



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 26/2023 z dnia 13 marca 2023 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego
MCT Procal we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD,
deficyt dehydrogenazy pirogronianu, deficyt palmitylotransferazy
karnityny (CPT), deficyt transportera glukozy GLUT-1,
acyduria malonowa

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego MCT Procal we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt dehydrogenazy pirogronianu, deficyt palmitylotransferazy karnityny (CPT), deficyt transportera glukozy GLUT-1, acyduria malonowa.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Podtrzymanie stanowiska Rady Przejrzystości nr 55/2019 (nr w BIP 88/2019) oraz pozytywna Rekomendacja Prezesa nr 53/2019 (nr w BIP 88/2019) w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego MCT Procal we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt dehydrogenazy pirogronianu, deficyt transportera glukozy GLUT-1. Ponadto, ocena zasadności refundacji przedmiotowego śsspż we wskazaniach: acyduria malonowa oraz deficyt palmitylotransferazy karnityny (CPT).

Dowody naukowe

- *badanie Lee 2020 – opis przypadku pacjenta ze zdiagnozowaną acydurią malonową,*
- *badanie Alsahlawi 2022 – opis przypadku pacjenta ze zdiagnozowanym deficytem palmitylotransferazy karnityny typu II (CPT II).*

Rekomendacje kliniczne w zaburzeniach metabolizmu tłuszczów – zaburzenia oksydacji długołańcuchowych kwasów tłuszczowych:

- *Zaburzenia β -oksydacji: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD*

W terapii zaburzeń oksydacji długłańcuchowych kwasów tłuszczowych zalecana jest dieta niskotłuszczowa i wysoko węglowodanowa. Dietę można uzupełniać średniołańcuchowymi kwasami tłuszczowymi (MCT). Ważne jest unikanie okresów głodzenia i sytuacji mogących prowadzić do dekompensacji metabolicznej.

- Zaburzenia cyklu karnityny: deficyt palmitylotransferazy karnityny (CPT I oraz CPT II)

Pomimo że nie odnaleziono oddzielnych wytycznych klinicznych dla deficytów palmitylotransferazy karnityny - ogólne wytyczne odnoszące się do leczenia dietetycznego pacjentów cierpiących na zaburzenia utleniania długłańcuchowych kwasów tłuszczowych zalecają ograniczenie podaży długłańcuchowych kwasów tłuszczowych oraz suplementację średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych (MCT).

- Deficyt dehydrogenazy pirogronianu, deficyt transportera glukozy GLUT-1
Nie odnaleziono oddzielnych wytycznych klinicznych dla deficytu dehydrogenazy pirogronianu. Wytyczne dotyczące schorzeń, w których występuje epilepsja zalecają stosowanie diety ketogenicznej (wysokotłuszczowej, klasycznej lub zmodyfikowanej, np. z wyższą podażą średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych (MCT)).

Problem ekonomiczny

Szacunkowa cena netto sprzedaży analizowanego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego do apteki, zawierająca marżę hurtową, wynosi 421,09 zł za opakowanie zbiorcze 30 saszetek po 16 g.

W latach 2021-2022 wydano łącznie 57 zgód na refundację produktu MCT Procal dla 29 pacjentów, a łączna kwota zgód na refundację wyniosła ok. 196 tys. zł (sprowadzono 465 opak.).

Główne argumenty decyzji

Rekomendacje: BIMDG 2017 (aktualizacja 2020) (Wielka Brytania); van Calcar 2020 (aktualizacja wytycznych SERN/GMDI 2019) (USA); Zalecenia dietetyczne w pediatrii 2019 (Polska); NICE 2022 (Wielka Brytania); SIGN 2021 (Szkocja; BIMDG 2017 (aktualizacja 2020) (Wielka Brytania) odnoszące się do poszczególnych jednostek chorobowych.

Badanie Alsahlawi 2022 wskazuje na zasadność stosowania u pacjentów z deficytem palmitylotransferazy karnityny (CPT) natomiast badanie Lee 2020 przedstawia pozytywny wynik u pacjenta z acydurią malonową.

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 2022 r., poz. 2561 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. 2555 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności dalszego wydawania zgody na refundację nr OT.4211.23.2022 „MCT Procal we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt dehydrogenazy pirogronianu, deficyt palmitylotransferazy karnityny (CPT), deficyt transportera glukozy GLUT-1, acyduria malonowa”; data ukończenia 9 marca 2023 r.