



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 17/2020 z dnia 10 lutego 2020 roku

w sprawie oceny środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego L-karnityna w ramach programu lekowego

„Leczenie uzupełniające L-karnityną we wskazaniach: 3

metylokrotonylo-glicynuria – MCG, acyduria glutarowa I – GA I, acyduria izowalerianowa – IVA, acyduria metylomalonowa – MMA, acyduria propionowa – PA, zaburzenia spalania długołańcuchowych kwasów tłuszczowych LC-FAOD, deficyt dehydrogenazy acylo-CoA średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych – MCADD, pierwotny deficyt karnityny – CUD, uogólniony deficyt odwodorowania – MADD (E 71.1, E 71.3, E 72.3)”

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne objęcie refundacją środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego L-karnityna, proszek, 50 x 1 g., kod EAN: 5016533045017, w ramach programu lekowego „Leczenie uzupełniające L-karnityną we wskazaniach: 3 metylokrotonylo-glicynuria – MCG, acyduria glutarowa I – GA I, acyduria izowalerianowa – IVA, acyduria metylomalonowa – MMA, acyduria propionowa – PA, zaburzenia spalania długołańcuchowych kwasów tłuszczowych LC-FAOD, deficyt dehydrogenazy acylo-CoA średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych – MCADD, pierwotny deficyt karnityny – CUD, uogólniony deficyt odwodorowania – MADD (E 71.1, E 71.3, E 72.3)”.*

#### Uzasadnienie

##### Problem decyzyjny

*W 2017 roku Rada negatywnie oceniła zasadność wydania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego L-Carnitine Cristalline we wskazaniach: 3-metylokrotonylo-glicynuria - MCC; acyduria glutarowa I - GA I; acyduria izowalerianowa - IVA; acyduria metylomalonowa - MMA; acyduria propionowa - PA; deficyt translokazy karnityny - CACT; deficyt transportera karnityny (pierwotny deficyt karnityny) – CUD. Powodem takiego stanowiska Rady była konstatacja, że dostępne dowody nie uzasadniały wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia*



żywnościowego L-Carnitine Cristalline w wyżej wymienionych wskazaniach. Dla żadnej jednostki chorobowej nie odnaleziono badań z najwyższych poziomów klasyfikacji dowodów naukowych. Uznano, iż dostępność tego rodzaju dowodów może być ograniczona, z uwagi na rzadkie rozpowszechnienie choroby w populacji, jednak dowody naukowe niższej rangi, tj. wyniki badań prospektywnych, retrospektywnych, opisów serii przypadków i opisów przypadków, są niskiej jakości i nie pozwalają na wiarygodne wnioskowanie o skuteczności ocenianej technologii.

Obecnie dokonany przegląd doniesień naukowych nie dostarcza, istotnych nowych dowodów na skuteczność i bezpieczeństwo kliniczne L-karnityny zarówno w poprzednio rozpatrywanych wskazaniach jak i dodatkowych ujętych w obecnym wniosku.

### Dowody naukowe

W większości źródłami informacji o skutkach klinicznych są opisy pojedynczych pacjentów lub serii przypadków. Z reguły brak informacji czy użyta L-karnityna była w postaci krystalicznie czystej. Dawkowanie zmieniano w czasie. L-karnityna była najczęściej stosowana w połączeniu z innymi preparatami aminokwasów, czasem z dietą eliminacyjną oraz leczeniem wspomagającym (w tym antybiotykami), suplementacją biotyną i innymi witaminami. Istnieje bardzo duża niepewność czy pozytywne wyniki można przypisywać suplementacji L-karnityną. Większość badań wskazywała na normalizację poziomu karnityny we krwi i zwiększenie wydalania szkodliwych metabolitów. Takie surowce nie pozwalają jednak na wyciąganie wniosków odnośnie istotnych punktów końcowych.

### Problem ekonomiczny

L-karnityna stosowana jest u chorych doustnie, jako uzupełniająca terapia środkiem spożywczym. L-karnityna dostępna jest powszechnie na rynku jako odżywka, której cena wynosi kilkanaście złotych za 100 g, tymczasem wniosek dotyczy refundacji L-karnityna, proszek, 50 x 1 g. o cenie [redacted]. Nie odnaleziono badań porównawczych mających określić ewentualne różnice w skuteczności i bezpieczeństwie stosowania obu postaci L-karnityny. W tej sytuacji Rada Przejrzystości dodatkowo nie znajduje uzasadnienia dla poparcia wniosku o finansowanie tak drogiego preparatu.

### Główne argumenty decyzji

*Brak przekonujących dowodów na skuteczność kliniczną w zakresie istotnych punktów końcowych stosowania L-karnityny w wielu wybranych wskazaniach.*

*Wysoka cena postaci krystalicznej [redacted]  
[redacted], przy braku badań porównawczych wykazujących jej przewagę kliniczną.*

### **Tryb wydania stanowiska**

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 opracowania nr: OT.4331.2.2020 „Wniosek o objęcie refundacją L-karnityny w ramach programu lekowego «Leczenie uzupełniające L karnityną we wskazaniach: 3-metylokrotonylo-glicynuria – MCG, acyduria glutarowa I – GA I, acyduria izowalerianowa – IVA, acyduria metylomalonowa – MMA, acyduria propionowa – PA, zaburzenia spalania długołańcuchowych kwasów tłuszczowych LC-FAOD, deficyt dehydrogenazy acylo-CoA średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych – MCADD, pierwotny deficyt karnityny – CUD, uogólniony deficyt odwodorowania – MADD (E 71.1, E 71.3, E 72.3)»”. Data ukończenia: 03.02.2020 r.

## KARTA NIEJAWNOŚCI

Dane zakreślone **kolorem żółtym** stanowią informacje publiczne podlegające wyłączeniu ze względu na tajemnicę przedsiębiorcy (Nutricia Polska Sp. z o.o.).

**Zakres wyłączenia jawności:** dane objęte oświadczeniem (Nutricia Polska Sp. z o.o.) 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:** (Nutricia Polska Sp. z o.o.).