



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 28/2018 z dnia 26 marca 2018 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego MCT Oil
w różnych wskazaniach

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację, w ramach importu docelowego, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego MCT Oil, płyn, butelka à 500 ml, we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, zespół jelitowej ucieczki białka, deficyt dehydrogenazy pirogronianu, deficyt CACT, deficyt CPT1, deficyt MTP, hipertrójglicerydemia, hipobetalipoproteinemia, niedobór lipazy, acyduria malonowa, zespół Alagille'a, zespół Miloroy'a, powikłania po zabiegach kardiochirurgicznych, pod warunkiem ograniczenia jego finansowania do populacji dziecięcej.

Uzasadnienie

Problem kliniczny

Deficyty LCHAD, MTP, VLCAD, CACT i CPT1 należą do zaburzenia spalania tłuszczów długołańcuchowych - objawy oraz ciężkość choroby wynikają z niemożności rozkładu i wykorzystania jako źródła energii tłuszczu, dostarczanego z pożywienia; schorzenia te charakteryzują się szerokim spektrum klinicznym występujących już w okresie noworodkowym, obejmujących m.in. kardiomiopatię, hipoglikemię, kwasicę metaboliczną, miopatię mięśni szkieletowych, neuropatię. Deficyt LCHAD należy w populacji polskiej do najczęściej ujawniających się klinicznie zaburzeń procesu oksydacji kwasów tłuszczowych (częstość występowania deficytu LCHAD oceniono na 0,8/10000 na terenie UE).

Deficyt dehydrogenazy pirogronianu - rzadka choroba neurometaboliczna charakteryzująca się szerokim spektrum objawów klinicznych, w tym metabolicznych i neurologicznych o różnym nasileniu PDH należy do chorób wymagających leczenia dietą ketogenną

Hipertrójglicerydemia, hipobetalipoproteinemia - schorzenia, w których dochodzi do wtórnych niedoborów średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych.

Zespół jelitowej ucieczki białka – schorzenie, w którym dochodzi do niedoborów kalorycznych; jest to zespół objawów klinicznych związanych z nadmierną



utratą białek osocza do światła jelita w wyniku zmian morfologiczno-czynnościowych naczyń chłonnych lub poprzez chorobowo zmienioną błonę śluzową.

Niedobór lipazy lipoproteinowej - rzadka choroba genetyczna powodująca gromadzenie tłuszczów we krwi.

Acyduria malonowa - bardzo rzadka choroba metaboliczna spowodowana niedoborem dekarboksylazy malonylo-CoA; opisano mniej niż 20 przypadków.

Zespół Alagille'a - opisywany jako przewlekła cholestaza, zwężenie tętnic płucnych, wady kręgosłupa, charakterystyczne wady wrodzone twarzy, zmiany w obrębie gałki ocznej, barwnikowe zwyrodnienie siatkówki, dysplazja nerek. Chorobowość ok. 1/70 tys. osób.

Zespół Milroy'a - częsta postać pierwotnego obrzęku limfatycznego, zazwyczaj objawiająca się bezbolesnym, przewlekłym obrzękiem limfatycznym nóg. Występuje przy urodzeniu lub w okresie noworodkowym.

Dowody naukowe

Wytyczne kliniczne zalecają, aby w deficycie LCHAD i VLCAD u niemowląt stosować specjalne mieszanki niskotłuszczowe wzbogacone MCT. Natomiast u starszych rekomenduje się dietę z ograniczeniem długołańcuchowych tłuszczów, zmodyfikowaną o MCT (mieszanki lub olej). W leczeniu deficytów CACT, CPT1; deficyt MTP/deficyt TFP konieczne jest przestrzeganie zakazu dłuższego przebywania na czczo (głodówki) oraz wprowadzenie diety o niskiej zawartości długołańcuchowych kwasów tłuszczowych i uzupełnionej średniołańcuchowymi kwasami tłuszczowymi (ang. medium-chain triglycerides, MCT).

W leczeniu enteropatii z utratą białka leczenie polega na leczeniu choroby podstawowej lub leczeniu żywieniowym, w tym m.in. wyeliminowaniu tłuszczów zawierających triglicerydy długołańcuchowe i zastosowanie preparatów zawierających triglicerydy średniołańcuchowe (gotowe diety przemysłowe, olej MCT).

W leczeniu deficytu dehydrogenazy pirogronianu terapia polega na suplementacji witaminy B1, karnityny i kwasu liponowego. Hipobetalipoproteinemia - Leczenie postaci umiarkowanej polega na redukcji propozycji tłuszczu w diecie i suplementacji witaminy E. Acyduria malonowa - Leczenie polega na diecie ubogiej w tłuszcze i bogatej w węglowodany. Stosuje się też suplementację karnityny. Zespół Alagille'a - Leczenie niespecyficzne, obejmujące dietę z wysoką zawartością węglowodanów i średniołańcuchowych trójglicerydów oraz suplementację witaminową.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z danymi otrzymanymi od Ministerstwa Zdrowia w latach 2016-2017 zgody na refundację produktu MCT Oil otrzymało 111 pacjentów, z czego najwięcej z deficytem LCHAD. Łączna liczba zrefundowanych opakowań

wyniosła 3093, gdzie kwota za opakowanie wynosiła 62,37 zł, natomiast łączna kwota za refundację wyniosła ok. 190 tys. zł, z czego ok. 127 tys. zł dotyczyło deficytu LCHAD.

Główne argumenty decyzji

Wszyscy eksperci wyrazili pozytywne opinie odnośnie do finansowania produktu MCT Oil zwracając uwagę na pozytywny efekt tej terapii. Konsultant Krajowa w dziedzinie pediatrii metabolicznej - Dr hab. n. med. Jolanta Sykut-Cegielska zaznaczyła jednak, że stosowanie MCT Oil powinno być finansowane w zaburzeniach spalania tłuszczów długołańcuchowych (jak deficyty LCHAD, MTP, VLCAD, CACT i CPT1), w chorobach wymagających leczenia dietą ketogenną (jak deficyt dehydrogenazy pirogronianu; PDH) oraz w schorzeniach, w których dochodzi do wtórnych niedoborów średnio-łańcuchowych kwasów tłuszczowych (jak hipertriglicydemia, hipobetalipoproteinemia) i niedoborów kalorycznych (jak zespół jelitowej ucieczki białka).

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.4311.6.2018, „MCT Oil”. Data ukończenia: 21 marca 2018 r.