



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 82/2022 z dnia 22 sierpnia 2022 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego
Milupa Basic-P w wielu wskazaniach

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Milupa Basic-P, puszka á 400 g, we wskazaniach:

- *acyduria metylomalonowa,*
- *acyduria izowalerianowa,*
- *acyduria propionowa,*
- *kwasica glutarowa,*
- *cytrulinemia,*
- *deficyt syntazy karbamylofosforanu (CPS1),*
- *choroba syropu klonowego,*
- *hiperamonemia typu II,*

a niezasadne we wskazaniach:

- *zespół hipoglikemia-hiperamonemia,*
- *zespół Wolfa-Hirschhorna.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Rada Przejrzystości wydała pozytywne stanowisko nr 28/2019 z dnia 15 kwietnia 2019 roku, a Prezes Agencji pozytywną rekomendację nr 25/2019 z dnia 15 kwietnia 2019 r. w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Basic- P proszek, puszka á 400 g we wskazaniach:

- *acyduria metylomalonowa,*
- *acyduria izowalerianowa,*
- *acyduria propionowa,*
- *kwasica glutarowa,*
- *cytrulinemia,*



- *deficyt syntazy karbamylofosforanu (CPS1),*
- *choroba syropu klonowego,*
- *hiperamoniemia typu II,*
- *zespół hipoglikemia-hiperamoniemia.*

Jednocześnie Rada Przejrzystości i Prezes Agencji uznali za niezasadne wydawanie zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego: Basic-P, proszek, puszka á 400 g, we wskazaniu: zespół Wolfa-Hirschhorna.

Choroby te charakteryzują się genetycznie uwarunkowanymi wadami metabolizmu. W leczeniu powyższych chorób zaleca się stosowanie diety niskobiałkowej w połączeniu z preparatem aminokwasowym dostosowanym do rodzaju choroby. W zespole Wolfa-Hirschhorna, który jest chorobą genetyczną spowodowaną mikrodelecją na krótkim ramieniu chromosomu 4, leczenie jest wyłącznie objawowe.

Wszystkie choroby wymienione we wniosku refundacyjnym MZ są chorobami rzadkimi. Obecnie nie ma dostępnej technologii alternatywnej w leczeniu ww. chorób.

Dowody naukowe

Odnalezione zalecenia w większości wskazań są spójne z informacjami przedstawionymi w raporcie OT.4311.2.2019. Od tego czasu opublikowano 7 dokumentów wytycznych: Zalecenia dietetyczne w pediatrii 2020 (Polska) dot. kwasicy propionowej, metylomalonowej, izowalerianowej, zaburzeń cyklu mocznikowego oraz choroby syropu klonowego), konsensus międzynarodowego zespołu ekspertów z 2021 r. (Forny 2021) dot. acydurii metylomalonowej i propionowej, wytyczne New England Consortium of Metabolic Programs 2020 (USA) oraz brytyjskie zalecenia Southeast Regional Genetics Network - Genetic Metabolic Dietitians International (SERN - GMDI) 2021 dot. choroby syropu klonowego, zalecenia hiszpańsko-portugalskiego konsensusu ekspertów Bélanger-Quintana 2022 dotyczące hiperamonemii, międzynarodowe rekomendacje Raina 2020 dotyczące postępowania w przypadku hiperamonemii u dzieci i młodzieży z zaburzeniami cyklu mocznikowego: otrzymujących terapię nerkozastępczą i nienerkozastępczą oraz wytyczne europejskie Häberle 2019 dot. zaburzeń cyklu mocznikowego (hiperamoniemii pierwotnej), cytrulinemii typu I, deficytu OTC i CPS1. Nie odnaleziono wytycznych odnoszących się do acydurii glutarowej, zespołu Wolfa-Hirschhorna i zespołu hipoglikemia-hiperamoniemia.

Problem ekonomiczny

Cena środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Milupa Basic-P, proszek, wynosi 168,00 PLN za puszkę 400 g i jest to szacunkowa cena netto sprzedaży produktu do apteki, zawierająca marżę hurtową (dane z 2021 r.). Kwota na jaką wydano zgodę na refundację Milupa Basic-P w 2021 r.

w analizowanych wskazaniach wyniosła 103 320 zł, w tym najwyższy udział odnotowano w przypadku acydurii metylomalonowej (32 760 zł), a najniższy dla choroby syropu klonowego (672 zł).

Należy jednocześnie zauważyć, iż w 2021 r. nie sprowadzono produktu Milupa Basic-P dla pacjentów we wskazaniach: zespół hipoglikemia-hiperamonemia oraz zespół Wolfa-Hirschhorna.

Główne argumenty decyzji

Wszystkie wskazania wymienione w zleceniu MZ są chorobami rzadkimi, charakteryzującymi się genetycznie uwarunkowanymi wadami metabolizmu, w leczeniu których zaleca się stosowanie diety niskobiałkowej w połączeniu z preparatem aminokwasowym, dostosowanym do rodzaju choroby. W zespole Wolfa-Hirschhorna leczenie jest objawowe i wielodyscyplinarne, w tym konieczne jest zastosowanie różnorodnych programów rehabilitacyjnych, leczenia napadów padaczkowych oraz terapii żywieniowych.

Brak jest alternatywnych technologii medycznych. Z racji rzadkości występowania omawianych zespołów chorobowych refundacja preparatu nie stanowi nadmiernego obciążenia dla płatnika publicznego.

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 2022 r., poz. 463), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego wydawania zgody na refundację nr: OT.4211.9.2022 (Aneks do opracowania nr: OT.4311.2.2019) „Milupa Basic-P we wskazaniach: acyduria metylomalonowa, acyduria izowalerianowa, acyduria propionowa, acyduria glutarowa, cytrulinemia, deficyt CPS1, hiperamonemia typu II (deficyt OTC), choroba syropu klonowego, zespół Wolfa-Hirschhorna, zespół hipoglikemia-hiperamonemia”. Data ukończenia: 18.08.2022 r.