



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości

nr 285/2020 z dnia 26 października 2020 roku

w sprawie utworzenia odrębnej grupy limitowej dla każdego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego stosowanego w fenyloketonurii

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne utworzenie odrębnej grupy limitowej dla każdego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego stosowanego w fenyloketonurii.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Fenyloketonuria (PKU) jest schorzeniem z grupy wrodzonych wad metabolizmu, powodującym zwiększone stężenie fenyloalaniny we krwi, toksyczne w mózgu. Fenyloketonurii nie leczy się przyczynowo, ale można zapobiec wystąpieniu objawów i następstw tej choroby. Aktualne leczenie polega na utrzymywaniu ścisłej kontroli metabolicznej za pomocą diety o małej zawartości fenyloalaniny, co wymaga stosowania specjalnych produktów żywieniowych. Następstwem nieleczzonej fenyloketonurii może być niedorozwój umysłowy, małogłowie, opóźnienie rozwoju mowy, drgawki, wypryski, zaburzenia zachowania oraz wiele innych.

Zgodnie z obowiązującym obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 21 października 2020 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. Urz. Min. Zdrow. poz. 60) analizowane produkty są refundowane w ramach listy A2 w ramach 21 grup limitowych. Wyjątek stanowi grupa 216.10 (preparaty Milupa i Comida) oraz 216.21 (PKU Express 15 i PKU Express 20). Od 1.09.2020 r. w grupie limitowej 216.10 refundowane są trzy prezentacje preparatu Comida. Podstawę limitu stanowi preparat Comida PKU B formuła Strawberry. Zatem proponowana zmiana sprowadza się do utworzeniu odrębnej grupy limitowej dla środków specjalnego przeznaczenia żywieniowego Milupa PKU 2 mix, Comida PKU B formuła oraz Comida PKU B formuła Chocolate/Strawberry.

Stosownie do przepisów ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, do grupy



limitowej kwalifikuje się środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego o tych samych wskazaniach lub przeznaczeniu oraz podobnej skuteczności. Natomiast po zasięgnięciu opinii Rady Przejrzystości, opierającej się w szczególności na porównaniu wielkości kosztów uzyskania podobnego efektu zdrowotnego lub dodatkowego efektu zdrowotnego, dopuszcza się tworzenie odrębnej grupy limitowej dla środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, jeżeli zawartość składników odżywczych w istotny sposób wpływa na efekt zdrowotny lub dodatkowy efekt zdrowotny.

Dowody naukowe

W wyniku przeprowadzonego przeglądu nie odnaleziono badań spełniających kryteria włączenia dla wnioskowanych technologii, jak i technologii alternatywnych. W ramach opracowania, przygotowanego wcześniej przez Agencję, przedstawiono natomiast cztery dokumenty z wytycznymi: polskie Instytutu Matki i Dziecka 2015, amerykańskie ACMG 2016 oraz europejskie E.S.PKU 2017 i uzupełnienie 2020. Wszystkie wskazują, że podstawowym sposobem postępowania w grupie pacjentów z PKU jest dostosowanie poziomu spożycia fenyloalaniny w ciągu dnia oraz zastępowanie białka w żywności konwencjonalnej, które zostało usunięte z diety, z uwagi na listę produktów niezalecanych i zabronionych w fenyloketonurii, bezpiecznym lub wolnym od fenyloalaniny białkiem, zwanym białkiem syntetycznym, mieszanką/suplementem aminokwasów lub substytutem białka. Substytuty białka są wolne od fenyloalaniny lub zawierają jej ograniczoną ilość, zapewniając przy tym minimalne rekomendowane spożycie.

Analiza wartości spożywczej preparatów Milupa PKU 2 mix i Comida PKU B formuła wskazuje na pewne różnice w zakresie wartości energetycznej oraz zawartości tłuszczu, białka, kwasu linolowego i cukrów prostych, a także witamin C i D, kwasu foliowego i pantotenowego oraz fluoru, molibdenu i L-karnityny. Mimo zauważalnych rozbieżności można uznać, że preparaty pod względem realizacji potrzeb odżywczych u dzieci są podobne, udział i znaczenie w dziennej racji pokarmowej tych produktów jest zbliżone i wymagają zbilansowania diety z wykorzystaniem żywności konwencjonalnej.

Różnica w zestawieniu składu poszczególnych produktów widoczna jest w realizacji zapotrzebowania na witaminy C i D, preparat Milupa nie realizuje zapotrzebowania (73%), z kolei Comida może w wariancie maksymalnym realizować 163% zapotrzebowania na witaminę C. Odmienna sytuacja dotyczy witaminy D, której zapotrzebowanie może być niemal pokrywane przez preparat Milupa, Comida maksymalnie dostarcza 47% dziennego zapotrzebowania. Mając na uwadze, że uzupełnianie diety u dzieci z fenyloketonurią prowadzone jest w oparciu o warzywa i owoce zawartość witaminy C nie powinna budzić obaw, ponieważ z wysokim prawdopodobieństwem potrzeby zostaną

zrealizowane, natomiast Witamina D zwyczajowo powinna być suplementowana w pełnej rekomendowanej ilości we wszystkich grupach wiekowych. W związku z powyższym można uznać, że rozbieżności w zawartości witamin nie są klinicznie istotne.

Zważywszy na specyfikę choroby, spowodowanej wadliwie działającym lub niedziałającym w ogóle enzymem, przyjęto za standard postępowania unikanie i ograniczanie substratów, które u większości osób są metabolizowane i przekształcane do względnie bezpiecznych produktów.

Problem ekonomiczny

Wpływ na wydatki NFZ mogłyby mieć jedynie zmiany w grupie 216.10 (produkty Milupa i Comida) i 216.21 (produkty PKU Express 15 i PKU Express 20). Dopłata pacjenta do produktów w pozostałych grupach jest równa wartości ryczałtu i nie uległaby zmianie po podziale grup limitowych. Trzeba jednak zaznaczyć, że zmniejszenie dopłaty pacjenta do produktów PKU Express 15 wymagałoby podziału grupy 216.21 ze względu na wielkość opakowania, czego nie przewiduje ustawa refundacyjna. Oznacza to, że jedynym powodem zmiany wydatków NFZ mógłby być podział grupy 216.10. Należy jednak zwrócić uwagę na fakt, że podstawą limitu w grupie 216.10 jest produkt smakowy, który może być stosowany od 3 r.ż. Wiąże się to z koniecznością dopłaty w przypadku dzieci od 1 do 3 r.ż., które muszą stosować preparat neutralny – 14,47 zł w przypadku Comida oraz 129,85 zł w przypadku Milupa.

Wydatki NFZ na refundację produktów znajdujących się obecnie w grupie 216.10 w scenariuszu istniejącym wynoszą 2,36 mln zł rocznie, a w scenariuszu nowym 2,70 mln zł. Wydatki inkrementalne wynoszą 347 tys. zł rocznie. Wydatki NFZ na refundację produktów w grupie 216.10 wyniosły 3,50 mln zł w 2019 roku i 1,87 mln zł w okresie od stycznia do czerwca 2020 roku (odpowiada 3,74 mln zł rocznie). Należy zwrócić uwagę, że powyższe oszacowania zakładają dostęp pacjentów do preparatów Comida.

W dodatkowym scenariuszu zakładającym osobne grupy limitowe dla wszystkich produktów Comida uzyskano zbliżone wyniki. Wydatki NFZ w scenariuszu nowym wynoszą 2,73 mln zł, a wydatki inkrementalne 371 tys. zł.

Główne argumenty decyzji

Proponowana zmiana sprowadza się do utworzeniu odrębnej grupy limitowej dla środków specjalnego przeznaczenia żywieniowego Milupa PKU 2 mix, Comida PKU B formula oraz Comida PKU B formula Chocolate/Strawberry.

Mimo zauważalnych rozbieżności można uznać, że preparaty pod względem realizacji potrzeb odżywczych u dzieci są podobne, udział i znaczenie w dziennej racji pokarmowej tych produktów jest zbliżone i wymagają zbilansowania diety z wykorzystaniem żywności konwencjonalnej.

Rada zwraca uwagę na fakt, że dla dzieci w wieku 1-3 lat obecne regulacje nie zapewniają dostępności możliwości zakupu ryczałtowej żywności bez dopłaty powyżej 3,20 PLN.

Brak dostępności na rynku środków żywieniowych będących podstawą wyznaczenia limitu powoduje wielokrotne zwiększenie kosztów koniecznej terapii żywieniowej u chorych na PKU. Ta sytuacja zdaniem Rady powinna być podstawą do usunięcia niedostępnego środka żywieniowego z grupy limitowej poprzez uchylene decyzji administracyjnej o objęciu refundacją, z powodu niedotrzymania zobowiązania w zakresie zapewnienia ciągłości dostaw lub rocznej wielkości dostaw lub niezaspokojenia potrzeb świadczeniobiorców. Zdaniem Rady nie ma natomiast uzasadnienia dla tworzenia odrębnych grup limitowych dla preparatów, których charakterystyka jest w praktyce bardzo zbliżona, ze względu na niedostępność tego z nich, który stanowił dotąd podstawę do ustalenia ceny.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 15 ust. 3 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 357, z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 1398), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4320.32.2020 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności utworzenia odrębnej grupy limitowej dla każdego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego dostępnego w aptece na receptę stosowanego w fenyloketonurii”, data ukończenia: 23 października 2020 r.