



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 131/2018 z dnia 17 grudnia 2018 roku

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Sphere we wskazaniu: dieta eliminacyjna w fenyloketonurii – skondensowany, porcjowany preparat oparty na glikomakropeptydach (GMP) w proszku, przeznaczony dla dzieci powyżej 4 r.ż., młodzieży, dorosłych oraz kobiet w ciąży

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją oceny środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego:

- *PKU Sphere 15 o smaku czerwonych owoców, proszek, 15 g, 27 g, kod EAN: 5060385940105,*
- *PKU Sphere 15 o smaku waniliowym, proszek, 15 g, 27 g, kod EAN: 5060385940112,*
- *PKU Sphere 20 o smaku czerwonych owoców, proszek, 20 g, 35 g, kod EAN: 5060014059840,*
- *PKU Sphere 20 o smaku waniliowym, proszek, 20 g, 35 g, kod EAN: 5060014059857,*

we wskazaniu: dieta eliminacyjna w fenyloketonurii – skondensowany, porcjowany preparat oparty na glikomakropeptydach (GMP) w proszku, przeznaczony dla dzieci powyżej 4 r.ż., młodzieży, dorosłych oraz kobiet w ciąży, w ramach nowej grupy limitowej i wydawania go za odpłatnością ryczałtową w aptecce na receptę, pod warunkiem obniżenia ceny co najmniej do [redacted] oraz dostosowania instrumentu podziału ryzyka do zaproponowanego sposobu refundacji.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Fenyloketonuria jest wrodzoną wadą związaną z zaburzeniem metabolizmu fenyloalaniny i należy w Polsce do chorób rzadkich (średnia częstość występowania wynosi ok. 1:7500 żywych urodzeń). Podstawą leczenia chorych na fenyloketonurię klasyczną jest dieta eliminacyjna niskofenyloalaninowa. W chwili obecnej refundowanych jest wiele środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego w tym wskazaniu. Zauważyć jednak należy,



że aktualnie refundowane preparaty są bezfenyloalaninowe, natomiast wnioskowana technologia byłaby pierwszym preparatem niskofenyloalaninowym. Podkreślić należy, że wnioskowaną technologię można stosować wymiennie z innymi podobnymi środkami spożywczymi w zależności od potrzeb pacjenta.

Dowody naukowe

Przedstawione dowody naukowe cechowały się niską jakością, nie zawierały danych długoterminowych i dotyczyły węższej populacji niż wnioskowana. Wyniki badań (Daly 2017, Ney 2016, Pinto 2017) wskazywały na wyższe przestrzeganie zaleceń dietetycznych, wyższy komfort spożywania preparatu, lepszy smak, teksturę i zapach, a niektóre również na korzystne zmiany poziomu fenyloalaniny i tyrozyny w grupie przyjmującej preparat. W badaniu oceniającym bezpieczeństwo nie zareportowano żadnego zdarzenia niepożądanego.

Problem ekonomiczny

Wyniki analizy ekonomicznej wskazują, że wnioskowana technologia w porównaniu z komparatorem [redacted] i jest technologią [redacted] bez względu na perspektywę, czy zastosowanie RSS. Analiza wpływu na budżet posiada liczne ograniczenia, ale wskazuje na możliwe [redacted]. Pozytywne rekomendacje refundacyjne odnaleziono tylko w jednym kraju. Produkt nie jest refundowany w krajach o zbliżonym do Polski PKB per capita.

Główne argumenty decyzji

Dostępne wyniki badań wskazują na ograniczone korzyści kliniczne ocenianej technologii. Ze względu na [redacted], należy dążyć do obniżenia ceny technologii co najmniej do [redacted] oraz dostosowania instrumentu podziału ryzyka do zaproponowanego sposobu refundacji.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 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 analizy weryfikacyjnej Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji nr: OT.4330.17.2018 „Wniosek o objęcie refundacją środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego PKU Sphere we wskazaniu: dieta eliminacyjna w fenylketonurii – skondensowany, porcjowany preparat oparty na glikomakropeptydach (GMP) w proszku, przeznaczony dla dzieci powyżej 4 r.ż., młodzieży, dorosłych oraz kobiet w ciąży”. Data ukończenia: 5 grudnia 2018 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Nestle Polska S.A.).

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem (Nestle Polska S.A.) o zakresie tajemnicy przedsiębiorcy.

Podstawa prawna wyłączenia jawności: art. 5 ust. 2 ustawy z dnia 6 września 2001 r. o dostępie do informacji publicznej (Dz. U. z 2016 r., poz. 1764 z późn. zm.) w zw. z art. 11 ust. 4 ustawy z dnia 16 kwietnia 1993 r. o zwalczaniu nieuczciwej konkurencji (Dz. U. z 2018 r., poz. 419).

Organ dokonujący wyłączenia jawności: Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji.

Podmiot w interesie którego dokonano wyłączenia jawności: (Nestle Polska S.A.).