



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 71/2020 z dnia 5 października 2020 roku  
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka  
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego MCT Oil  
we wskazaniach: padaczka lekooporna w deficycie transportera  
GLUT-1

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego MCT Oil, płyn, butelka à 500 ml, we wskazaniach: padaczka lekooporna w deficycie transportera GLUT-1.*

### Uzasadnienie

#### Problem decyzyjny

*Padaczka oporna na leczenie dotyczy ok. 20-30% chorych. Następstwami odpornej padaczki są utrata niezależności, zaburzenie funkcji intelektualnych oraz większa możliwość wystąpienia objawów neurotoksycznych. Zespół niedoboru transportera glukozy typu 1 (GLUT-1) jest to rzadkie, genetyczne zaburzenie metaboliczne, charakteryzujące się niedoborem białka, które umożliwia transport glukozy przez barierę krew-mózg, co powoduje padaczkę lekooporną. Osoby z zespołem niedoboru GLUT-1 nie odpowiadają na leczenie tradycyjnymi lekami przeciwpadaczkowymi, ale mogą być z powodzeniem leczone dietą ketogenną.*

#### Dowody naukowe

*Dotyczą głównie skuteczności diety ketogennej w padaczce lekoopornej. Brak jest danych, dotyczących grupy chorych z zespołem niedoboru GLUT-1, ale potwierdzono skuteczność diety ketogennej w odpornej padaczce.*

*W badaniu Lambrechts 2017, po 4 miesiącach obserwacji, u 10% (3/29) pacjentów z grupy diety ketogennej odnotowano brak napadów padaczkowych, a u 34% (10/29) odnotowano ich redukcję (o  $\geq 50\%$ ).*

#### Problem ekonomiczny

*W 2019 roku wydano zgody na sprowadzenie MCT Oil, w ramach importu docelowego, dla 9 pacjentów pediatrycznych (6 pacjentów we wskazaniu*



*padaczka lekooporna; 3 pacjentów we wskazaniu deficyt transportera GLUT-1), a koszt 1 opakowania produktu wyniósł 57,49 zł.*

*Główne argumenty decyzji*

- *Jest to jedyne skuteczne leczenie w padaczce towarzyszącej tej rzadkiej chorobie.*
- *Wszystkie wytyczne rekomendują dietę ketogenną w tym wskazaniu.*
- *Małe obciążenie dla budżetu.*

**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. 1398) 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 2020 r., poz. 357, z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4311.10.2020 „MCT Oil we wskazaniach: padaczka lekooporna, deficyt transportera glukozy GLUT-1”, data ukończenia: 30 września 2020 r.