do kosztów ocenianego produktu leczniczego 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 tych produktów. Tym samym brak jest pełnych danych o rzeczywistych kosztach omawianych technologii. Nie jest jasne czy wskazana w danych Ministerstwa Zdrowia cena sprzedaży netto oznacza urzędową cenę zbytu czy cenę hurtową. Tym samym wydatki poniesione przez płatnika były prawdopodobnie wyższe niż przedstawione w otrzymanych danych, ze względu na brak uwzględnienia marż detalicznych i ewentualnie marż hurtowych.

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 2017 r., poz. 1844, 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.

W latach 2016-2017 sprowadzono 766 opakowań środka Rena Start. Tym samym wydatki związane z refundacją ww. śsspż w ocenianym wskazaniu z perspektywy NFZ wyniosły ok. 204,97 tys. zł, a z perspektywy pacjenta ok. 2,45 tys. zł.

Z powodu braku danych dotyczących przyszłej populacji docelowej (ekspert nie podał wystarczających informacji, natomiast dane Ministerstwa Zdrowia zagregowano dla dwóch lata, co uniemożliwiało ewentualne wyznaczenie linii trendu), odstąpiono od szacowania wydatków ponoszonych na refundację ocenianej technologii lekowej w kolejnych latach.

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 ramach wyszukiwania odnaleziono rekomendacje kliniczne towarzystw naukowych:

- Nottingham Neonatal Service - NNS 2016 (Anglia)
- Vitaflo 2014a, 2014b (Wielka Brytania)
- Wales Neonatal Network - WNN 2014 (Walia)

- Kidney Health Australia Caring for Australasians with Renal Impairment - KHA-CARI 2013 (Australia)
- Kidney Disease Improving Global Outcomes - KDIGO 2012 (Świat)
- European Paediatric Dialysis Working Group - EPDWG 2012 (Europa)
- Kidney Disease Outcomes Quality Initiative - KDOQI 2008 (USA)
- Scottish Intercollegiate Guidelines Network - SIGN 2008 (Szkocja)

W odnalezionych wytycznych klinicznych dotyczących postępowania dietetycznego u niemowląt lub dzieci z chorobą nerek zaleca się konsultacje z dietetykiem w celu dobrania indywidualnej diety, która pozwoli na prawidłowy wzrost tych osób. W przypadku uporczywej hiperkaliemii w przewlekłej chorobie nerek zaleca się ograniczenie potasu, można też zastosować mieszankę Renastart u niemowląt lub dzieci w wieku 1-10 lat zarówno w ostrej, jak i przewlekłej chorobie nerek.

W grudniu 2013 r. PBAC rekomendował do umieszczenia na liście refundacyjnej RenaStart, zapakowany w puszkę, z maksymalną ilością 4 i 5 powtórzeń, z ceną za gram proszku równoważną temu, zapakowanego w saszetki oraz pod tymi samymi warunkami co Renastart w saszetkach. Po raz pierwszy w Pharmaceutical Benefits Scheme (PBS) umieszczono RenaStart 1 marca 2009 r. Oprócz RenaStart w przewlekłej niewydolności nerek na liście produktów odżywczych znajduje się także Kindergen

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 17.11.2017r. Ministra Zdrowia (znak pisma: PLD.46434.5406.2017.1.AK), odnośnie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Rena Start, proszek, puszka á 400 g we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek (ICD-10: N18.0) na podstawie art. 31e ust. 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938) 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 2017 r., poz. 1844, z późn. zm.), po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości nr 8/2018 z dnia 8 stycznia 2018 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Rena Start we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek (ICD-10: N18.0)

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 8/2018 z dnia 8 stycznia 2018 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Rena Start we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek (ICD-10: N18.0);
2. Raport: OT.4311.7.2017 „Rena Start we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek (ICD-10: N18.0)”. Data ukończenia: 03 stycznia 2018.