



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 20/2020 z dnia 2 marca 2020 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Renastart
we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u noworodków
i niemowląt do 1 roku życia

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Renastart, proszek, puszka 400 g, we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u noworodków i niemowląt do 1 roku życia.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Problem dotyczy możliwości udzielania zgody Ministra Zdrowia na import docelowy preparatu Renastart we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u noworodków i niemowląt do 1. roku życia. Renastart jest to wysokoenergetyczny produkt z niską zawartością białek, wapnia, chlorku, potasu, fosforu i witaminy A. Zawiera białko serwatkowe, aminokwasy, węglowodany, tłuszcze, witaminy, składniki mineralne, pierwiastki śladowe i długołańcuchowe wielonienasycone kwasy tłuszczowe (LCP): kwas arachidonowy (AA) i dokozaheksaenowy (DHA).

W 2018 r. Rada Przejrzystości uznała za niezasadne wydawanie zgód na import docelowy leku w szerszej populacji (przewlekła niewydolność nerek u noworodków i dzieci do 10 r życia). W 2019 r. Rada uznała za niezasadne wydawanie zgód na import docelowy podobnego preparatu (Kinderegen). Również negatywne były rekomendacje Prezesa AOTMiT.

Dowody naukowe

Brak jest przekonujących dowodów skuteczności i bezpieczeństwa śsspż Renastart, także u noworodków i niemowląt do 1. roku życia w późnych stadiach przewlekłej choroby nerek. Jedyna publikacja pełnotekstowa opisuje przypadek 31 tygodniowego noworodka, u którego Renastart zapobiegał skutecznie hiperkaliemii (Keung 2017). Badanie Desloovere2014, przedstawione w formie plakatu konferencyjnego, dotyczyło skuteczności Renastartu w zwalczaniu hiperkaliemii u 18 noworodków i dzieci od 0 do 3,5 r.ż. (średnio 0,6 roku). Poster



konferencyjny (Armborst 2019) podsumował wyniki otwartego badania u 15 chorych dzieci do 10 r życia, bez grupy kontrolnej, prowadzonego w 3 ośrodkach niemieckich. Wykazano, że żywienie produktem Renastart jest dobrze tolerowane, nie raportowano zdarzeń niepożądanych, stężenie potasu, fosforu utrzymywało się w normie, pacjenci przybierali na masie ciała, a stężenie albuminy wzrastało.

Odnaleziono wytyczne 9 instytucji, zalecające utrzymanie odpowiedniego poziomu wapnia i fosforanów u dzieci i niemowląt z przewlekłą chorobą nerek. W wytycznych 3 towarzystw brytyjskich wskazano preparaty Renastart i Kindergen do stosowania u niemowląt z chorobami nerek w wieku 0-6 miesięcy, bez preferowania któregośkolwiek z nich (FSNT 2018, NUH-CRU 2018, CPD-BDA 2015). W wytycznych walijskich z 2014 r. (WN 2014) wymieniono preparat Renastart jako specjalistyczną mieszankę dla wcześniaków z niewydolnością nerek. W rekomendacjach europejskich (EPDWG 2012) i międzynarodowych (KDIGO 2017) nie odniesiono się do kwestii stosowania śsspż w PChN. W 2013 r. PBAC zarekomendował finansowanie Renastart, z maksymalną ilością 4-5 powtórzeń.

Dwoje ekspertów klinicznych powołanych przez AOTMiT opowiedziało się za refundacją Renastartu u dzieci z przewlekłą chorobą nerek. Do głównych argumentów stanowisk należały: wsparcie w zapobieganiu hiperkaliemii, powikłaniom kostnym, umożliwienie uzyskania odpowiedniego przyrostu masy ciała pacjenta, istotne uzupełnienie leczenia objawowego i przygotowanie do przeszczepienia nerki. Szczególną uwagę zwrócono na wysokie koszty oraz ograniczone możliwości stosowania innych opcji terapeutycznych, m.in. preparatów do hamowania wchłaniania fosforanów i potasu. Jeden z ekspertów wskazał, iż populację docelową powinna być przewlekła choroba nerek w stopniu G 4-5.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z danymi przekazanymi przez MZ, cena 1 opakowania preparatu Renastart, sprowadzonego w latach 2017-2019, wyniosła 222,20 zł, natomiast preparatu Kindergen, bez zawartości kwasów tłuszczowych, 160,16 zł. Zgodnie z oszacowaniami analityków Agencji, średni roczny koszt leczenia preparatem Renastart 1 pacjenta wynosi 10 128,62 PLN, natomiast preparatem Kindergen – 10 588,36 PLN. Finansowanie preparatu Renastart w ramach importu docelowego w ocenianej populacji liczącej około 55 pacjentów może wiązać się z wydatkami płatnika publicznego na poziomie ok. 557 tys. PLN rocznie, natomiast finansowanie preparatu Kindergen na poziomie 582 tys. PLN rocznie.

Główne argumenty decyzji

Brak jest przekonujących dowodów na skuteczność śsspż Renastart (poprawa stanu odżywienia i wzrostu, wydłużenie czasu do rozpoczęcia dializ itp.). Dwa

badania u 15-18 chorych), wskazujące na skuteczność Renastartu w kontrolowaniu kaliemii i fosfatemii, przedstawiono tylko w formie abstraktu (Desloovere 2014, Armborst 2019. W Polsce dostępne są leki obniżające stężenie potasu i fosforu.

Według opinii powołanych przez AOTMiT ekspertów, Renastart powinien być refundowany u dzieci, w celu normalizacji kaliemii i fosfatemii oraz poprawienia bilansu energetyczno-białkowego i przygotowania do transplantacji nerki (osiągnięcia masy ciała ≥ 8 kg).

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2019 r., poz. 1373 z późn. zm.) oraz w zw. 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 nr: OT.4311.2.2020 „Renastart we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u noworodków i niemowląt do 1. roku życia”. Data ukończenia: 26 lutego 2020 r.

Inne wykorzystane źródła danych:

1. Opinia eksperta przedstawiona w trakcie posiedzenia Rady Przejrzystości.