



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 110/2021 z dnia 13 września 2021 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację
Lorenzo's Oil we wskazaniu: adrenoleukodystrofia

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Lorenzo's Oil we wskazaniu: adrenoleukodystrofia, u pacjentów bez lub z minimalnymi zmianami w obrazie rezonansu magnetycznego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Niniejsze stanowisko dotyczy wydawania zgód na import docelowego leku: Lorenzo's Oil we wskazaniu: adrenoleukodystrofia.

Rada Przejrzystości i Prezes Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w 2018 r. wydali pozytywne rekomendacje w sprawie zasadności wydania zgód na refundację w ramach importu docelowego Lorenzo's Oil we wskazaniu: adrenoleukodystrofia, w subpopulacji bezobjawowych pacjentów bez lub z minimalnymi zmianami w obrazie rezonansu magnetycznego. Opinia dotyczy aktualizacji i ponownej oceny tej technologii w tym wskazaniu.

Dowody naukowe

Nie odnaleziono nowych badań, czy wytycznych klinicznych odnośnie stosowania Lorenzo's Oil opublikowanych od czasu wydania ostatniej opinii Rady Przejrzystości. Należy jednak podkreślić, że adrenoleukodystrofia jest chorobą ultraradką, o niejednorodnym przebiegu klinicznym.

Wszystkie odnalezione wcześniej badania, były badaniami niekontrolowanymi i dotyczyły pacjentów z różnym stopniem zaawansowania choroby, oraz obrazem fenotypowym. Wyniki przeprowadzonej analizy w jednoramiennym badaniu Ahmed 2016 (104 pacjentów- bezobjawowych chłopców z X-ALD), wykazały, że każdy wzrost stężenia o 1 mg/l kwasu erukowego i stężenia kwasów C26:0 w osoczu były związane odpowiednio z nieistotną statystycznie redukcją o 3,7% i zwiększeniem o 753% ryzyka wystąpienia nieprawidłowości w obrazie MRI (NS (odpowiednio: $p=0,5344$; $p=0,1509$)). Autorzy analizy wskazali, że podawanie oleju Lorenza znacząco obniża nieprawidłowo wysokie stężenie C26:0 w osoczu.



Problem ekonomiczny

W 2020 roku wydano zgody na refundację dla 27 pacjentów na łączną kwotę 934 565 zł netto, tym samym wpływ na budżet płatnika jest niewielki.

Główne argumenty decyzji

- Wykazano, że podawanie Lorenzo's Oil powoduje obniżenie zbyt wysokiego poziomu bardzo długo łańcuchowych kwasów tłuszczowych (ang. very long chain fatty acids – VLCFA), co może przynieść korzyści w postaci opóźnienia rozwoju choroby u pacjentów bez zmian patologicznych w obrazie MRI mózgu i objawów neurologicznych;
- Niewielki wpływ na budżet płatnika.

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 2021 r., poz. 1285, 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.4211.29.2021 (Aneks do opracowania nr: OT.4311.24.2018) „Lorenzo's Oil we wskazaniu: adrenoleukodystrofia”; Data ukończenia: 7.09.2021 r.