



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 54/2019 z dnia 1 lipca 2019 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację żywności specjalnego przeznaczenia medycznego Monogen we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CACT, chłonnokotok (w tym stan po zabiegach kardiochirurgicznych), choroba Leśniowskiego-Crohna, mitochondrialna kardiomiopatia z deficytem kompleksu I łańcucha oddechowego, naczyńniakowatość limfatyczna jelita cienkiego

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację żywności specjalnego przeznaczenia medycznego Monogen, proszek, puszka á 400 g we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CACT, chłonnokotok (w tym stan po zabiegach kardiochirurgicznych), mitochondrialna kardiomiopatia z deficytem kompleksu I łańcucha oddechowego.

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne wydawanie zgód na refundację żywności specjalnego przeznaczenia medycznego Monogen, proszek, puszka á 400 g we wskazaniach: choroba Leśniowskiego-Crohna, naczyńniakowatość limfatyczna jelita cienkiego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Minister Zdrowia zlecił zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Monogen, proszek, puszka á 400 g we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CACT, chłonnokotok (w tym stan po zabiegach kardiochirurgicznych), choroba Leśniowskiego-Crohna, mitochondrialna kardiomiopatia z deficytem kompleksu I łańcucha oddechowego i naczyńniakowatość limfatyczna jelita cienkiego. Żywność specjalnego przeznaczenia medycznego Monogen nie znajduje się w obrocie na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej.

Zgodnie z danymi przekazanymi przez Ministra Zdrowia produkt ten był sprowadzany z zagranicy w ramach importu docelowego w wyżej wymienionych wskazaniach, a w okresie lipiec 2016-kwiecień 2019 wydano łącznie 103 zgody na refundację i sprowadzono łącznie 5380 opakowań. Monogen był oceniany przez AOTMiT w roku 2014 we wskazaniach deficyt



LCHAD i VLCAD i uzyskał pozytywne stanowisko Rady Przejrzystości oraz Rekomendację Prezesa Agencji.

Dowody naukowe

Dostępne są jedynie bardzo skromne dane kliniczne dotyczące wnioskowanych wskazań. W jednośrodkowym, badaniu klinicznym MacDonald 2018, przeprowadzonym w populacji dzieci z deficytami LCHAD, VLCAD oraz CACT wykazano podobną użyteczność produktu w wymienionych wskazaniach w porównaniu z produktem Lipistart, nie odnotowano nieprawidłowości w zapisie EEG, nie stwierdzono także różnic w zakresie parametrów biochemicznych.

Z kolei w prospektywnym, obserwacyjnym badaniu Izzard 2007 przeprowadzonym w populacji pacjentów z chłonnokotkiem wykazano, że stosowanie preparatu Monogen skutkuje wcześniejszym zamknięciem przetoki w porównaniu do pacjentów, którzy żywieni byli dietą o obniżonej zawartości długłańcuchowych kwasów tłuszczowych i jedynie suplementowaną Monogenem. Z kolei w retrospektywnym badaniu Cormack 2004, przeprowadzonym w populacji z chłonnokotkiem po zabiegu kardiochirurgicznym, odpowiedź na leczenie stwierdzono u 78% pacjentów żywionych Monogenem. Ponadto odnaleziono 8 opisów i serii przypadków we wskazaniach chłonnokotek (w tym stan po zabiegach kardiochirurgicznych) i deficyt VLCAD. Nie odnaleziono badań spełniających kryteria włączenia dla pozostałych wskazań.

Zgodnie z wytycznymi klinicznymi AKGE 2009, AGE 2010, BIMDG 2013/2017, EFNS 2011, EGE 2009, IDPH 2012 oraz PGE 2014 w leczeniu deficytów LCHAD, VLCAD i CACT zalecana jest dieta z ograniczeniem długłańcuchowych kwasów tłuszczowych (LCT), z jednoczesną suplementacją średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych (MCT). Natomiast w leczeniu chłonnokotku AGE 2010 oraz ACR 2016 wytyczne wskazują, że leczenie żywieniowe powinno obejmować dietę beztłuszczową lub o niskiej zawartości tłuszczu, a niemowlęta i małe dzieci mogą wymagać specjalistycznych preparatów zawierających duże ilości triglicerydów o średniej długości łańcucha (MCT).

Nie odnaleziono wytycznych dotyczących leczenia żywieniowego o zmodyfikowanej zawartości tłuszczów we wskazaniach: choroba Leśniowskiego-Crohna, mitochondrialna kardiomiopatia z deficytem kompleksu I łańcucha oddechowego, naczyńniakowatość limfatyczna jelita cienkiego.

W opinii ekspertów klinicznych preparat Monogen charakteryzuje się odpowiednim składem i wartością odżywczą dla zastosowania w postępowaniu dietetycznym w mitochondrialnych zaburzeniach spalania długłańcuchowych kwasów tłuszczowych takich jak: deficyt LCHAD/MTP, deficyt VLCAD czy deficyt CACT. U pacjentów, u których przeprowadza się próby leczenia dietą ketogenną

np. w mitochondrialnej kardiomiopatii z deficytem kompleksu I łańcucha oddechowego stosowanie preparatu Monogen może być uzasadnione w celu łatwiejszego skomponowania diety. Natomiast w przypadku chłonkotoku (w tym stan po zabiegach kardiochirurgicznych), chorobie Leśniowskiego-Crohna czy naczyniakowatości limfatycznej jelita cienkiego preparat Monogen może być przydatny, ale zasadność jego podawania powinna być rozważana indywidualnie u każdego pacjenta.

Problem ekonomiczny

Z powodu braku dokładnych danych o populacji docelowej nie jest możliwe precyzyjne i wiarygodne oszacowanie kosztów refundacji związanych z refundacją żywności specjalnego przeznaczenia medycznego Monogen w ocenianych wskazaniach.

W przedmiotowych wskazaniach w okresie lipiec 2016 – kwiecień 2019 sprowadzono łącznie 5 380 opakowań Monogenu na łączną kwotę ponad 1,6 mln zł netto.

Główne argumenty decyzji

Dostępne bardzo skromne dane kliniczne, wytyczne kliniczne i opinie ekspertów wskazują, że preparat Monogen może być użyteczny w długoterminowym postępowaniu dietetycznym u dzieci z deficytami LCHAD, VLCAD, CACT, jak również w chłonkotoku.

Brak jest danych dotyczących stosowania preparatu w innych wskazaniach wyszczególnionych we wniosku, jednakże zdaniem ekspertów może on służyć uzupełnieniu dietetycznemu we wszystkich przypadkach wymagających leczenia dietą ketogenną np. w mitochondrialnej kardiomiopatii z deficytem kompleksu I łańcucha oddechowego, może służyć jako źródło tłuszczu MCT w celu uzyskania pożądanego stosunku ketogenego, a także przejściowo w sytuacjach wymagających żywienia przez sondę dożołądkową lub stomię lub jako dodatkowy posiłek nocny w stanach niewyrównania metabolicznego lub niedożywienia.

.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości

Prof. Rafał Niżankowski

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 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby zbadania zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego, raport nr: OT.4311.6.2019 Monogen, proszek á 400 g we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CACT, chłonkotok (w tym

stan po zabiegach kardiochirurgicznych), choroba Leśniowskiego-Crohna, mitochondrialna kardiomiopatia z deficytem kompleksu I łańcucha oddechowego, naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego".
Data ukończenia: 27 czerwca 2019 r.