



Rada **Przejrzystości**

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

**Stanowisko Rady Przejrzystości
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**

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne 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 pierwszego do czwartego roku życia.

Jednocześnie, Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Renastart, proszek, puszka á 400 g, we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek stadium 4/5 u dzieci w wieku od 1. do 2. roku życia.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

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 (PNN) u noworodków i dzieci do 10 r życia). W 2019 r Rada uznała za niezasadne wydawanie zgód na import docelowy podobnego preparatu (Kinderegen) w tej populacji. Również negatywne były rekomendacje Prezesa AOTMiT. W 2020 r, po pozytywnej opinii Rady Przejrzystości, Prezes AOTMiT rekomendował wydawanie zgód na import z zagranicy Renastartu dla dzieci do 1 roku życia.

Dowody naukowe

Brak jest przekonujących dowodów skuteczności i bezpieczeństwa ŚSSPŻ Renastart u małych dzieci, ale opublikowany opis przypadku (Keung 2017) oraz 3 abstrakty konferencyjne, w tym 2 Armbrorst 2019 i 2020, wskazywały na skuteczność preparatu w zapewnianiu odpowiedniego wzrostu masy ciała



i stężenia albuminy we krwi oraz zapobieganiu hiperkaliemii i hiperfosfatemii u małych dzieci z PNN. Dotychczas nie opublikowano wyników badania obserwacyjnego w 3 niemieckich ośrodkach, pomimo że datę zakończenia badania przewidziano na maj 2019 r.

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 PNN, gdyż stosowanie go umożliwia osiągnięcie warunków fizycznego rozwoju, pozwalającego na transplantację nerki. Jeden z nich wskazał, że populacją docelową powinna być przewlekła choroba nerek w stopniu G 4-5.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z danymi otrzymanymi od Ministerstwa Zdrowia, w latach 2017-2020 zgody na refundację ŚSSPŻ Renastart otrzymało od 3 do 12 pacjentów z ocenianym wskazaniem (PNN) u dzieci w wieku od 1. do 4. roku życia).

Zgodnie z danymi przekazanymi przez MZ średnia cena 1 opakowania preparatu Renastart, wynosiła 222,20 PLN. Maksymalną, oszacowaną populację docelową prof. Tkaczyk ocenił na –ok. 90 pacjentów. W latach 2017- 2020 średni roczny koszt leczenia jednego pacjenta preparatem Renastart wynosi 17461,22PLN, natomiast podobnym preparatem Kindergen –26266,24 PLN. W populacji liczącej około 90 pacjentów, import Renastartu może wiązać się z wydatkami płatnika publicznego na poziomie ok. 1,6 mln PLN rocznie, natomiast finansowanie preparatu Kindergen na poziomie 2,4 mln PLN rocznie.

Główne argumenty decyzji

Wprawdzie brak jest przekonujących dowodów na działanie Renastartu, ale według nielicznych doniesień i opinii powołanych przez AOTMiT ekspertów, preparat powinien być refundowany u dzieci z PNN, w celu normalizacji kaliemii i fosfatemii oraz poprawienia bilansu energetyczno-białkowego, umożliwiającego przygotowania dziecka do transplantacji nerki.

Ponieważ do transplantacji nerki dziecko musi mieć co najmniej 8 kg, poszerzenie populacji do 2 roku życia jest zasadne i nie będzie zbyt dużym obciążeniem

dla budżetu. Wydłużenie wieku do 4 lat, przy braku przekonujących dowodów naukowych, Rada uznała za bezzasadne, gdyż w Polsce są dostępne leki obniżające stężenie potasu i fosforu we krwi. Jeden z ekspertów wskazał, że populację docelową powinny stanowić dzieci ze stadium 4/5 przewlekłej choroby nerek.

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 2020 r., poz. 357) 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 nr: OT.4311.7.2020 „Renastart we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u dzieci w wieku od 1. do 4. roku życia „, data ukończenia: 27 maja 2020 r.