



Rekomendacja nr 34/2018

z dnia 23 kwietnia 2018 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Carb Zero, emulsja, butelka á 225 ml, we wskazaniach: padaczka lekooporna u dziecka poniżej 3 roku życia, padaczka lekooporna u pacjentów powyżej 3 roku życia oraz deficyt transportera glukozy GLUT-1

Prezes Agencji rekomenduje wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Carb Zero, emulsja, butelka á 225 ml we wskazaniach: padaczka lekooporna u pacjentów powyżej 3 roku życia oraz deficyt transportera glukozy GLUT-1 u pacjentów powyżej 3 roku życia.

Prezes Agencji nie rekomenduje wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Carb Zero, emulsja, butelka á 225 ml we wskazaniach: padaczka lekooporna u dziecka poniżej 3 roku życia oraz deficyt transportera glukozy GLUT-1 u dziecka poniżej 3 roku życia.

Uzasadnienie rekomendacji

Prezes Agencji, w ślad za stanowiskiem Rady Przejrzystości, uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Carb Zero, emulsja, butelka á 225 ml, we wskazaniach: padaczka lekooporna u pacjentów powyżej 3 roku życia, deficyt transportera glukozy GLUT-1 u pacjentów powyżej 3 roku życia oraz za niezasadne we wskazaniach: padaczka lekooporna u dziecka poniżej 3 roku życia, deficyt transportera glukozy GLUT-1 u dziecka poniżej 3 roku życia.

Wszystkie odnalezione wytyczne kliniczne zalecają stosowanie w padaczce lekoopornej diety ketogennej, która polega na zmniejszonej podaży węglowodanów i zwiększonej podaży tłuszczu. Większość z ww. rekomendacji odnosi się pozytywnie także do stosowania diety ketogennej w deficycie transportera glukozy GLUT-1. Zatem oceniany środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śssp), dzięki zawartości odpowiednich składników



odżywczych wskazanych w diecie ketogennej, może stanowić uzupełnienie zbilansowanej diety.

Istotnym aspektem wpływającym na pozytywną rekomendację Prezesa Agencji jest fakt, że produkt ten stosowany będzie w populacji pediatrycznej, w której utrzymanie zbilansowanej diety może być utrudnione. Oceniany produkt spożywczy może zatem stanowić poszerzenie dostępnych opcji żywieniowych dla wskazanej grupy pacjentów.

Należy jednak zwrócić uwagę, że zgodnie z informacjami przedstawionymi w ulotkach dla pacjentów (amerykańską i brytyjską) produkt Carb Zero jest odpowiedni dla pacjentów powyżej 3 roku życia.

Eksperci kliniczni w swoich opiniach pozytywnie odnieśli się do finansowania śsspż Carb Zero w padaczce lekoopornej u pacjentów > 3 r.ż. i deficycie transportera glukozy GLUT-1. Natomiast w przypadku padaczki lekoopornej u dziecka < 3 r.ż. opinie ekspertów były rozbieżne – jedna pozytywna i dwie negatywne. Wg ekspertów klinicznych śsspż Carb Zero można stosować w przypadku: wystąpienia padaczki lekoopornej, nietolerancji i objawów niepożądanych farmakoterapii, przeciwwskazań do leczenia chirurgicznego padaczki, nietolerancji lub dyskomfortu po spożyciu najczęściej stosowanych źródeł tłuszczu w diecie ketogennej czy braku możliwości stosowania preparatów KetoCal ze względu na nietolerancję białek mleka.

Niemniej jednak należy zaznaczyć, że w ramach przeprowadzonego wyszukiwania dowodów naukowych nie odnaleziono badań możliwych do włączenia do przeglądu, które dostarczałyby informacji na temat skuteczności i bezpieczeństwa wnioskowanej technologii medycznej. Stanowi to ograniczenie przeprowadzonej oceny i nie pozwala na pełne wnioskowanie w zakresie skuteczności i bezpieczeństwa terapii w omawianych wskazaniach.

W zakresie kosztów finansowania ocenianej technologii brak jest wiarygodnych danych pozwalających oszacować populację chorych z padaczką lekooporną, u której Carb Zero mógłby być zastosowany oraz informacji nt. dawkowania produktu. W związku z powyższym oszacowanie wpływu pozytywnej decyzji refundacyjnej na wydatki płatnika nie jest możliwe.

Zgodnie z informacjami przedstawionymi przez Ministerstwo Zdrowia w ocenianych wskazaniach w 2017 r. sprowadzono z zagranicy alternatywne śsspż na łączną kwotę 1 122 417 PLN brutto.

Odnaleziono także jedną australijską rekomendację z 2013 r., dotyczącą finansowania ocenianego śsspż, stosowanego w postępowaniu dietetycznym u pacjentów z zapotrzebowaniem na trójglicerydy długołańcuchowe (LCT).

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Carb Zero, emulsja, butelka á 225 ml, we wskazaniach: padaczka lekooporna u dziecka poniżej 3 roku życia, padaczka lekooporna dla pacjentów powyżej 3 roku życia, deficyt transportera glukozy GLUT-1, na podstawie art. 31e ust. 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej (Dz.U. z 2017 r. poz. 1938 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 2017 r., poz. 1844 z późn. zm.).

Problem zdrowotny

Padaczka to przewlekła choroba ośrodkowego układu nerwowego. Charakteryzuje się występowaniem nieprovokowanych napadów, w czasie których mogą mieć miejsce zaburzenia świadomości, zachowania, emocji, czynności ruchowych, czuciowych lub wegetatywnych, dostrzegalne przez chorego lub jego otoczenie.

Padaczka lekooporna jest rozpoznawana, gdy dwie kolejne próby interwencji lekowych w monoterapii lub terapii dodanej (dobrze tolerowanych, właściwie dobranych i odpowiednio użytych) nie doprowadzą do osiągnięcia utrwalonej i pełnej kontroli napadów.

W krajach rozwiniętych roczną zapadalność szacuje się na poziomie 50-70 osób na 100 tys., a wskaźnik rozpowszechnienia wynosi ok. 1%. Częstość padaczki i zespołów padaczkowych wynosi 5,3-8,8 na 1 000 dzieci poniżej 13 roku życia. Padaczka oporna na leczenie dotyka ok. 20-30% chorych.

Następcami odpornej padaczki mogą być dysfunkcje i utrata niezależności, zaburzenie funkcji intelektualnych oraz większa możliwość wystąpienia objawów neurotoksycznych. Śmiertelność chorych na padaczkę jest 2-4 razy większa niż w populacji ogólnej. Przyczyną zgonu może być bezpośrednio napad padaczkowy, zwłaszcza stan padaczkowy (10%), wypadek i obrażenia ciała związane z napadem (5%), samobójstwo (7-22%) lub brak uchwytnej powody – tzw. nagły nieoczekiwany zgon chorego na padaczkę (ok. 10%). Największe ryzyko zgonu jest u chorych z nieopanowanymi napadami.

Zespół niedoboru transportera glukozy typu 1 (Glut1) to rzadkie, genetyczne zaburzenie metaboliczne, charakteryzujące się niedoborem proteiny, przez co glukoza przekracza barierę krew-mózg. Najczęstszym objawem tego zaburzenia są drgawki (epilepsja), które zazwyczaj pojawiają się w ciągu pierwszych, kilku miesięcy życia. Objawy i ciężkość choroby różnią się między osobami, np. u niektórych może nie występować epilepsja. Dodatkowe objawy obejmują: zaburzenia w ruchach oczu-głowa, zaburzenia ruchów ciała, opóźnienia rozwoju (np. mózgu i czaszki, co powoduje małogłowie) i różnego rodzaju upośledzenia poznawcze, niewyraźne wypowiedzi i nieprawidłowości językowe. Zespół niedoboru Glut1 klasyfikuje się jako encefalopatię padaczkową, czyli grupę chorób, w których napad padaczkowy związany jest z progresywną dysfunkcją psychomotoryczną.

Częstość zespołu niedoboru Glut1 jest nieznana. Dotyka ona w tym samym stopniu chłopców i dziewczęta.

Zespół niedoboru Glut1 reprezentuje spektrum choroby. Łagodne przypadki mogą nie być rozpoznawane, podczas gdy inne mogą potencjalnie prowadzić do ciężkich, wyniszczających komplikacji. Osoby z zespołem niedoboru Glut1 mogą być opóźnione w rozwoju lub niepełnosprawne intelektualnie.

Alternatywna technologia medyczna

Odnalezione wytyczne w wyżej wymienionych problemach zdrowotnych zalecają ogólnie stosowanie diety ketogenicznej.

Eksperti kliniczni, jako alternatywne technologie medyczne wskazali:

- w padaczce lekoopornej (bez podziału na wiek pacjenta): farmakoterapię, dietę ketogeniczną (np. przy wykorzystaniu preparatów KetoCal) oraz leczenie chirurgiczne i stymulację nerwu błędnego. W jednej z opinii podkreślono, że obecnie nie ma na rynku produktu stanowiącego alternatywę dla Carb Zero, ale dostępny jest na rynku produkt Calogen neutralny. Z kolei inny ekspert wskazał, że technologie stosowane w leczeniu padaczki (farmakoterapia, dieta ketogeniczna, leczenie chirurgiczne, stymulacja nerwu błędnego) „nie wykluczają się i nie mogą się wzajemnie zastępować”;

- w deficycie transportera glukozy GLUT1: dietę ketogenną. Ponadto jeden z ekspertów jako technologię, która mogłaby zostać zastąpiona przez oceniany śsspż wskazał farmakoterapię (częściowo) oraz stymulację nerwu błędnego, a pozostali eksperci nie podali informacji lub wskazali na brak takich technologii.

Zgodnie z danymi otrzymanymi od Ministerstwa Zdrowia środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspż) Carb Zero nie był dotychczas sprowadzany do Polski w ramach importu docelowego.

Natomiast wg informacji przekazanych przez Ministerstwo Zdrowia w 2017 r. wydano zgody na sprowadzenie z zagranicy następujących, alternatywnych śsspż: Ketocal 4:1 LQ, Liquiden MCT Oil, Ketocal 4:1, KetoCal 3:1, MCT Procal, Keyo, odpowiednio we wskazaniach:

- padaczka lekooporna u pacjentów poniżej 3 roku życia – dla 25 pacjentów w wieku 1-2 lata, produkty: KetoCal 3:1, KetoCal 4:1, KetoCal LQ;
- padaczka lekooporna u pacjentów powyżej 3 roku życia – dla 51 pacjentów w wieku 3-27 lat, produkty: KetoCal 3:1, KetoCal 4:1, KetoCal LQ, Keyo;
- deficyt transportera glukozy GLUT-1 – dla 9 pacjentów w wieku 6-21 lat, produkty: KetoCal 4:1 LQ, Liquigen MCT Oil, KetoCal 4:1, KetoCal 3:1, MCT Procal, Keyo.

Wymienione wyżej śsspż są wskazane do stosowania w postępowaniu dietetycznym w lekoopornej padaczce i innych schorzeniach, w których wskazana jest dieta ketogenna. Produkt Ketocal 3:1 stosuje się od urodzenia, natomiast Ketocal 4:1 i Ketocal 4:1 LQ od 1 roku życia. Produkt Keyo zalecany jest od 3. roku życia (jako wyłączone źródło pożywienia do 10. roku życia i jako dodatek do diety powyżej 10. roku życia). Produkt Calogen nie jest wskazany do stosowania u niemowląt, zaś u dzieci poniżej 6. roku życia należy go stosować ostrożnie.

Należy mieć jednak na uwadze, że ww. produkty różnią się również pod względem składu.

Opis wnioskowanego świadczenia

Zgodnie z ulotkami informacyjnymi dla pacjenta śsspż Carb Zero jest to produkt w postaci gotowej do spożycia, płynnej emulsji zawierającej trójglicerydy długołańcuchowe (LCT). Wartość odżywcza 225 ml (1 butelka) produktu wynosi: 0 g białka, 0 g węglowodanów, 45 g tłuszczu, 405 kcal wg ulotki brytyjskiej lub 410 kcal zgodnie z informacjami z ulotki amerykańskiej.

Produkt Carb Zero jest wskazany do stosowania w diecie ketogenicznej lub w postępowaniu dietetycznym u osób z zapotrzebowaniem na LCT. Dawkowanie należy dobrać zgodnie z zaleceniem lekarza lub dietetyka, zależnie od wieku, masy ciała i stanu zdrowia pacjenta.

Ponadto wg informacji w ulotkach dla pacjenta produkt:

- musi być stosowany wyłącznie pod ścisłym nadzorem medycznym;
- jest odpowiedni dla pacjentów od 3 r.ż.;
- nie może stanowić wyłącznego źródła żywienia;
- jest przeznaczony wyłącznie do stosowania dojelitowego.

Należy podkreślić, że zgodnie z odnalezionymi ulotkami śsspż Carb Zero jest odpowiedni dla pacjentów powyżej 3 roku życia, natomiast zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy stosowania preparatu także u dzieci poniżej 3 roku życia, co stanowi wskazanie niezgodne z ulotką dla pacjenta.

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 nie odnaleziono żadnych badań, spełniających kryteria włączenia do przeglądu systematycznego.

Na stronach organizacji monitorujących bezpieczeństwo leczenia również nie odnaleziono dokumentów dotyczących bezpieczeństwa stosowania śsspż Carb Zero (przeszukiwano m.in. strony internetowe Urzędu Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych - URPL; Europejskiej Agencji Leków ang. European Medicines Agency - EMA oraz Agencji ds. Żywności i Leków ang. Food and Drug Administration – FDA).

Ograniczenia analizy klinicznej

Podstawowym ograniczeniem analizy klinicznej jest brak wiarygodnych dowodów naukowych, które pozwoliłyby na wnioskowanie w zakresie skuteczności i bezpieczeństwa stosowania ocenianego produktu.

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 ocenę ekonomiczną, która byłaby zgodna ze zleceniem Ministra Zdrowia. W związku z powyższym ograniczono się do przedstawienia kosztów związanych z ocenianym produktem leczniczym oraz alternatywnymi śsspż.

Na podstawie danych przekazanych przez Ministerstwo Zdrowia szacunkowa cena brutto za jedno opakowanie zbiorcze (15 butelek x 225 ml) śsspż Carb Zero wynosi 144,86 PLN (cena uzyskana od producenta).

Natomiast średnie ceny brutto za 1 opakowanie alternatywnych śsspż wynoszą dla poszczególnych produktów: MCT Procal - 15,10 PLN, Keyo - 34,22 PLN, Ketocal 4:1 LQ - 46,52 PLN, KetoCal 4:1 - 278,00 PLN, KetoCal 3:1 - 280,00 PLN, Liquigen MCT Oil - 573,00 PLN. Według danych przekazanych przez Ministerstwo Zdrowia ww. ceny dla alternatywnych śsspż są cenami brutto sprzedaży śsspż do apteki (przekazanymi przez hurtownie farmaceutyczne za okres kilku ostatnich miesięcy).

Zgodnie z informacjami przedstawionymi przez Ministerstwo Zdrowia w ocenianych wskazaniach w 2017 r. sprowadzono z zagranicy alternatywne śsspż, tj.:

- 965 opakowań o łącznej wartości 272 245 PLN brutto w padaczce lekoopornej u pacjentów poniżej 3 roku życia;
- 2 908 opakowań o łącznej wartości 766 048 PLN brutto w padaczce lekoopornej u pacjentów powyżej 3 roku życia;
- 584 opakowania o łącznej wartości 84 124 PLN brutto w deficycie transportera glukozy.

Ograniczenia analizy

Cena produktu Carb Zero najprawdopodobniej nie zawiera marży detalicznej produktu ani dopłaty świadczeniobiorców. W związku z powyższym kwota refundacji poniesiona przez płatnika publicznego będzie prawdopodobnie wyższa niż to wynika z udostępnionych danych i jednocześnie trudna do dokładnego oszacowania, ze względu na fakt, iż śsspż w ramach importu docelowego mogą być sprowadzane zarówno za pośrednictwem aptek ogólnodostępnych, jak i aptek szpitalnych. Sposób sprowadzenia produktu warunkuje natomiast sposób finansowania danego produktu, a tym samym ostateczną wielkość wydatków płatnika publicznego poniesionych na refundację.

Ponadto brak jest dokładnych informacji odnoszących się do dawkowania śsspż CarbZero, wobec czego nie jest możliwe porównanie kosztów terapii ocenianym produktem i innymi opcjonalnymi do zastosowania np. w rocznym horyzoncie czasowym.

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.

Na podstawie danych otrzymanych od Ministerstwa Zdrowia szacunkowa cena brutto za jedno opakowanie zbiorcze (15 butelek x 225 ml) śsspż Carb Zero wynosi 144,86 PLN (cena uzyskana od producenta). Zgodnie z art. 39 ust.1 ustawy o refundacji śsspż, które nie posiadają pozwoleń na dopuszczenie do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej mogą być wydawane po wniesieniu przez świadczeniobiorcę odpłaty ryczałtowej za opakowanie jednostkowe, pod warunkiem wydania zgody na refundację takich produktów przez ministra właściwego do spraw zdrowia. Należy podkreślić, że dotychczas nie wydano żadnej zgody na refundację dla śsspż Carb Zero. Obecnie prowadzone jest jedno takie postępowanie.

Na podstawie opinii ekspertów wskazano, że około 20-30% chorych na padaczkę dzieci to przypadki odporne na leczenie. Jeden z ekspertów wskazał, że liczba dzieci z ocenianym wskazaniem w Polsce wynosi od 14 do 21 tys., natomiast inny ekspert oszacował liczebność tej populacji na ok. 60 tys. Wg opinii jednego z ekspertów można wskazać, iż populacja z padaczką lekooporną, u której śsspż Carb Zero może być zastosowany wyniesi około 700 do 1400 pacjentów. Pozostali eksperci nie podali danych lub nie sprecyzowali sposobu oszacowania tej populacji.

Dla populacji z deficytem transportera glukozy GLUT-1 eksperci jednoznacznie wskazali, że śsspż Carb Zero mógłby być zastosowany u wszystkich pacjentów z tym rozpoznaniem, natomiast nie określili liczby tych chorych.

Dodatkowo, brak dokładnych informacji o dawkowaniu śsspż Carb Zero uniemożliwia oszacowanie wydatków podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych.

Mając na uwadze powyższe odstąpiono od szacowania wydatków ponoszonych na refundację ocenianej technologii medycznej 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 toku wyszukiwania odnaleziono wytyczne kliniczne następujących organizacji:

- Polskie Towarzystwo Neurologów Dziecięcych - PTND 2015 (Polska);
- Polska grupa ekspertów - PGE 2014 (Polska);
- International League Against Epilepsy - ILAE 2015 (międzynarodowe);
- International Ketogenic Diet Study Group - IKDSG 2008 (międzynarodowe);
- Europejska grupa ekspertów - EGE 2016 (Europa);
- European Paediatric Neurology Society - EPNS 2016, 2012 (Europa);
- German-Speaking Society for Neuropediatrics - GSSSN 2015 (Niemcy);
- Włoska Grupa Ekspertów - IE 2011 (Włochy);
- Danish Health Authority - DHA 2016 (Dania);
- National Institute for Health and Care Excellence - NICE 2012/2016 (Wielka Brytania);
- French Community of Belgium - FCB 2011 (Francja);
- Critical Care Services Ontario - CCSO 2016 (Kanada);
- Argentine Society of Pediatric Neurology - ASPN 2016 (Argentyna);
- Agency for Healthcare Research and Quality - AHRQ 2003 (USA);
- Vitaflo 2017 (Wielka Brytania).

Odnaleziono 16 wytycznych klinicznych zalecających ogólnie dietę ketogenną w padaczce lekoopornej, szczególnie w postaci uogólnionej czy zespole Westa (głównie w przypadkach gdy nie można zastosować leczenia chirurgicznego). W 4 wytycznych (ILAE 2015, PTND 2015, EGE 2016, EPNS2016/2012) podano, że dietę można stosować od okresu niemowlęcego; 1 (Vitaflo 2017) – od 1. r.ż.; 2 (IKDSG 2008, IE 2011) – bez względu na wiek. W pozostałych rekomendacjach nie odniesiono się do stosowania diety względem wieku.

9 wytycznych zaleca dietę ketogenną jako leczenie z wyboru w zespole deficytu białka transportującego glukozę (PTND 2015, ILAE 2015, IKDSG 2008, EGE 2016, EPNS 2016/2012, IE 2011, CCSO 2016, ASPN 2016, Vitaflo 2017).

Odnaleziono jedną rekomendację dotyczącą finansowania ocenianego śsspż. W listopadzie 2013 r. australijski PBAC rekomendował produkt Carb Zero do umieszczenia na liście produktów żywieniowych, stosowanych w postępowaniu dietetycznym u pacjentów z zapotrzebowaniem na trójglicerydy długołańcuchowe (LCT). Po raz pierwszy w Pharmaceutical Benefits Scheme (PBS) oceniany śsspż umieszczono w marcu 2014 r. Oprócz Carb Zero na liście produktów żywieniowych stosowanych w diecie ketogennej znajdują się między innymi KetoCal 4:1 LQ, KetoCal 4:1, KetoCal 3:1. Dodatkowo, na stronie PBS odnaleziono informacje, że śsspż Carb Zero znajduje się na liście produktów leczniczych/śsspż jako środek stosowany w diecie ketogenicznej u pacjentów z napadami padaczkowymi lub z deficytem transportera glukozy lub deficytem dehydrogenazy pirogronianu.

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia Ministra Zdrowia z dnia 18.01.2018 r. (znak pisma: PLD.46434.417.2018.AD) oraz z dnia 09.02.2018 r. (znak pisma: PLD.46434.417.2018.2.AD), odnośnie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego: Carb Zero, emulsja, butelka á 225 ml we wskazaniach: padaczka lekooporna u dziecka poniżej 3 roku życia, padaczka lekooporna dla pacjentów powyżej 3 roku życia, deficyt transportera glukozy GLUT-1, na podstawie art. 31e ust. 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz.U.2017 r. poz. 1938 z późn. zm.) 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 35/2018 z dnia 9 kwietnia 2018 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Carb Zero we wskazaniach: padaczka lekooporna u dziecka poniżej 3 roku życia, padaczka lekooporna u pacjentów powyżej 3 roku życia oraz deficyt transportera glukozy GLUT-1.

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 35/2018 z dnia 9 kwietnia 2018 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Carb Zero we wskazaniach: padaczka lekooporna u dziecka poniżej 3 roku życia, padaczka lekooporna u pacjentów powyżej 3 roku życia oraz deficyt transportera glukozy GLUT-1.
2. Carb Zero we wskazaniach: padaczka lekooporna, deficyt transportera glukozy GLUT-1. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: OT.4311.5.2018. Data ukończenia: 4 kwietnia 2018 r.