



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 4/2020 z dnia 13 stycznia 2020 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego Ketocal 3:1, Ketocal 4:1, Ketocal 4:1 LQ, Ketocal 4:1 LQ Multi Fibre sprowadzanych z zagranicy w ramach importu docelowego we wskazaniu: deficyt transportera glukozy GLUT-1

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego:

- Ketocal 3:1 (proszek 300 g),
- Ketocal 4:1 (proszek 300 g),
- Ketocal 4:1 LQ (płyn 200 ml),
- Ketocal 4:1 LQ Multi Fibre,

sprowadzanych z zagranicy w ramach importu docelowego, we wskazaniu: deficyt transportera glukozy GLUT-1.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zespół niedoboru transportera glukozy typu 1 (Glut1) to rzadkie genetyczne zaburzenie metaboliczne charakteryzujące się niedoborem proteiny transportującej glukozę przez barierę krew-mózg. Zaburzenie klasyfikowane jest jako encefalopatia padaczkowa, a jego najczęstszym objawem są drgawki (epilepsja), które zazwyczaj pojawiają się w ciągu pierwszych kilku miesięcy życia. Dodatkowo pojawiają się również zaburzenia ruchów ciała, opóźnienia rozwoju fizycznego i intelektualnego. Objawy i ciężkość choroby różnią się między poszczególnymi osobami. Dokładna częstość występowania zespołu niedoboru Glut1 jest nieznana. W Polsce szacuje się, że może obejmować ok. 20 dzieci, z tym, że częstość rozpoznań może wzrastać.

Osoby z zespołem niedoboru Glut1 nie odpowiadają na leczenie tradycyjnymi lekami przeciwpadaczkowymi, ale z sukcesami mogą być leczeni dietą ketogenną. Dieta ketogenna charakteryzuje się wysoką zawartością tłuszczu i niską węglowodanów oraz prawidłową dla wieku zawartością białka. Określa się w niej tzw. proporcję ketogeniczną (4:1, 3:1, 2:1), czyli wagowy stosunek



tłuszczu do łącznej ilości białek i węglowodanów. Różne preparaty Ketocalu są produktem kompletnym pod względem odżywczym o różnej proporcji tłuszczów i węglowodanów. Produkty wykorzystywane w diecie ketogennej nie są refundowane.

Dowody naukowe

Wytyczne kliniczne międzynarodowe i krajowe zalecają dietę ketogenną jako leczenie z wyboru w zespole deficytu transportera glukozy GLUT-1. Wszyscy konsultowani eksperci kliniczni wyrazili pozytywne opinie odnośnie finansowania produktów Ketocal zwracając uwagę na fakt, że dieta ketogenna stanowi leczenie z wyboru. Nie odnaleziono badań naukowych oceniających produkt Ketocal w deficycie transportera GLUT-1.

Produkt Ketocal w różnych proporcjach glikemicznych był już kilkakrotnie oceniany w AOTMiT i otrzymywał pozytywną opinię zarówno Rady Przejrzystości jak i Prezesa AOTMiT.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z danymi otrzymanymi od Ministerstwa Zdrowia w okresie styczeń - listopad 2019 roku, we wskazaniu deficyt transportera GLUT-1, zgody na refundację produktu Ketocal 3:1, Ketocal 4:1 oraz Ketocal 4:1 LQ otrzymało odpowiednio 5, 4 i 8 pacjentów, a liczba sprowadzonych puszek wynosiła łącznie odpowiednio: 476, 214, 50 opakowań (po 32 kartoniki). Żaden z pacjentów nie otrzymał w tym okresie preparatu Ketocal 4:1 LQ Multi Fibre.

W okresie styczeń – listopad 2019 r. wydatki związane z refundacją produktów Ketocal w ocenianym wskazaniu z perspektywy NFZ wyniosły ok. 289 tys. PLN, a z perspektywy pacjenta ok. 2 368 PLN (wynika to z opłaty ryczałtowej do opakowania jaką wnosi pacjent). Wydatki na produkty Ketocal stanowiły ok. 80% wszystkich kosztów związanych z importem z zagranicy środków spożywczych specjalnego przeznaczenia we wskazaniu: deficyt GLUT-1.

Główne argumenty decyzji

Leczeni dietą ketogenną, w tym preparatami Ketocal, u których rozpoczęto leczenie w okresie bardzo wczesnym, mogą odnieść istotne korzyści kliniczne objawiające się zmniejszeniem częstości napadów drgawkowych oraz poprawą rozwoju fizycznego i intelektualnego. Postępowanie zalecane jest przez międzynarodowe i krajowe wytyczne praktyki klinicznej. Niewielka liczebność populacji docelowej nie powinna stanowić nadmiernego obciążenia finansowego dla płatnika publicznego.

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 2019 r., poz. 1373 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 oceny zasadności wydawania zgody na refundację, raport nr: OT.4311.17.2019 „Ketocal 3:1, Ketocal 4:1, Ketocal 4:1 LQ, Ketocal 4:1 LQ Multi Fibre we wskazaniu: deficyt transportera glukozy GLUT-1”. Data ukończenia: 08 styczeń 2020 r.