



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 76/2021 z dnia 14 czerwca 2021 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Keyo
we wskazaniach: padaczka lekooporna, deficyt transportera glukozy
GLUT-1, deficyt dehydrogenazy pirogronianu

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Keyo, emulsja doustna, we wskazaniach: padaczka lekooporna, deficyt transportera glukozy GLUT-1, deficyt dehydrogenazy pirogronianu, podtrzymując poprzednie stanowisko.

Uzasadnienie

Problem kliniczny

Częstość padaczki i zespołów padaczkowych w populacji dziecięcej poniżej 13 roku życia wynosi 5,3-8,8 na 1 000 dzieci, z czego padaczka oporna na leczenie (tzn. po potwierdzonej nieskuteczności dwóch wcześniejszych prób leczenia farmakologicznego) dotyka ok. 20-30% chorych. Zespół niedoboru transportera glukozy typu 1 (Glut1) i zespół deficytu dehydrogenazy pirogronianu to rzadkie, genetyczne zaburzenia metaboliczne, które charakteryzują się postępującymi zaburzeniami neurologicznymi, a w dalszej kolejności opóźnieniem w rozwoju. Brak szczegółowych danych epidemiologicznych dotyczących ocenianych jednostek chorobowych, ale szacuje się, że na padaczkę lekooporną choruje w Polsce ok. 21-60 tys. dzieci, natomiast liczba dzieci z deficytem GLUT-1 i deficytem dehydrogenazy pirogronianu wynosi ok. 20 osób (dla każdego wymienionego zespołu).

Jedną z uznanych metod leczenia w ocenianych wskazaniach jest dieta ketogenna. Preparat Keyo w postaci kremu stanowi alternatywę dla obecnie dostępnych w Polsce produktów mających zastosowanie w diecie ketogennej (w postaci płynnej lub proszku do przygotowania napoju).

Dowody naukowe

Wyniki badań naukowych i wytyczne praktyki klinicznej wskazują na istotną skuteczność diety ketogennej stosowanej w leczeniu padaczki lekoopornej i zespołów metabolicznych objętych zakresem wniosku, natomiast nie odnaleziono żadnego badania dotyczącego preparatu Keyo w ocenianych



wskazaniach. Zidentyfikowano jedynie informację o zarejestrowaniu badania klinicznego (ale bez podania wyników) dotyczącego produktu Keyo wśród pacjentów od 3 roku życia z padaczką trudną do leczenia lub zespołem deficytu transportera glukozy, będących na diecie ketogenicznej. Podmiot odpowiedzialny dostarczył do Agencji wyniki nieopublikowanego dotychczas badania, którego wyniki wskazywały na zmianę poziomu ketonów we krwi po 7 dniach stosowania produktu Keyo oraz łatwość w stosowaniu. Nie zaobserwowano poważnych działań niepożądanych, a jedynie łagodne i przemijające objawy ze strony układu pokarmowego.

W odnalezionych 12 wytycznych praktyki klinicznej zaleca się dietę ketogeniczną w padaczce lekoopornej, a w 6 wytycznych dietę ketogeniczną jako leczenie z wyboru w deficycie białka transportującego glukozę oraz deficycie dehydrogenazy pirogronianowej. Autorzy jednej wytycznej, wydanej przez producenta ocenianego preparatu, zalecają produkt Keyo do stosowania w diecie ketogenicznej w padaczce lekoopornej oraz chorobach neurometabolicznych, np. zespole niedoboru transportera glukozy. Przy aktualizacji wytycznych odnaleziono 8 zaleceń dot. diety ketogenicznej w omawianych wskazaniach, z czego w 7 odniesiono się do stosowania diety ketogenicznej w padaczce dziecięcej, w 5 do chorób neurometabolicznych.

Ze względu na fakt, iż w ramach obecnego zlecenia nie dokonano zmian analizowanych wskazań, nie zwrócono się z prośbą o opinie eksperckie. Eksperci kliniczni, poprzednio ankietowani przez Agencję, popierają finansowanie ze środków publicznych stosowanie ś.s.s.p.ż. Keyo w ramach diety ketogenicznej w ocenianych wskazaniach. Jednocześnie podkreślają, że produkt Keyo jest produktem gotowym do spożycia, dobrze akceptowanym przez dzieci pod względem tekstury i smaku, a stosowanie diety ketogenicznej, w tym preparatu Keyo, może przyczynić się do zmniejszenia liczby i/lub dawek leków przeciwpadaczkowych oraz zmniejszenia częstości hospitalizacji u pacjentów z padaczką lekooporną. Zdaniem ekspertów preparat powinien być refundowany u dzieci powyżej 3 r.ż., jako produkt umożliwiający urozmaicenie posiłków w diecie ketogenicznej w ocenianych wskazaniach, szczególnie w sytuacjach: niechęci do spożywania tłustych posiłków, obniżonego apetytu, trudności z karmieniem, podczas chodzenia do przedszkola, szkoły, podróży, czy choroby dziecka lub opiekuna.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z informacjami przedstawionymi we wcześniejszym opracowaniu nr OT.4311.10.2017, średnia cena zbytu netto za saszetkę 100 g śsspż Keyo w 2018 r. wynosiła 24,68 zł (ok. 1 184,64 zł za opakowanie 48 x 100 g), a w 2021 roku to 1 403,25 zł za opakowanie, czyli obecnie preparat jest droższy.

W 2017 r. sprowadzono łącznie 1 158 opakowań jednostkowych śsspż Keyo na łączną kwotę refundacji wynoszącą 28 576,04 zł netto dla 11 pacjentów z analizowanymi wskazaniami. Podana kwota nie zawiera VATu, marży hurtowej oraz marży detalicznej produktu ani dopłaty świadczeniobiorców.

W 2020 r. kwota refundacji wzrosła do 378 877,50 zł (uwzględniono marżę hurtową), a zgody na refundację Keyo otrzymało 89 pacjentów (unikalne nr PESEL) w ocenianych wskazaniach.

Główne argumenty decyzji

Dieta ketogenna jest uznaną klinicznie i potwierdzoną naukowo metodą leczenia padaczki lekoopornej oraz zespołów neurometabolicznych, a śsspż Keyo wydaje się być wartościową technologią, ułatwiającą stosowanie tej diety. Postać i walory smakowe warunkują jego wysoką akceptowalność przez dzieci, co ułatwia bilansowanie posiłków zwłaszcza u dzieci uczęszczających do przedszkola, szkoły, albo przebywających w podróży. Dotychczasowe dane, dotyczące stosowania preparatu Keyo oraz środków alternatywnych, pozwalają przypuszczać, że obciążenie płatnika publicznego, związane z refundacją wnioskowanego środka, nadal nie będzie nadmierne.

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 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 2021 r., poz. 523), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego wydawania zgody na refundację nr: OT.4211.16.2021 (Aneks do opracowania nr: OT.4311.10.2017) „Keyo we wskazaniach: padaczka lekooporna; deficyt transportera glukozy GLUT-1; deficyt dehydrogenazy pirogronianu”, data ukończenia: 09.06.2021 r.