

Rekomendacja nr 32/2020

z dnia 15 lipca 2020 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie objęcia refundacją środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Renastart we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u dzieci w wieku od 1. do 4. roku życia

Prezes Agencji rekomenduje wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego:

- Renastart, proszek, puszka á 400 g,

we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u dzieci w wieku od 1. do 2. roku życia oraz
we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u dzieci w wieku od 2 do 4. roku życia
w przypadku kontynuacji stosowania produktu Renastart rozpoczętego przed 2 rokiem życia.

Uzasadnienie rekomendacji

Prezes Agencji, biorąc pod uwagę dostępne dowody naukowe, wytyczne kliniczne oraz stanowisko Rady Przejrzystości, uznaje za zasadne finansowanie ze środków publicznych produktu RenaStart we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u dzieci w wieku od 1. do 2. roku życia oraz we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u dzieci w wieku od 2 do 4. roku życia w przypadku kontynuacji stosowania produktu Renastart rozpoczętego przed 2 rokiem życia.

W ramach analizy klinicznej odnaleziono badania, które wskazują na możliwe korzyści wynikające z zastosowania ocenianego preparatu w populacji opisanej ww. wskazaniem i dotyczące m. in. normalizowania poziomu potasu oraz zwiększania masy ciała dzieci. W procesie oceny wzięto pod uwagę, że odnalezione badania stanowią ograniczone źródło informacji dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa preparatu RenaStart ze względu na ich metodologię oraz brak typowych pełnotekstowych publikacji. Niemniej, zważono także, że odnalezione dowody naukowe stanowią najlepsze dowody naukowe odnalezione w procesie analizy i oceny preparatu RenaStart. Ponadto, potencjalne korzyści kliniczne mają szczególnie istotne znaczenie w populacji noworodków i niemowląt do 1 roku życia z PNN, gdyż w ww. populacji możliwości normalizowania poziomu potasu oraz zwiększania masy ciała do wartości koniecznych przy kwalifikacji do transplantacji nerek są ograniczone.

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 m. in. preparat Renastart do stosowania u niemowląt z chorobami nerek w wieku 0-6 miesięcy (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.

Zgodnie z opiniami ekspertów zastosowanie mieszanki dietetycznej w ww. populacji może przynieść najwięcej korzyści (uzyskanie adekwatnego przyrostu masy ciała, pozwalającego na zakwalifikowanie dzieci do transplantacji nerki oraz poprawa rozwoju fizycznego). Według opinii ekspertów szczególną uwagę w procesie oceny zwrócono na wysokie koszty oraz ograniczone możliwości stosowania innych opcji terapeutycznych.

W niniejszej rekomendacji wzięto także pod uwagę istotne kryterium zapewnienia konieczności kontynuacji terapii do 4 roku życia w przypadku osób, które rozpoczęły stosowanie Renastart przed ukończeniem 2 roku życia i u których utrzymują się korzyści ze stosowania terapii i przewyższają ryzyko jej stosowania.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspż):

- Renastart, proszek, puszka á 400 g,

we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u dzieci w wieku od 1. do 4. roku życia, na podstawie art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. z 2019 r. poz. 1373 z późn. zm.).

Problem zdrowotny

Przewlekła choroba nerek (PChN) (przewlekła niewydolność nerek, ICD-10: N18) zgodnie z definicją KDIGO (*Kidney Disease Improving Global Outcome*) to utrzymujące się > 3 miesięcy nieprawidłowości strukturalne lub czynnościowe nerek niosące konsekwencje dla zdrowia pacjenta. PChN jest klasyfikowana głównie na podstawie przyczyny, kategorii GFR (przesączanie kłębuszkowe, G1-G5) oraz albuminurii (wskaźnik zwiększonej przepuszczalności bariery, A1-A3). Obecnie nie używa się powszechnie określenia „przewlekła niewydolność nerek” (PNN), gdyż odnosi się ono do kategorii G3-G5 PChN. Kategoria G5 to schyłkowa niewydolność nerek (SNN) lub mocznica.

Przewlekła choroba nerek wpływa na wiele układów, w tym na układ wydzielania wewnętrznego (przemiana wapniowo-fosforanowa, wzrost), krwiotwórczy, odpornościowy oraz sercowo-naczyniowy. U dzieci z PChN skutek procesu chorobowego (z takich powodów jak jadłowstręt, nudności i wymioty w przebiegu mocznicy, a także nieprawidłowe odczuwanie smaku) dochodzi do zaburzeń odżywiania i niedoborów białka. Szczególnie małe dzieci, o niskiej masie ciała, potrzebują odpowiedniej podaży kalorii w celu zapewnienia wzrostu oraz podaży białka umożliwiającej utrzymanie równowagi azotowej i zachowanie beztłuszczowej masy ciała. Niekiedy osoby chore mogą wymagać dodatkowego żywienia przez zgłębnik nosowo-gardłowy lub gastrostomię. Dzieje się tak, jeśli odżywianie doustne nie zapewnia wzrostu oraz osiągnięcia właściwej masy ciała. Ponieważ podczas dializowania dochodzi do utraty wielu witamin i składników mineralnych, dzieci leczone tą metodą wymagają uzupełniania witamin w diecie, zwłaszcza kwasu foliowego, witamin z grupy B oraz pierwiastków śladowych.

Zachorowalność roczna na PChN wynosi około 150/milion. Ekstrapolowana chorobowość w Polsce wynosi 4-5 mln (1,5 – 2 mln w kategorii G3). Częstość występowania PChN wśród dzieci w wieku poniżej 16 lat wynosi 1,5-3 na 1 000 000. W Europie zachorowalność dla ostatniego stadium choroby nerek u dzieci <1. roku wynosi 9-16/milion/rok, czyli prawie dwukrotnie więcej niż dla całej populacji pacjentów w wieku 0-15 lat.

Alternatywna technologia medyczna

Według odnalezionych wytycznych klinicznych w ocenianym wskazaniu zaleca się wdrożenie odpowiedniego postępowania dietetycznego oraz zastosowanie specjalistycznych mieszanek.

Zdaniem ekspertów klinicznych do terapii alternatywnych należą: stosowanie restrykcji dietetycznych (dieta niedoborowa oparta na mleku krowim i mieszankach mlecznych, dieta z niską zawartością potasu i fosforanów), stosowanie dedykowanych preparatów mlecznych, stosowanie „wiązaczy” fosforanów w przewodzie pokarmowym w postaci tabletek czy „wiązaczy niewapniowych” np. chlorowodoru sewelameru oraz doraźnie żywic jonowymiennych.

Ponadto, zarówno niektóre z odnalezionych wytycznych klinicznych, jak i eksperci kliniczni, wśród technologii alternatywnych wymieniają produkt Kindergen, który ma podobny skład i wskazanie do preparatu Renastart. Natomiast główne różnice pomiędzy produktami stanowią brak w składzie preparatu Kindergen długołańcuchowych wielonienasyconych kwasów tłuszczowych, niezbędnych do rozwoju siatkówki i mózgu oraz fakt, że preparat Kindergen w przeciwieństwie do Renastart jest wskazany jako jedyne źródło żywienia.

Mając na uwadze wytyczne kliniczne oraz opinie ekspertów, jak również fakt, że produkt Kindergen ma podobny skład i wskazanie do ocenianego preparatu, jako komparator dla produktu Renastart przyjęto produkt Kindergen.

Opis wnioskowanego świadczenia

RenaStart (100 g) 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). 100 g produktu dostarcza: 477 kcal, 7,5 g białka, 60 g węglowodany (4 g cukry), tłuszcze 23 g.

Preparat jest zalecany do stosowania w dietetycznym postępowaniu w niewydolności nerek u dzieci od narodzin do 10. roku życia oraz u dzieci od 1. roku życia. Dawkowanie należy stosować zgodnie z zaleceniem lekarza lub dietetyka, przy uwzględnieniu wieku, masy ciała i stanu zdrowia pacjenta.

Reasumując, wnioskowane wskazanie obejmuje przewlekłą niewydolność nerek u dzieci w wieku od 1. do 4. roku życia i zawiera się we wskazaniu przedstawionym przez producenta w ulotce informacyjnej dla pacjenta.

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

Ocena ta polega na zebraniu danych o konsekwencjach zdrowotnych (skuteczność i bezpieczeństwo) wynikających z zastosowania nowej terapii w danym problemie zdrowotnym oraz innych terapii, które w danym momencie są finansowane ze środków publicznych i stanowią alternatywne leczenie dostępne w danym problemie zdrowotnym. Następnie ocena ta wymaga określenia wiarygodności zebranych danych oraz porównania wyników dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa nowej terapii względem terapii już dostępnych w leczeniu danego problemu zdrowotnego.

Na podstawie powyższego ocena skuteczności i bezpieczeństwa pozwala na uzyskanie odpowiedzi na pytanie o wielkość efektu zdrowotnego (zarówno w zakresie skuteczności, jak i bezpieczeństwa), którego należy oczekiwać względem nowej terapii w porównaniu do innych rozważanych opcji terapeutycznych.

W ramach oceny skuteczności i bezpieczeństwa stosowania preparatu Renastart odnaleziono:

- Armborst 2020 - abstrakt konferencyjny przedstawiający wyniki obserwacyjnego, wielośrodkowego (trzy niemieckie ośrodki w Bonn, Essen i Kolonii), otwartego badania bez grupy kontrolnej. Do badania włączono 12 pacjentów w wieku ≤ 10 lat z przewlekłą chorobą nerek (CKD, ang. *chronic kidney disease*). Okres obserwacji wynosił 16 tygodni.

Skuteczność kliniczna i praktyczna

W ramach abstraktu konferencyjnego Armborst 2020 przedstawiono wyniki dla 9 z 12 pacjentów włączonych do badania, u których raportowane wszystkie zaplanowane w badaniu wizyty. W odniesieniu do 3 pozostałych pacjentów - 2 nie spełniło kryteriów włączenia, zaś 1 został wykluczony z obserwacji w związku z poddaniem go dializie otrzewnowej w 8 tyg. Badania.

Zgodnie z informacjami dotyczącymi charakterystyki pacjentów na początku badania (*Baseline*):

- u żadnego z pacjentów na początku badania nie raportowano hiperkaliemii;
- 5/9 pacjentów miało poziom potasu w normie, u 4/9 pacjentów raportowano podwyższony poziom potasu;

Po 16 tyg. obserwacji:

- raportowano stabilizację średnich wartości potasu, fosforu i BUN wśród pacjentów;
- odnotowany przyrost masy ciała był adekwatny do wieku pacjentów;
- poziom albumin istotnie wzrósł;
- karmienie doustne oraz przez rurkę produktem Renastart oceniono jako dobrze tolerowane;
- smak produktu i zmiany dawkowania były akceptowane przez pacjentów;
- żywienie śsspż Renastart kontynuowano u większości pacjentów również po zakończeniu badania.

Autorzy publikacji wskazali, że śsspż Renastart w kombinacji z mlekiem matki, standardową mieszanką dla niemowląt i / lub pokarmem stałym był skuteczny i bezpieczny w stosowaniu wśród dzieci z przewlekłą chorobą nerek. Poziom potasu utrzymywał się w normie i nie było potrzeby stosowania terapii obniżających potas. Podkreślono, że wymagane jest ścisłe monitorowanie stanu odżywienia pacjentów oraz regularne dostosowywanie dawki produktu.

Bezpieczeństwo

Zgodnie z wynikami przedstawionymi w ramach abstraktu Armborst 2020 po 16 tyg. obserwacji u pacjentów nie raportowano zdarzeń niepożądanych.

Dodatkowe informacje dot. bezpieczeństwa

Na stronach organizacji monitorujących bezpieczeństwo leczenia (m.in. Urząd Rejestracji Produktów Leczniczych, Wyrobów Medycznych i Produktów Biobójczych - URPL; Europejska Agencja Leków ang. European Medicines Agency – EMA) nie zidentyfikowano żadnych informacji skierowanych do osób wykonujących zawody medyczne, dotyczących bezpieczeństwa stosowania ocenianego Renastart.

Eksperti kliniczni w swoich opiniach również powoływali się na dowody naukowe dotyczące skuteczności i bezpieczeństwa stosowania produktu Renastart. Niemniej jednak należy zaznaczyć, iż większość z tych doniesień naukowych nie spełnia kryteriów włączenia do przeglądu systematycznego Agencji w ramach niniejszej analizy. Natomiast pozostałe publikacje cytowane przez ekspertów klinicznych zostały uwzględnione w analizie Agencji:

- Publikacja KDOQI 2008 została uwzględniona w ramach opisu rekomendacji i wytycznych klinicznych.

- Plakat konferencyjny Armborst 2019 został uwzględniony w uprzedniej analizie Agencji, dotyczącej oceny produktu Renastart we wskazaniu przewlekła niewydolność nerek u dzieci do 1 r.ż. Badanie obejmowało 15 pacjentów w wieku poniżej 10. r.ż. z przewlekłą niewydolnością nerek z dietą niskobiałkową i dostosowanym poborem elektrolitów, w szczególności potasu. Badanie prowadzono w trzech niemieckich ośrodkach leczenia. Wyniki podawano dla 8. i 16. tygodnia okresu obserwacji. W posterze konferencyjnym wskazano, że żywienie produktem Renastart jest dobrze tolerowane (brak szczegółowych wyników), nie raportowano zdarzeń niepożądanych, stężenie potasu, fosforu i albumin utrzymywało się w normie¹⁰ (zarówno w baseline jak i w 8. i 16. tygodniu obserwacji), ponadto pacjenci przybierali na masie, przy czym poziom albumin wzrastał. Poziom mocznika azotu (BUN) w 8. i 16. tygodniu obserwacji w porównaniu do baseline był wyższy (w każdym punkcie obserwacji poziom BUN był powyżej normy⁶). Nie raportowano różnic istotnych statystycznie w żadnym ocenianym punkcie końcowym.

Ponadto w ramach uprzednich ocen produktu Renastart w analizach Agencji uwzględniono także publikację Keung 2017 (opis przypadku zastosowania preparatu Renastart u 31-tygodniowego niemowlęcia z niewydolnością nerek poddawanego dializie otrzewnowej) oraz publikację Desloovere 2014 (badanie, w którym stosowano 5sspż Renastart u dzieci z hiperkaliemią). Wyniki przedstawione we wszystkich odnalezionych publikacjach pozostają spójne.

Ograniczenia analizy

Głównym ograniczeniem analizy jest brak wysokiej jakości dowodów naukowych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo stosowania produktu Renastart u dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek. Odnaleziono jedynie kilka doniesień naukowych z niższych poziomów wiarygodności według wytycznych HTA (Armborst 2020 – abstrakt konferencyjny oraz Desloovere 2014 – plakat konferencyjny).

Dodatkowo, wnioskowane wskazanie obejmuje dzieci w wieku od 1. do 4. roku życia, natomiast przedstawione doniesienia naukowe obejmowały populację szerszą niż wnioskowana, tj. dzieci do 10 r.ż. Należy zaznaczyć, że w odnalezionych publikacjach brak jest szczegółowych danych nt. wieku uczestników. Ponadto publikacje włączone do analizy dotyczą małych populacji (kilka, kilkanaście pacjentów).

Ekspertów jako istotne klinicznie punkty końcowe w ocenianym wskazaniu wskazywali m.in.: przyrost masy i długości ciała (o 10-20%), szybszy rozwój psychomotoryczny, hamowanie rozwoju osteodystrofii mocznicowej, kwalifikację do przeszczepienia nerki (skrócenie okresu oczekiwania na przeszczepienie o 3-6 miesięcy), redukcję hiperkaliemii i hiperfosfatemii. Natomiast w odnalezionych badaniach brak jest precyzyjnych danych liczbowych odnośnie raportowanych punktów końcowych.

Należy także podkreślić fakt, że w rejestrze badań [clinicaltrials.gov \(https://ichgcp.net/es/clinical-trials-registry/\)](https://ichgcp.net/es/clinical-trials-registry/) odnaleziono 1 badanie: NCT02825784 *A Multicenter Study to Evaluate the Nutritional Suitability of Renastart (Renastart)* dotyczące ocenianego preparatu. Ze szczegółowego opisu metodyki badania wynika, że jest to wieloośrodkowe (3 ośrodki w Niemczech), otwarte, niekontrolowane badanie w celu oceny tolerancji i skuteczności odżywczej środka spożywczego Renastart (VitaFlo International Ltd) prowadzone wśród dzieci od narodzin do 10. roku życia z przewlekłą chorobą nerek (N=15). Niemniej jednak dotychczas nie opublikowano żadnych opracowań pełnotekstowych z wynikami dotyczącymi analizowanych pacjentów, pomimo, że datę zakończenia badania NCT02825784 odnalezionego w rejestrze badań przewidziano na maj 2019 r.

Warto zaznaczyć, że dla preparatu Kindergen, stanowiącego komparator dla ocenianej technologii i będącego przedmiotem oceny Agencji w 2019 r., również nie odnaleziono dowodów naukowych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo jego stosowania u dzieci z przewlekłą niewydolnością

nerek. Tym samym brak jest dowodów naukowych umożliwiających porównanie ocenianej technologii z komparatorem.

Konkludując, wnioskowanie o skuteczności i bezpieczeństwie stosowania śsspż Renastart u dzieci w wieku od 1. do 4. roku życia z przewlekłą niewydolnością nerek na podstawie dostępnych dowodów naukowych obarczone jest niepewnością.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Ocena ekonomiczna polega na oszacowaniu i zestawieniu kosztów i efektów zdrowotnych, jakie mogą wiązać się z zastosowaniem u pojedynczego pacjenta nowej terapii zamiast terapii już refundowanych.

Koszty terapii szacowane są w walucie naszego kraju, a efekty zdrowotne wyrażone są najczęściej w zyskanych latach życia (LYG, life years gained) lub w latach życia przeżytych w pełnym zdrowiu (QALY, quality adjusted life years) wskutek zastosowania terapii.

Zestawienie wartości dotyczących kosztów i efektów związanych z zastosowaniem nowej terapii i porównanie ich do kosztów i efektów terapii już refundowanych pozwala na uzyskanie odpowiedzi na pytanie, czy efekt zdrowotny uzyskany u pojedynczego pacjenta dzięki nowej terapii wiąże się z wyższym kosztem w porównaniu do terapii już refundowanych.

Uzyskane wyniki wskaźnika kosztów-efektów zdrowotnych porównuje się z tzw. progiem opłacalności, czyli wynikiem, który sygnalizuje, że przy zasobności naszego kraju (wyrażonej w PKB) maksymalny koszt nowej terapii, która ma wiązać się z uzyskaniem jednostkowego efektu zdrowotnego (1 LYG lub 1 QALY) w porównaniu do terapii już dostępnych, nie powinien przekraczać trzykrotności PKB per capita.

Aktualnie próg opłacalności zł wynosi 147 024 zł (3 x 49 008 zł).

Wskaźnik kosztów-efektów zdrowotnych nie szacuje i nie wyznacza wartości życia, pozwala jedynie ocenić i m. in. na tej podstawie dokonać wyboru terapii związanej z potencjalnie najlepszym wykorzystaniem aktualnie dostępnych zasobów.

Zgodnie z danymi przekazanymi przez Ministerstwo Zdrowia w latach 2017-2020 wydano łącznie 25 zgód na sprowadzenie produktu leczniczego Renastart w ramach importu docelowego dla od 2 do 4 pacjentów rocznie (unikalne nr PESEL we wnioskach). W analizowanym okresie sprowadzono łącznie 943 opakowania produktu Renastart na łączną kwotę netto 209 534,60 PLN. W przypadku komparatora tj. produktu Kindergen w tym samym okresie sprowadzono 1 640 opakowań za łączną kwotę 262 662,40 PLN.

Ceny jednostkowe preparatów Renastart oraz Kindergen według informacji przekazanych przez Ministerstwo Zdrowia to „średnie ceny netto sprzedaży leku do apteki”, które wynoszą odpowiednio 222,20 PLN dla Renastart (za opakowanie, puszka á 400 g) i 160,16 PLN dla Kindergen (za opakowanie, puszka á 400 g).

Mając na uwadze powyższe oszacowano średni roczny koszt leczenia 1 pacjenta preparatem Renastart, który wynosi 17 461,22 PLN, zaś w przypadku produktu Kindergen – 26 266,24 PLN. Oszacowana wartość jest ilorazem średniej rocznej wartości zgód na refundację oraz średniej rocznej liczby unikalnych PESEL we wnioskach z lat 2017-2020.

Ograniczenia analizy

Należy podkreślić, że rzeczywisty średni roczny koszt leczenia 1 pacjenta preparatami Renastart i Kindergen może się różnić od wskazanych powyżej wartości w zależności od rzeczywistej ceny preparatów Kindergen i Renastart oraz liczby pacjentów wnioskujących o wydanie zgody na ich refundację w trybie art. 39 ustawy o refundacji.

Wskazanie czy zachodzą okoliczności, o których mowa w art. 13 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. 2019 poz. 784.)

Jeżeli analiza kliniczna wnioskodawcy nie zawiera randomizowanych badań klinicznych dowodzących wyższości leku nad technologiami medycznymi dotychczas refundowanymi w danym wskazaniu, to urzędowa cena zbytu leku musi być skalkulowana w taki sposób, aby koszt stosowania leku wnioskowanego do objęcia refundacją nie był wyższy niż koszt technologii medycznej o najkorzystniejszym współczynniku uzyskiwanych efektów zdrowotnych do kosztów ich uzyskania.

Nie dotyczy.

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia, w tym wpływu na budżet płatnika publicznego

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia składa się z dwóch istotnych części.

Po pierwsze, w analizie wpływu na budżet płatnika, pozwala na oszacowanie potencjalnych wydatków związanych z finansowaniem nowej terapii ze środków publicznych.

Szacunki dotyczące wydatków związanych z nową terapią (scenariusz „jutro”) są porównywane z tym ile aktualnie wydajemy na leczenie danego problemu zdrowotnego (scenariusz „dziś”). Na tej podstawie możliwa jest ocena, czy nowa terapia będzie wiązać się z koniecznością przeznaczenia wyższych środków na leczenie danego problemu zdrowotnego, czy też wiąże się z uzyskaniem oszczędności w budżecie płatnika.

Ocena wpływu na budżet pozwala na stwierdzenie, czy płatnik posiada odpowiednie zasoby na finansowanie danej technologii.

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia w drugiej części odpowiada na pytanie jak decyzja o finansowaniu nowej terapii może wpłynąć na organizację udzielania świadczeń (szczególnie w kontekście dostosowania do wymogów realizacji nowej terapii) oraz na dostępność innych świadczeń opieki zdrowotnej.

W celu oszacowania wpływu finansowania preparatu Renastart w ramach importu docelowego na wydatki płatnika publicznego przyjęto następujące założenia:

- zgodnie z opinią eksperta klinicznego założono, że maksymalna liczebność populacji docelowej wyniesie 90 pacjentów rocznie.
- według danych Ministerstwa Zdrowia nt. liczby wydanych zgód na refundację preparatów Renastart i Kindergen w latach 2017-2020, przyjęto, że średni roczny koszt stosowania ww. produktów na jednego pacjenta wynosi 17 461,22 PLN w przypadku Renastart oraz 26 266,24 PLN w przypadku Kindergen.

Mając na uwadze powyższe, wydatki płatnika publicznego na finansowanie preparatu Renastart w ramach importu docelowego w ocenianej populacji oszacowano na poziomie ok. 1,6 mln PLN rocznie, natomiast finansowanie preparatu Kindergen na poziomie 2,4 mln PLN rocznie.

Ograniczenia analizy

Należy podkreślić, że na podstawie dostępnych danych nie jest możliwe wiarygodne oszacowanie wielkości wydatków na refundację, a otrzymane wyniki należy traktować z ostrożnością. Powyższe obliczenia mają charakter poglądowy, a przyjęte założenia cechują się wieloma ograniczeniami. Rzeczywista kwota refundacji może się znacząco różnić – w zależności od rzeczywistej ceny preparatów Renastart i Kindergen oraz liczby pacjentów wnioskujących o wydanie zgody na ich refundację w trybie art. 39 ustawy o refundacji.

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Uwagi do zapisów programu lekowego

Nie dotyczy.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Przedmiotem analizy racjonalizacyjnej jest identyfikacja mechanizmu, którego wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wysokości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z podjęcia pozytywnej decyzji o refundacji wnioskowanej technologii medycznej.

Analiza racjonalizacyjna jest przedkładana jeżeli analiza wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wykazuje wzrost kosztów refundacji.

Nie dotyczy.

Omówienie rekomendacji wydawanych w odniesieniu do ocenianej technologii

W toku wyszukiwania odnaleziono następujące wytyczne kliniczne odnoszące się do postępowania w ocenianym wskazaniu:

- Nottingham University Hospitals - Children's Renal Unit - NUH-CRU 2018;
- Kidney Disease Improving Global Outcomes - KDIGO 2017;
- Clinical Paediatric Dietetics - British Dietetic Association - CPD-BDA 2015;
- Kidney Disease Outcomes Quality Initiative - KDOQI 2008;
- Kidney Health Australia - Caring for Australasians with Renal Impairment - KHA-CARI 2005.

Oceniany produkt Renastart został wymieniony jako preparat do żywienia dzieci z chorobami nerek w wytycznych brytyjskich z 2015 r. (CPD-BDA 2015). Wskazano, że produkty Kindergen i Renastart, są preparatami o niskiej zawartości fosforanów i potasu odpowiednimi dla dzieci z chorobami nerek, przy czym nie podniesiono kwestii preferowania któregośkolwiek z nich.

W większości wytycznych zaznaczono, że w przypadku dzieci z niewydolnością nerek należy szczególnie monitorować poziomy fosforanów i wapnia (NUH-CRU 2018, KDIGO 2017, CPD-BDA 2015), zapewnić odpowiednią podaż energetyczną oraz poprawić i utrzymać przyrost masy ciała i wzrost odpowiedni dla wieku (KDOQI 2008, KHA-CARI 2005). W wytycznych jednogłośnie zaznaczano, że leczenie należy prowadzić w połączeniu z zaleceniami dietetycznymi i / lub odpowiednią suplementacją.

Częściej produkt Renastart wymieniany był wśród wytycznych dotyczących noworodków i niemowląt do 1 r.ż.

Rekomendacje refundacyjne

W wyniku wyszukiwania odnaleziono jedną rekomendację dotyczącą finansowania ocenianego śsspż. W 2013 r. Pharmaceutical Benefits Advisory Committee pozytywnie zarekomendował produkt RenaStart. W rekomendacji wskazano, że produkt jest przeznaczony do stosowania w populacji niemowląt lub małych dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek wymagających leczenia dietą z niską zawartością białka i fosforu lub z niską zawartością białka, fosforu i potasu.

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 05.05.2020 r. Ministra Zdrowia (znak pisma: PLD.46434.7188.2019.AD), odnośnie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego RenaStart, proszek, puszka 400 g we wskazaniu przewlekła niewydolność nerek u noworodków i niemowląt do 1 roku życia, sprowadzane z zagranicy w oparciu o art. 29a ust. 5 ustawy z dnia 25 sierpnia 2006 r. o bezpieczeństwie żywności i żywienia (Dz.U. z 2019 r., poz. 1252 z późn. zm.), na podstawie art. 31e ust. 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 związku z art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz.U. 2020 poz. 357),

po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości nr nr 32/2020 z dnia 1 czerwca 2020 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego RenaStart we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u dzieci w wieku od pierwszego do czwartego roku życia.

PREZES

dr n. med. Roman Topór-Mądry

/dokument podpisany elektronicznie/

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr nr 32/2020 z dnia 1 czerwca 2020 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego RenaStart we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u dzieci w wieku od pierwszego do czwartego roku życia
2. Raport nr OT.4311.7.2020 „Renastart we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u dzieci w wieku od 1. do 4. roku życia ”. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację. Data ukończenia: 27.05.2020 r.