



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

---

Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 83/2022 z dnia 29 sierpnia 2022 roku  
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka  
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Renastep  
we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u pacjentów  
pediatrycznych

*Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Renastep, roztwór doustny, we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u pacjentów pediatrycznych.*

*Jednocześnie, Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środka specjalnego przeznaczenia żywieniowego Renastep, roztwór doustny, we wskazaniu: stadium 4 przewlekłej choroby nerek oraz przewlekła niewydolność nerek, oba wskazania u pacjentów pediatrycznych w wieku od 3 do 7 roku życia.*

### Uzasadnienie

*Problem dotyczy zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego środka specjalnego przeznaczenia żywieniowego we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u pacjentów pediatrycznych.*

*Przewlekła niewydolność nerek (ICD-10 N 18) to utrzymujące się ponad 3 miesiące strukturalne lub czynnościowe uszkodzenie nerek z upośledzeniem filtracji kłębuszkowej (eGFR) < 60 ml/min/1,73 m<sup>2</sup>. U dzieci z PNN dochodzi m.in. do zaburzeń odżywienia i niedoborów białka, zaburzeń gospodarki wodno-elektrolitowej i zaburzeń gospodarki kwasowo-zasadowej.*

*Według danych NFZ liczba pacjentów w wieku 3-17 lat, u których sprawozdano rozpoznanie (główne lub współistniejące) przewlekła niewydolność nerek wyniosła 1544 w 2018 r., 1508 w 2019 r., 1382 w 2020 r., 1497 w 2021 r.*

*Środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego Renastep to gotowy do użycia (doustnie lub przez zgłębniak nosowo-gardłowy) wysokoenergetyczny produkt płynny, który zawiera białko, węglowodany, tłuszcze, witaminy i pierwiastki śladowe oraz kwas dekozaheksakenowy (DHA), o niskiej zawartości potasu, wapnia, chlorków i witaminy A. Przeznaczony jest do stosowania w dietetycznym postępowaniu w chorobach nerek u dzieci w wieku ≥ 3 lat.*



Dawkowanie zgodnie z zaleceniem lekarza lub dietetyka, przy uwzględnieniu wieku, masy ciała, wymagań żywieniowych i stanu zdrowia pacjenta. Produkt nie jest przeznaczony do stosowania jako jedyne źródło pożywienia. Ze względu na obniżony poziom określonych składników odżywczych należy go stosować z dietą doustną, przy ścisłym monitorowaniu elektrolitów. Nie może być stosowany u dzieci poniżej 3 roku życia.

Renastep nie był przedmiotem oceny Agencji. We wskazaniach zbliżonych AOTMiT oceniała dwa produkty o podobnym składzie, sprowadzane w ramach importu równoległego: Kindergen i Renastart.

W 2019 r. Rada Przejrzystości negatywnie zaopiniowała wydawanie zgód na refundację produktu Kindergen we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek (Stanowisko Rady Przejrzystości nr 79/2019 z dnia 9 września 2019 r.).

Prezes Agencji nie rekomendował wydawania zgód na refundację produktu Kindergen we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek (Rekomendacja nr 77/2019 z dnia 24 września 2019 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji).

W 2020 r. Rada Przejrzystości negatywnie zaopiniowała wydawanie zgód na refundację produktu Renastart we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u dzieci od 1 do 4 roku życia, ale jednocześnie uznała zasadne wydawanie zgód na refundację we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek stadium 4/5 u dzieci w wieku od 1 do 2 roku życia (Stanowisko Rady Przejrzystości nr 32/2020 z dnia 1 czerwca 2020 r.).

Prezes Agencji rekomendował wydawanie zgód na refundację produktu Renastart we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u dzieci w wieku od 1 do 2 roku życia oraz we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u dzieci w wieku od 2 do 4 roku życia w przypadku kontynuacji stosowania produktu rozpoczętego przed 2 rokiem życia (Rekomendacja nr 32/2020 z dnia 15 listopada 2020 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji).

#### Dowody naukowe

W wyniku przeglądu systematycznego nie odnaleziono dowodów naukowych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo produktu Renastep w populacji dzieci z przewlekłą niewydolnością nerek w porównaniu do dostępnych w trybie importu docelowego komparatorów (Renastart, Kindergen).

W wyniku przeprowadzonego dodatkowo wyszukiwania niesystematycznego odnaleziono 3 opisy przypadków na stronie producenta preparatu, wskazujące na korzystne działanie Renastepu u 5-letniego dziecka ze schyłkową niewydolnością nerek poddawanego dializie otrzewnowej (leczonego do 7 r.ż.), 4 letniego dziecka w 4 stadium przewlekłej choroby nerek i 3 letniego dziecka z moczówką prostą. Wskazują one, że Renastep, ze względu na niską zawartość potasu i fosforanów, może być korzystny w populacji pediatrycznej od 3 do 7 roku

życia z przewlekłą chorobą nerek stadium 4-5, bowiem umożliwia dostarczenie dodatkowych kalorii w diecie, bez negatywnego wpływu na poziom potasu i fosforanów we krwi.

Ponadto odnaleziono informację o badaniu NCT03602937 „Evaluation of Renastep” – otwartym badaniu bez grupy kontrolnej, obejmującym dzieci i młodzież w wieku 3-18 lat, którego celem była ocena występowania objawów żółdkowo-jelitowych, przestrzegania zalecanych dawek oraz walorów smakowych preparatu - planowana liczba pacjentów N=15, planowany okres obserwacji 28 dni. Wyniki badania nie są dostępne.

Preparat Renastep wymieniany jest jedynie przez brytyjskie wytyczne NHS 2022 w przewlekłej niewydolności nerek u dzieci 3-18 lat (podobnie jak Renastart i Kindergen u dzieci 0-10 lat). W/w produkty nie powinny być stosowane jako jedyne źródło żywienia i bez konsultacji z dziecięcym dietetykiem.

Eksperti kliniczni w opiniach wydanych w procesie opracowania na potrzeby wydawania zgody na refundację Nr: OT.4211.14.2022 „Renastep we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u pacjentów pediatrycznych” wskazali subpopulacje, które odniosą większą korzyść kliniczną z zastosowania produktu Renastep : 1) pacjenci po 3 roku życia, w zaawansowanym 4 i 5 stadium przewlekłej choroby nerek, u których stwierdza się cechy niedożywienia białkowo-kalorycznego i/lub zaburzenia w zakresie gospodarki elektrolitowej (głównie hiperkaliemia i hipofosfatemia) oraz 2) dzieci w stadium 3-5 przewlekłej choroby nerek.

#### Problem ekonomiczny

Oceniany produkt stosowany jest jako uzupełnienie diety u dzieci i młodzieży w różnym wieku (3-18 r.ż.) co bezpośrednio przekłada się na jego dawkowanie. Czas stosowania jest indywidualny w zależności od stanu klinicznego pacjenta i zalecanego leczenia dietetycznego, przy czym brak jest tych danych w polskiej populacji pacjentów pediatrycznych. Zgodnie z danymi przekazanymi przez MZ środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego Renastep w 2021 r. nie był sprowadzany w ramach importu docelowego. Stąd też nie jest możliwe wiarygodne oszacowanie kosztu rocznej terapii, który dodatkowo będzie zależny od aktualnego kursu waluty kraju, z którego produkt będzie sprowadzany i aktualnej ceny. Przy przyjęciu dawkowania wskazanego w stanowisku eksperta Agencji tj. 3-8 opakowań 125 ml preparatu Renastep dziennie, koszt roczny terapii 1 pacjenta wyniesie od 31-84 tys. złotych. Wpływ na budżet płatnika publicznego zgod na refundację produktu Renastep populacji oszacowanej przez eksperta klinicznego na 50 osób wyniesie od 1,6 do 4,2 mln złotych rocznie.

### Główne argumenty decyzji

*Jedyne dostępne badania naukowe (3 opisy przypadków) dotyczą skuteczności i bezpieczeństwa środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Renastep u dzieci z przewlekłą chorobą nerek w wieku od 3 do 7 roku życia.*

*Brak jest jakichkolwiek danych naukowych w ocenianym wskazaniu u dzieci starszych.*

*Brak jest badań porównujących oceniana technologię z dostępnymi w trybie importu docelowego środkami spożywczymi specjalnego przeznaczenia żywieniowego Renastep i Kindergen.*

*Opinie ekspertów klinicznych Agencji: Konsultanta Krajowego w dziedzinie nefrologii dziecięcej i Konsultanta Wojewódzkiego w dziedzinie nefrologii dziecięcej uzasadniają refundację produktu w przewlekłej niewydolności nerek oraz stadium 4 przewlekłej choroby nerek.*

### Uwaga Rady

*Według obowiązującej nomenklatury, przewlekła choroba nerek ma 5 stadiów, w zależności od wartości orientacyjnej filtracji kłębuszkowej (eGFR), z których ostatnie nazywamy przewlekłą niewydolnością nerek.*

### **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 nr: OT.4211.14.2022 „Renastep we wskazaniu: przewlekła niewydolność nerek u pacjentów pediatrycznych”, data ukończenia: 24 sierpnia 2022 r.