



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

**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**

*Rada 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 oraz deficyt transportera glukozy GLUT-1 oraz za niezasadne we wskazaniu: padaczka lekooporna u dziecka poniżej 3 roku życia.*

### **Uzasadnienie**

#### Problem decyzyjny

*Zasadność wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Carb Zero, na podstawie 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) . Carb Zero w ocenianych wskazaniach nie był przedmiotem oceny w Agencji i dotychczas nie był sprowadzany w ramach importu docelowego.*

*Zgodnie z informacją o leku Carb Zero jest odpowiedni dla pacjentów powyżej 3 roku życia tymczasem zlecenie dotyczy stosowania preparatu również u dzieci poniżej 3 roku życia.*

#### Dowody naukowe

*Brak jest dowodów naukowych dotyczących skuteczności środka Carb Zero lub innych środków składających się głównie z trójglicerydów długołańcuchowych w analizowanych wskazaniach, w szczególności brak jest badań klinicznych z zastosowaniem produktu Carb Zero w grupie wiekowej dzieci poniżej 3 roku życia. Wiadomo jednak, że dieta ketogenna jest wartościową metodą w leczeniu padaczki lekoopornej u dzieci, o skuteczności porównywalnej (lub większej) do leków przeciwpadaczkowych nowej generacji. Znajduje*



to odzwierciedlenie w większości międzynarodowych rekomendacji klinicznych. Za możliwością stosowania Carb Zero w deficycie transportera glukozy GLUT-1 oraz w padaczce lekoopornej powyżej 3 roku życia opowiedzieli się wszyscy eksperci.

#### Problem ekonomiczny

Brak jest wiarygodnych danych pozwalających oszacować populację chorych z padaczką lekooporną, u której Carb Zero mógłby być zastosowany, tym samym oszacowanie wpływu decyzji pozytywnej na wydatki płatnika nie jest możliwe. W roku 2017 zgody na refundację alternatywnych produktów otrzymało 85 pacjentów z analizowanymi wskazaniami.

#### Główne argumenty decyzji

Stosowanie Carb Zero w deficycie transportera glukozy GLUT-1 oraz w padaczce lekoopornej powyżej 3 roku życia znajduje uzasadnienie w praktyce klinicznej i opiniach ekspertów. W chwili obecnej nie ma jednak uzasadnienia do jego zastosowania u dzieci poniżej 3 roku życia.

#### **Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2017 r., poz. 1938 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 zbadania zasadności wydawania zgody na refundację, raport nr OT.4311.5.2018, „Carb Zero we wskazaniach: padaczka lekooporna, deficyt transportera glukozy GLUT-1”, data ukończenia: 04 kwietnia 2018 oraz Erraty do opracowania na potrzeby Rady Przejrzystości nr OT.4311.5.2018.