



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 130/2021 z dnia 22 listopada 2021 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego
EAA Supplement we wskazaniu: hiperamonemia

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego EAA Supplement, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej, saszetki 12,5 g, we wskazaniu: hiperamonemia, sprowadzanego z zagranicy w ramach importu docelowego.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Hiperamonemia jest definiowana jako stężenie amoniaku w osoczu $>50 \mu\text{mol/l}$ ($>100 \mu\text{mol/l}$ u noworodków). Hiperamonemia odnosi się do wrodzonych deficytów enzymów uczestniczących w cyklu moczniowym. Poza niedoborem karbamoiltransferazy ornitynowej, który jest chorobą sprzężoną z płcią, wszystkie zaburzenia cyklu moczniowego są dziedziczne autosomalnie recesywnie. Częstość występowania hiperamonemii szacuje się na 1:35 000 – 1:69 000 żywych urodzeń. Celem leczenia jest utrzymywanie normalnego stężenia amoniaku we krwi, polega na stosowaniu diety niskobiałkowej. Stosuje się również leki obniżające poziom azotu w cyklu moczniowym, tj. benzoesan sodu i/lub fenylomaślan sodu, suplementację argininy i/lub cytruliny, suplementację EAA. Suplementacja EAA jest konieczna, gdy tolerancja na białka pochodzące z żywności jest zbyt niska. Stosowanie EAA powinno zapewnić od 20% do 30% całkowitego spożycia białka. Wczesna diagnoza, odpowiednie prowadzenie i leczenie epizodów hiperamonemii pozwalają uniknąć powikłań. Mimo to długotrwałe powikłania (tj. opóźnienie rozwoju, zaburzenia neurologiczne, choroby wątroby) są dość częste i mają negatywny wpływ na jakość i długość życia.

EAA Supplement jest przeznaczony do postępowania dietetycznego w zaburzeniach cyklu moczniowego (UCD) i innych zaburzeniach metabolizmu białek, przy których wskazane są aminokwasy egzogenne, dla pacjentów od 3 roku życia.



Dowody naukowe

Zalecenia w przypadku wystąpienia hiperamonemii rekomendują zastosowanie diety niskobiałkowej, leków obniżających poziom azotu w cyklu mocznikowym, tj. benzoesu sodu i/lub fenylomałanu sodu, suplementacji argininy i/lub cytruliny, suplementacji EAA. Suplementacja EAA jest konieczna, gdy tolerancja na białka pochodzące z żywności jest zbyt niska. Stosowanie EAA powinno zapewnić od 20% do 30% całkowitego spożycia białka.

Problem ekonomiczny

Produkt EAA Supplement był refundowany w ramach importu docelowego we wskazaniu hiperamonemia. Minister Zdrowia wydał w 2020 roku 8 zgód dla 6 pacjentów (razem 40 opakowań) na łączną kwotę 46 034,40 zł.

Populacja dotycząca hiperamonemii pierwotnej stanowi niewielką grupę pacjentów (38 i 85 zdiagnozowanych zaburzeń), biorąc pod uwagę możliwość stwierdzenia u jednego pacjenta kilku zaburzeń cyklu mocznikowego jednocześnie, liczebność grupy docelowej nie powinna przekraczać 100 osób, maksymalnie 15 nowych przypadków rocznie, jednak brak jest dokładnych danych o populacji docelowej. Oszacowanie wpływu sfinansowania przedmiotowej technologii w ramach importu docelowego na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych i świadczeniobiorców jest praktycznie niemożliwe.

Cena środka spożywczego specjalnego przeznaczenia EAA Supplement, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej 12,5 g, opakowanie 50 saszetek, wynosi 1 150,86 zł i jest szacunkową ceną brutto sprzedaży leku do apteki zawierającą marżę hurtową.

Oprócz produktu EAA Supplement w ocenianym wskazaniu sprowadzono również inne śsspz, tj. Arginine 2000, Dialamina, Cytrulina, Essential Amino Acid Mix, Isoleucine 50, L-Lysine, MCT Peptide, Milupa UCD 2 prima, Milupa Basic-p, UCD Amino 5, UCD Anamix Junior, UCD Trio.

Główne argumenty decyzji

1. W hiperamonemii stosowanie EAA powinno zapewnić od 20% do 30% całkowitego spożycia białka.
2. Konieczność stosowania zindywidualizowanych schematów dietetycznych zawierających jednak EAA.

3. *Zgodnie z Obwieszczeniem MZ z dnia 21 października 2021 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 listopada 2021 r. (Dz. Urz. Min. Zdr. z 2021.82) aktualnie ze środków publicznych brak jest refundowanych produktów we wskazaniu hiperamonemia.*

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 nr: OT.4211.34.2021 „EAA Supplement we wskazaniu: hiperamonemia”, data ukończenia: 16 listopada 2021 r.