



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 14/2019 z dnia 18 lutego 2019 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację żywności
specjalnego przeznaczenia medycznego L-Carnitine Crystalline
we wskazaniu: deficyt dehydrogenazy acylo-CoA
średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych (MCADD)

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne wydawanie zgód na refundację żywności specjalnego przeznaczenia medycznego L-Carnitine Crystalline, proszek o 1 mg, we wskazaniu: deficyt dehydrogenazy acylo-CoA średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych (MCADD).

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Minister Zdrowia zlecił zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację żywności specjalnego przeznaczenia medycznego L-Carnitine Crystalline we wskazaniu: deficyt dehydrogenazy acylo-CoA średnio-łańcuchowych kwasów tłuszczowych (MCADD). Produkt nie znajduje się w obrocie na terenie Rzeczypospolitej Polskiej. Choroba jest wrodzonym defektem mitochondrialnego utleniania kwasów tłuszczowych. Charakteryzuje się szybko postępującym załamaniem metabolicznym, które objawia się hipoglikemią hipoketotyczną, letargiem, wymiotami, drgawkami i śpiączką. Stan ten może doprowadzić do śmierci. Pierwsze objawy MCADD zwykle występują od 3 do 24 miesięcy po urodzeniu, u dzieci dotąd uważanych za zdrowe. Podstawą leczenia jest regularne żywienie i unikanie głodzenia.

Dowody naukowe

Nie odnaleziono randomizowanych badań klinicznych dotyczących stosowania L-karnityny u pacjentów z MCADD. Odnalezione dane są niskiej jakości i nie pozwalają na jednoznaczne ustalenie efektu terapeutycznego L-karnityny. Dodatkowo, w badaniach nad stosowaniem L-karnityny w MCADD pacjenci stosowali również inne leki i interwencje, co zakłócało wiarygodną ocenę efektu. Niepewność co do wnioskowania na temat ocenianej technologii potwierdza przegląd systematyczny Cochrane Collaboration z 2012 roku (Nasser 2012), w którym brak jest badań RCT. Autorzy sugerują, że z uwagi na brak dowodów wysokiej jakości, klinicyści powinni opierać swoje decyzje na doświadczeniu



klinicznym. Brak jest dowodów zarówno na skuteczność, jak i bezpieczeństwo karnityny, a także brak jest danych dotyczących dawki i częstotliwości jej stosowania. Podobne wnioski wysunęli autorzy przeglądu Walter 2003. Odnalezione dane kliniczne małych serii przypadków nie są jednoznaczne, jednak sugerują brak skuteczności L-karnityny w MCADD.

Rekomendacje międzynarodowych towarzystw (AHS 2018 i IDPH 2012) wymieniają karnitynę jako możliwą terapię osób z deficytem MCADD, w zależności od specyficznych zaburzeń. Wytyczne NHS 2016 wyszczególniają, iż zastosowanie L-karnityny w MCADD jest kontrowersyjne.

Problem ekonomiczny

Z powodu braku danych nie jest możliwe precyzyjne i wiarygodne oszacowanie kosztów związanych z refundacją żywności specjalnego przeznaczenia medycznego L-Carnitine Crystalline w ocenianym wskazaniu. Dobowy koszt stosowania w przeliczeniu na 1 kg masy ciała pacjenta mieści się, w zależności od dawkowania, w zakresie od 1,36 zł (15 mg/kg m.c.) do 9,07 zł (100 mg/kg m.c.). Przyjmując populację docelową na poziomie 40 pacjentów oraz skrajnie pesymistyczne założenia (dawkowanie: 100 mg/kg m.c.; masa ciała: 40 kg i stosowanie przez cały rok) koszty związane z refundacją L-Carnitine Crystalline mogą wynieść około 5,3 mln zł na rok.

Główne argumenty decyzji

Brak jest przekonujących dowodów naukowych na efektywność L-karnityny w MCADD.

Eksperti zwracają uwagę, że podstawowym leczeniem w MCADD jest stosowanie regularnych posiłków oraz unikanie przedłużonego głodzenia.

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 2018 r., poz. 1510, 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 oceny zasadności wydawania zgody na refundację, raport nr: OT.4311.35.2018 „L-Carnitine Crystalline we wskazaniu: deficyt dehydrogenazy acylo-CoA średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych (MCADD)”. Data ukończenia: 13.02.2019 r.