



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 8/2020 z dnia 27 stycznia 2020 roku

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Mevalia PKU Motion we wskazaniu: fenyloketonuria

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne objęcie refundacją środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspz):

- *Mevalia PKU Motion Red Fruits 10, płyn, 30x70 ml, kod EAN: 8008698021323,*
- *Mevalia PKU Motion Red Fruits 20, płyn, 30x140 ml, kod EAN: 8008698021309,*
- *Mevalia PKU Motion Tropical 10, płyn, 30x70 ml, kod EAN: 8008698021286,*
- *Mevalia PKU Motion Tropical 20, płyn, 30x140 ml, kod EAN: 8008698015476,*
- *Mevalia PKU Motion Yellow Fruits 20, płyn, 30x140 ml, kod EAN: 8008698024331,*

we wskazaniu: fenyloketonuria, w ramach jednej grupy limitowej dla wszystkich preparatów stosowanych w fenyloketonurii u pacjentów powyżej 3 r.ż. i wydawanie ich za odpłatnością ryczałtową.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Fenyloketonuria (PKU, ang. phenylketonuria) jest wrodzoną chorobą metaboliczną (ICD-10: E70.0 – Klasyczna fenyloketonuria, wg Międzynarodowej Klasyfikacji Chorób i Problemów Zdrowotnych). Jest dziedziczona w sposób autosomalny recesywny. Spowodowana jest brakiem lub znacznym obniżeniem aktywności hydroksylazy fenyloalaninowej, enzymu warunkującego przemianę aminokwasu egzogenego fenyloalaniny (Phe, ang. phenylalanine) w tyrozynę. Konsekwencją tego zaburzenia jest nadmierne gromadzenie się Phe i fenyloketonów (hiperfenyloalaninemia, HPA) we krwi, płynach ustrojowych i innych tkankach prowadzące do nieodwracalnego uszkodzenia ośrodkowego układu nerwowego, manifestującego się upośledzeniem umysłowym i różnorodnymi zaburzeniami neurologicznymi.

Według danych NFZ liczba pacjentów (unikalne numery PESEL) ≥ 3 r.ż. z rozpoznaniem głównym lub współistniejącym wg ICD-10: E70.0 (klasyczna fenyloketonuria) wynosiła: 1 584 osób w 2017 r. i 1 613 osób w 2018 r. Spośród



pacjentów z fenylketonurią ogółem śsspż zrefundowano u 88% w 2017 r. i u 86% w 2018 r.

Wnioskowane wskazanie refundacyjne śsspż Mevalia PKU Motion jest wskazaniem węższym niż wskazanie rejestracyjne i obejmuje postępowanie dietetyczne w fenylketonurii. Wnioskodawca zaproponował utworzenie nowej grupy limitowej dla ocenianego śsspż. Nie zaproponowano instrumentu dzielenia ryzyka.

Dowody naukowe

W ramach przeglądu systematycznego nie odnaleziono badań klinicznych oceniających skuteczność preparatu Mevalia PKU Motion. Jedyne dostępne badanie –

[REDACTED]

[REDACTED]

Włączone do przeglądu wnioskodawcy badania dotyczące komparatorów są badaniami wyższej jakości niż badanie dotyczące ocenianej interwencji, ponadto przedstawiono w nich wyniki dotyczące skuteczności komparatorów. Jednakże niejednorodność badań, m.in. ze względu na różnicę w ocenianych punktach końcowych, uniemożliwiła porównanie interwencji wnioskowanej z wybranymi komparatorami czy nawet wiarygodne wnioskowanie w oparciu o zestawienie wyników.

Zestawienie składu ocenianej interwencji i komparatorów wykazało pewne różnice, z których część może mieć znaczenie dla tolerancji i skuteczności leczenia. Zdaniem Konsultanta Krajowego w dziedzinie pediatrii metabolicznej, pacjenci mogą odnieść pewne dodatkowe korzyści ze stosowania śsspż Mevalia PKU.

Problem ekonomiczny

Analiza minimalizacji kosztów wykazała, iż różnica między najtańszym a ocenianym preparatem wynosi [REDACTED].

Wyniki analizy wpływu na budżet wskazują [REDACTED] wydatków płatnika publicznego o ok. [REDACTED] w I roku refundacji i o ok. [REDACTED] w II roku refundacji śsspż Mevalia PKU Motion.

Główne argumenty decyzji

Ze względu na podobieństwo preparatu do innych, obecnych na rynku, Rada proponuje wspólną grupę limitową.

Rada uważa, iż należy odejść od dotychczasowego systemu tworzenia oddzielnych grup limitowych i wszystkie preparaty żywieniowe stosowane w fenylketonurii w analogicznej grupie wiekowej umieścić w jednej grupie limitowej.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie Stanowisko wydano na podstawie art. 35 ust. 1 pkt. 2 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 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.), z uwzględnieniem analizy weryfikacyjnej nr OT.4330.18.2019 „Wniosek o objęcie refundacją środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Mevalia PKU Motion we wskazaniu: Fenylketonuria”. Data ukończenia: 17 stycznia 2020 r.

KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy Dr. Schar AG/SPA.

Zakres wyłączenia jawności: dane objęte oświadczeniem Dr. Schar AG/SPA 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: Dr. Schar AG/SPA.