



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 42/2018 z dnia 23 kwietnia 2018 roku  
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka  
spożywczego specjalnego przeznaczenia medycznego MCT Pepdite  
we wskazaniach: deficyt VLCAD, deficyt LCHAD

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia medycznego MCT Pepdite, proszek, opakowanie á 400 g, we wskazaniach: deficyt VLCAD, deficyt LCHAD, dla dzieci, które nie tolerują dostępnych w Polsce preparatów MCT i mają jednocześnie alergię na mleko krowie.*

### Uzasadnienie

#### Problem decyzyjny

*Deficyt dehydrogenazy 3-hydroksyacylo-koenzymu A długotańcuchowych kwasów tłuszczowych (LCHAD) należy w populacji polskiej do najczęściej ujawniających się klinicznie zaburzeń procesu oksydacji kwasów tłuszczowych. Deficyt LCHAD dziedziczy się w sposób autosomalny recesywny. Choroba ujawnia się zwykle w okresie niemowlęcym lub wczesnym dzieciństwie. Na obraz kliniczny niedoboru LCHAD składają się m.in.: niechęć do jedzenia, wymioty, hipoglikemia, hipotonia mięśniowa, niewydolność wątroby. Wg danych dostępnych na stronie orpha.net częstość występowania deficytu LCHAD wynosi 1/120 000 urodzeń w Polsce i 1/20 000 urodzeń na Pomorzu (na Kaszubach 1/17 000 żywych urodzeń).*

*Deficyt dehydrogenazy acylo-CoA kwasów tłuszczowych o bardzo długim łańcuchu (VLCAD) jest genetycznie i klinicznie podobny do deficytu LCHAD. Częstość występowania deficytu w Niemczech wynosi 1/50 000.*

#### Dowody naukowe

*Nie odnaleziono badań pierwotnych oraz wtórnych dotyczących zastosowania produktu MCT Pepdite w populacji pacjentów z deficytem VLCAD oraz deficytem LCHAD, jednakże odnaleziono bardzo nieliczne dane o skuteczności innych preparatów MCT (1 badanie klinicznie I fazy (MacDonald 2018), w którym 3 pacjentów z analizowanymi wskazaniem leczono naprzemiennie produktami Lipistart i Monogen, łącznie przez 21 dni oraz 5 opisów przypadków, w których pacjenci przyjmowali preparaty: Monogen, MCT Procal, Protagen oraz proszek*



zawierający MCT (badania: Van Eerd 2017, Sharef 2013, Zweers 2012, Ruiz-Sanz 2001, Brown-Harrison 1996).

W wytycznych klinicznych zalecane jest, aby w deficycie LCHAD i VLCAD stosować dietę niskotłuszczową o możliwie najmniejszej ilości długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (LCT), które powinny być zastąpione przez średniołańcuchowe kwasy tłuszczowe (MCT). Ponadto, wskazana jest dodatkowa suplementacja niezbędnych, nienasyconych kwasów tłuszczowych. W obu deficytach równie ważne są regularne posiłki i unikanie długich przerw między nimi.

U niemowląt należy stosować specjalne mieszanki niskotłuszczowe, wzbogacone MCT. Dzieci z LCHAD nie powinny być karmione mlekiem matki. W deficycie VLCAD u niemowląt dopuszcza się karmienie piersią, jednak dieta ta powinna być uzupełniona mieszankami zawierającymi MCT. U starszych dzieci rekomenduje się dietę z ograniczeniem tłuszczów, jak najniższą podażą LCT i suplementacją MCT (mieszanki lub olej).

#### Problem ekonomiczny

Na podstawie danych dotyczących refundacji w ramach importu docelowego produktu MCT Pepdite w okresie 01.2016–04.2018 przyjęto, że rocznie będzie nim leczonych w Polsce 3 pacjentów (180 opakowań produktu). Roczny koszt refundacji ocenianego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia medycznego oszacowano na ok. 25 tys. zł.

#### Główne argumenty decyzji

Dzieci z deficytem LCHAD i VLCAD wymagają suplementacji MCT, co potwierdzają zalecenia wielu towarzystw międzynarodowych. Produkt MCT Pepdite znajdzie zastosowanie u dzieci nietolerujących dostępnych w Polsce preparatów MCT (obecnie najczęściej stosowany jest Bebilon Pepti MCT) i białek mleka krowiego, jako alternatywa preparatu MCT Oil.

.....  
Wiceprzewodniczący Rady Przejrzystości

Prof. Piotr Szymański

#### **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.4311.14.2018 „MCT Pepdite we wskazaniach: deficyt VLCAD, LCHAD”. Data ukończenia: 18 kwietnia 2018 r.