Rekomendacja nr 62/2023

z dnia 16 czerwca 2023 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Lipistart we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, deficyt CPT2, chłonkobrzusze, wada serca – stan po leczeniu kardiochirurgicznym

Prezes Agencji rekomenduje wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Lipistart we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, deficyt CPT2, chłonkobrzusze, wada serca – stan po leczeniu kardiochirurgicznym, na podstawie art. 39 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych.

Uzasadnienie rekomendacji

Rekomendacja dotyczy oceny zasadności kontynuacji finansowania produktu leczniczego Lipistart, w związku z tym przeprowadzono aktualizację w zakresie istnienia nowych dowodów naukowych oraz wytycznych klinicznych w odniesieniu do rekomendacji nr 81/2019 z dnia 4 października 2019 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Lipistart we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, chłonkobrzusze, wada serca – stan po leczeniu kardiochirurgicznym.

Ponadto przedmiotowa rekomendacja dotyczy wskazania nieuwzględnionego w poprzedniej rekomendacji, tj. deficytu CPT2.

Odnaleziono opis przypadku pacjenta ze zdiagnozowanym deficytem palmitylotransferazy karnityny typu II (CPT2) – badanie Alsahlawi 2022.

W wyniku wyszukiwania nie zidentyfikowano nowych doniesień naukowych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa Lipistartu dla pozostałych wskazań, tj. deficytu VLCAD, deficytu LCHAD, deficytu CPT1, chłonkobrzusza oraz chłonkotoku do jamy opłucnej, będącego wynikiem leczenia kardiochirurgicznego wad serca. Aktualizacja dostępnych informacji podtrzymuje przyjęte dotychczas wnioskowanie i rekomendację wskazującą na zasadność dalszego

finansowania produktu Lipistart w ocenianych wskazaniach. Niemniej należy podkreślić, że podstawowym ograniczeniem analizy klinicznej jest niewielka liczba dowodów, dotyczących efektywności klinicznej i praktycznej stosowania produktu Lipistart.

Z danych przekazanych przez MZ wynika, że w okresie styczeń 2021 – luty 2023 wartość refundacji wnioskowanej technologii w ramach importu docelowego wynosiła ok. 414 tys. zł. (52 zgód dla 19 pacjentów).

Prezes Agencji, mając na względzie stanowisko Rady Przejrzystości oraz potrzebę zapewnienia dostępności do terapii w ocenianych wskazaniach rekomenduje refundację Lipistart w trybie art. 39 ustawy o refundacji.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Lipistart, we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, deficyt CPT2, chłonkobrzusze, wada serca – stan po leczeniu kardiochirurgicznym, na podstawie art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r. poz. 826).

Problem zdrowotny

Deficyt LCHAD

Deficyt dehydrogenazy 3-hydroksyacylo-koenzymu A długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (niedobór LCHAD, ang. *long-chain 3-hydroxyacyl-coenzyme A dehydrogenase deficiency*, LCHAD deficiency) należy w populacji polskiej do najczęściej ujawniających się klinicznie zaburzeń procesu oksydacji kwasów tłuszczowych. Białko o aktywności 3-hydroksyacylo-CoA długołańcuchowych kwasów tłuszczowych jest częścią białka trójfunkcyjnego MTP, związanego z wewnętrzną błoną mitochondrialną, które katalizuje trzy kolejne reakcje w procesie beta-oksydacji kwasów tłuszczowych.

Deficyt VLCAD

Deficyt dehydrogenazy acylo-CoA kwasów tłuszczowych o bardzo długim łańcuchu (ang. *very long chain fatty acyl-CoA dehydrogenase deficiency* – VLCAD deficiency) jest klinicznie podobny do deficytu LCHAD. Również należy do grupy zaburzeń zużytkowania wolnych kwasów tłuszczowych spowodowanych upośledzeniem ich utleniania wewnątrzmitochondrialnego (zaburzenia β-oksydacji kwasów tłuszczowych).

Deficyt CPT1

Deficyt CPT1, nazywany także niedoborem palmitylotransferazy 1 karnityny wątrobowej (deficyt CPT1) stanowi rzadki defekt metaboliczny wpływający na mitochondrialne utlenianie długołańcuchowych kwasów tłuszczowych w wątrobie i nerkach. Charakteryzuje się nawracającymi atakami hipoglikemii hipoketotycznej o różnym nasileniu (powodowanymi głodzeniem lub współistniejącą chorobą) oraz zwiększonym ryzykiem encefalopatii wątrobowej, prowadzącej do niewydolności wątroby. Dotychczas opisano ok. 50 przypadków.

Deficyt CPT2

Deficyt CPT2, nazywany także niedoborem palmitylotransferazy 2 karnityny wątrobowej (deficyt CPT2) to dziedziczne zaburzenie metaboliczne wpływające na mitochondrialne utlenianie długołańcuchowych kwasów tłuszczowych. Opisano trzy postacie choroby: postać miopatyczna (charakteryzuje się

nawracającymi atakami rabdomiolizy, bólami i osłabieniem mięśni wywołanymi długotrwałym wysiłkiem fizycznym, głodzeniem, chorobą wirusową lub ekstremalnymi temperaturami), ciężka postać niemowlęca (charakteryzuje się ciężką nietolerancją głodu, prowadzącą do zaburzeń metabolicznych, takich jak hipoglikemia hipoketotyczna i encefalopatia wątrobowa) i postać noworodkowa (obejmuje objawy choroby wieku dziecięcego oraz cechy dysmorficzne (np. torbielowate dysplastyczne nerki).

Chłonkobrzusze

Chłonkobrzusze (łac. *chyloperitoneum*; ang. *chylous ascites*) jest rzadkim przypadkiem wodobrzusza, wynikającego z wycieku bogatej w trójglicerydy limfy do jamy otrzewnej.

Wyróżnia się chłonkobrzusze wrodzone, będące następstwem urazu, infekcji, postępującego procesu nowotworowego, marskości wątroby, a także pooperacyjne i kardiogenne.

Najczęstszą przyczyną wrodzonego chłonkobrzusza są nieprawidłowości w budowie naczyń limfatycznych. Hiperplazja ścian naczyń może powodować miejscowy zastój i wzrost ciśnienia chłonki w naczyniach, a w konsekwencji jej wyciek poza naczynie. Niedorozwój naczyń limfatycznych, ze względu na niemożność utrzymania limfy w naczyniu, również może powodować jej wyciek do jam ciała.

Ze względu na współwystępowanie wrodzonego chłonkobrzusza z przypadkami zespołów chorobowych o podłożu genetycznym (np. zespołem Turnera, zespołem żółtych paznokci, zespołem Klippla-Trénaunaya oraz u bliźniaków), postuluje się jego genetyczne podłoże.

Wada serca – stan po leczeniu kardiochirurgicznym

Poniżej został opisany chłonkotok do jamy opłucnej jako możliwe powikłania leczenia kardiochirurgicznego. Chłonkotok może wystąpić bowiem po przeprowadzeniu rozległych zabiegów operacyjnych w obrębie klatki piersiowej, do których zaliczają się operacje wrodzonych wad serca.

Chłonkotok wrodzony jest rzadkim, potencjalnie zagrażającym życiu stanem noworodków, charakteryzującym się nagromadzeniem się chłonki w jamie opłucnej. Może prowadzić do niewydolności oddechowej, niedożywienia i upośledzenia układu immunologicznego – od razu po urodzeniu lub w ciągu pierwszych kilku tygodni życia. Chłonkotok wrodzony jest najczęstszą przyczyną wysięku opłucnowego u noworodków. Może wystąpić głównie z powodu anomalii rozwojowych przewodu piersiowego lub wiązać się z anomaliami chromosomalnymi (np. zespołem Turnera oraz zespołem Downa), obrzękiem uogólnionym płodu, neuroblastomą śródpiersia i innymi wadami wrodzonymi (np. zespołem Noonan).

Alternatywna technologia medyczna

Zgodnie z Obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 20 kwietnia 2023 r. w sprawie wykazu leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 maja 2023 r. (Dz. Urz. Min. Zdr. z 2023 r. poz. 29) aktualnie ze środków publicznych refundowane są 2 preparaty wzbogacone w MCT: Infatrini Peptisorb i Bebilon Pepti MCT we wskazaniach: zespoły wrodzonych defektów metabolicznych, alergie pokarmowe i biegunki przewlekłe.

Ponadto w ramach importu docelowego dostępne są w analizowanych wskazaniach, z wyłączeniem chłonkobrzusza, inne środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego jak: MCT Oil, MCT Procal, Monogen, Liquigen, Fruiti Vits, SOS, Milupa Basic-F, DocOmega, Complete Amino Acid Mix, Paediatric Seravit. MCT Oil oraz MCT Procal.

Opis wnioskowanego świadczenia

Środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego Lipistart, proszek, puszka á 400 g jest produktem złożonym zawierającym tłuszcze MCT i LCT, węglowodany, białko, witaminy i składniki mineralne.

Preparat Lipistart, zgodnie z ulotką producenta, stosowany jest w dietetycznym leczeniu zaburzeń oksydacji długołańcuchowych kwasów tłuszczowych, w zaburzeniach wchłaniania tłuszczów i innych zaburzeń wymagających wysokiej podaży średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych (MCT) i niskiej – długołańcuchowych trójglicerydów (LCT), od urodzenia do 10 r.ż.

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

Ocena ta polega na zebraniu danych o konsekwencjach zdrowotnych (skuteczność i bezpieczeństwo) wynikających z zastosowania nowej terapii w danym problemie zdrowotnym oraz innych terapii, które w danym momencie są finansowane ze środków publicznych i stanowią alternatywne leczenie dostępne w danym problemie zdrowotnym. Następnie ocena ta wymaga określenia wiarygodności zebranych danych oraz porównania wyników dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa nowej terapii względem terapii już dostępnych w leczeniu danego problemu zdrowotnego.

Na podstawie powyższego ocena skuteczności i bezpieczeństwa pozwala na uzyskanie odpowiedzi na pytanie o wielkość efektu zdrowotnego (zarówno w zakresie skuteczności, jak i bezpieczeństwa), którego należy oczekiwać względem nowej terapii w porównaniu do innych rozważanych opcji terapeutycznych.

W analizie klinicznej została przeprowadzona aktualizacja dostępności dowodów naukowych na potrzeby ponownej oceny skuteczności i bezpieczeństwa ocenianej technologii lekowej względem rekomendacji nr 81/2019 z dnia 4 października 2019 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Lipistart we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, chłonkobrzusze, wada serca – stan po leczeniu kardiochirurgicznym.

Przeprowadzono również przegląd systematyczny w celu odnalezienia dowodów naukowych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa stosowania środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Lipistart we wskazaniu deficyt palmitylotransferazy karnityny typu 2 (CPT2). W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania odnaleziono opis przypadku pacjenta ze zdiagnozowanym deficytem palmitylotransferazy karnityny typu II (CPT2) – badanie Alsahlawi 2022 (wskazanie: deficyt CPT2 nie było uwzględnione w poprzedniej rekomendacji).

Nie odnaleziono nowych badań dla pozostałych wskazań, tj. deficytu VLCAD, deficytu LCHAD, deficytu CPT1, chłonkobrzusza oraz chłonkotoku do jamy opłucnej, będącego wynikiem leczenia kardiochirurgicznego wad serca.

Skuteczność i bezpieczeństwo

Opis przypadku Alsahlawi 2022 dotyczył pacjenta, który w okresie niemowlęcym został przyjęty do szpitala celem wykonania diagnostyki w kierunku chorób metabolicznych. Na podstawie wyników echokardiogramu i tandemowej spektrometrii mas podejrzewano zaburzenie metaboliczne kwasów tłuszczowych, jednak analiza genetyczna nie była jednoznaczna.

Mimo braku ostatecznej diagnozy, u pacjenta rozpoczęto suplementację l-karnityny oraz średniołańcuchowych trójglicerydów (MCT) oraz stosowano dietę niskotłuszczową.

W wieku 12 miesięcy, dwóch i sześciu lat pacjent doznał kryzysu metabolicznego, które były spowodowane infekcjami górnych dróg oddechowych lub zapaleniem błony śluzowej żołądka.

W momencie zakończenia badania (obserwacji pacjenta) pacjent miał 7 lat i przez cały okres (od wieku niemowlęcego) kontynuował dietę (m.in. MCT). Wykazywał normalny rozwój zarówno fizyczny, jak i psychiczny.

Dodatkowe informacje o bezpieczeństwie

W ulotce zawarto poniższe informacje dotyczące stosowania Lipistart:

- produkt należy stosować pod nadzorem lekarza;
- produkt jest odpowiedni dla dzieci w wieku od urodzenia do 10 lat;
- produkt jest odpowiedni jako jedyne źródło pożywienia od urodzenia do 1. roku życia. Może być stosowane jako dieta uzupełniająca od 1. do 10. roku życia;
- produkt jest nieodpowiedni dla osób z niedoborem dehydrogenazy średniołańcuchowych acylo-CoA (MCADD);
- w przypadku długotrwałego stosowania produktu Lipistart, zaleca się monitorowanie stanu niezbędnych kwasów tłuszczowych i ich suplementację w razie potrzeby.

Ograniczenia analizy

Głównym ograniczeniem analizy jest niewielka liczba dowodów, dotyczących efektywności klinicznej i praktycznej stosowania produktu Lipistart.

Produkt Lipistart jest przede wszystkim stosowany w chorobach rzadkich i może być stosowany u dzieci do 10 r.ż. Co więcej wnioskowany produkt stanowi środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego, w związku z powyższym jego dopuszczenie na rynek nie jest zależne od wyników przeprowadzonych badań klinicznych.

W wyniku aktualizacji wyszukiwania nie odnaleziono nowych dowodów dotyczących stosowania mieszanek wzbogaconych o MCT w populacji pacjentów z deficytem VLCAD, deficytem LCHAD, deficytem CPT1, chłonkobrzusza oraz chłonkotoku do jamy opłucnej, będącego wynikiem leczenia kardiochirurgicznego wad serca pozwalających na wyciągnięcie bezpośrednich wniosków co do ich skuteczności i bezpieczeństwa w ww. wskazaniach.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Ocena ekonomiczna polega na oszacowaniu i zestawieniu kosztów i efektów zdrowotnych, jakie mogą wiązać się z zastosowaniem u pojedynczego pacjenta nowej terapii zamiast terapii już refundowanych.

Koszty terapii szacowane są w walucie naszego kraju, a efekty zdrowotne wyrażone są najczęściej w zyskanych latach życia (LYG, life years gained) lub w latach życia przeżytych w pełnym zdrowiu (QALY, quality adjusted life years) wskutek zastosowania terapii.

Zestawienie wartości dotyczących kosztów i efektów związanych z zastosowaniem nowej terapii i porównanie ich do kosztów i efektów terapii już refundowanych pozwala na uzyskanie odpowiedzi na pytanie, czy efekt zdrowotny uzyskany u pojedynczego pacjenta dzięki nowej terapii wiąże się z wyższym kosztem w porównaniu do terapii już refundowanych.

Uzyskane wyniki wskaźnika kosztów-efektów zdrowotnych porównuje się z tzw. progiem opłacalności, czyli wynikiem, który sygnalizuje, że przy zasobności naszego kraju (wyrażonej w PKB) maksymalny koszt nowej terapii, która ma wiązać się z uzyskaniem jednostkowego efektu zdrowotnego (1 LYG lub 1 QALY) w porównaniu do terapii już dostępnych, nie powinien przekraczać trzykrotności PKB per capita.

Aktualnie próg opłacalności wynosi 175 926 zł (3 x 58 642 zł)

Wskaźnik kosztów-efektów zdrowotnych nie szacuje i nie wyznacza wartości życia, pozwala jedynie ocenić i m. in. na tej podstawie dokonać wyboru terapii związanej z potencjalnie najlepszym wykorzystaniem aktualnie dostępnych zasobów.

Zgodnie z informacjami zawartymi w rozpatrywanym zleceniu MZ szacunkowa cena jednostkowa za puszkę 400 g Lipistart, wynosi: 224,97 zł. Wskazano także, że w okresie styczeń 2021 – luty 2023 pozytywnie rozpatrzono zgody na refundację Lipistart dla 19 pacjentów (liczba unikalnych numerów PESEL), którym zrefundowano 1 842 opakowań, dla których łączna kwota refundacji wyniosła ok. 414 tys. zł.

Biorąc pod uwagę dawkowanie, koszt średniej rocznej terapii jednego pacjenta wynosi około 12 tys. zł.

Wskazanie czy zachodzą okoliczności, o których mowa w art. 13 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2555)

Jeżeli analiza kliniczna wnioskodawcy nie zawiera randomizowanych badań klinicznych dowodzących wyższości leku nad technologiami medycznymi dotychczas refundowanymi w danym wskazaniu, to urzędowa cena zbytu leku musi być skalkulowana w taki sposób, aby koszt stosowania leku wnioskowanego do objęcia refundacją nie był wyższy niż koszt technologii medycznej o najkorzystniejszym współczynniku uzyskiwanych efektów zdrowotnych do kosztów ich uzyskania.

Nie dotyczy.

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia, w tym wpływu na budżet płatnika publicznego

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia składa się z dwóch istotnych części.

Po pierwsze, w analizie wpływu na budżet płatnika, pozwala na oszacowanie potencjalnych wydatków związanych z finansowaniem nowej terapii ze środków publicznych.

Szacunki dotyczące wydatków związanych z nową terapią (scenariusz „jutro") są porównywane z tym, ile aktualnie wydajemy na leczenie danego problemu zdrowotnego (scenariusz „dziś"). Na tej podstawie możliwa jest ocena, czy nowa terapia będzie wiązać się z koniecznością przeznaczenia wyższych środków na leczenie danego problemu zdrowotnego, czy też wiąże się z uzyskaniem oszczędności w budżecie płatnika.

Ocena wpływu na budżet pozwala na stwierdzenie czy płatnik posiada odpowiednie zasoby na finansowanie danej technologii.

Ocena wpływu na system ochrony zdrowia w drugiej części odpowiada na pytanie jak decyzja o finansowaniu nowej terapii może wpłynąć na organizację udzielania świadczeń (szczególnie w kontekście dostosowania do wymogów realizacji nowej terapii) oraz na dostępność innych świadczeń opieki zdrowotnej.

Wyniki uproszczonej analizy wpływu na budżet z perspektywy płatnika publicznego wskazują, że roczne wydatki ponoszone przez płatnika publicznego wyniosą ok. 229 tys. zł. W oszacowaniach uwzględniono stosowanie produktu Lipistart u 19 osób rocznie z wykorzystaniem przeciętnie 53,47 opakowań na pacjenta. Przy przyjęciu wariantu maksymalnego, w którym produkt byłby sprowadzony dla 97 pacjentów roczny koszt dla płatnika publicznego jest wyższy i wyniesie ok. 1,2 mln zł.

Ograniczenia analizy

Oceniany produkt stosowany jest jako uzupełnienie diety u dzieci w różnym wieku, co bezpośrednio przekłada się na jego dawkowanie, ponadto czas stosowania jest indywidualny w zależności od stanu klinicznego pacjenta i zalecanego leczenia dietetycznego, w związku z czym przedstawione oszacowania należy traktować z ostrożnością.

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Uwagi do zapisów programu lekowego

Nie dotyczy.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Przedmiotem analizy racjonalizacyjnej jest identyfikacja mechanizmu, którego wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wysokości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z podjęcia pozytywnej decyzji o refundacji wnioskowanej technologii medycznej.

Analiza racjonalizacyjna jest przedkładana, jeżeli analiza wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wykazuje wzrost kosztów refundacji.

Nie dotyczy.

Omówienie rekomendacji wydawanych w odniesieniu do ocenianej technologii

W ramach aktualizacji względem rekomendacji nr 81/2019 odnaleziono poniższe wytyczne kliniczne/dokumenty odnoszące się do analizowanych wskazań:

- dot. leczenia deficytów LCHAD, VLCAD:
    - British Inherited Metabolic Disease Group (BIMDG) 2017/2020 (Wielka Brytania);
    - van Calcar 2020 – aktualizacja wytycznych Southeast Regional Genetics Network / Genetic Metabolic Dietitians International (SERN/GMDI) 2019 (Stany Zjednoczone)
    - Zalecenia dietetyczne w pediatrii 2019 (Polska);
- dot. leczenia deficytów CPT1, CPT2:
    - British Inherited Metabolic Disease Group (BIMDG) 2017/2020 (Wielka Brytania);
    - Zalecenia dietetyczne w pediatrii 2019 (Polska).

<u>Deficyt LCHAD i deficyt VLCAD</u>

W wytycznych klinicznych zalecane jest, aby w deficycie LCHAD i VLCAD ograniczyć przyjmowanie tłuszczów, przede wszystkim długołańcuchowych kwasów tłuszczowych, które częściowo powinny zostać zastąpione przez średniołańcuchowe kwasy tłuszczowe MCT. U niemowląt należy stosować specjalne mieszkanki niskotłuszczowe wzbogacone MCT. Dzieci z LCHAD nie powinny być karmione mlekiem matki. Natomiast w deficycie VLCAD u niemowląt z bezobjawową chorobą dopuszcza się karmienie piersią, jednak dieta ta powinna być uzupełniona mieszankami zawierającymi MCT. U starszych dzieci rekomenduje się dietę z ograniczeniem długołańcuchowych kwasów tłuszczowych, zmodyfikowaną o MCT (mieszanki lub olej).

Produkt Lipistart wymieniono w wytycznych BIMDG 2013/2017 oraz AGE 2010.

W wytycznych EGE 2009 jako przykład mieszanek z niską zawartością długołańcuchowych kwasów tłuszczowych i wysoką zawartością MCT wymieniono Monogen, SHS, Basic-f, Milupę z olejem MCT. W wytycznych AKGE 2009 jako mieszanki maksymalne wzbogacone o MCT wymieniono Portagen i Monogen.

W obu deficytach równie ważne są regularne posiłki i unikanie długich przerw między nimi.

Deficyt CPT1 i deficyt CPT2

Nie odnaleziono oddzielnych wytycznych klinicznych dla deficytów palmitylotransferazy karnityny. Ogólne wytyczne odnoszące się do leczenia dietetycznego pacjentów cierpiących na zaburzenia utleniania długołańcuchowych kwasów tłuszczowych zalecają ograniczenie podaży długołańcuchowych kwasów tłuszczowych oraz suplementację średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych (MCT).

Wytyczne BIMDG 2013 wskazują na korzyści wynikającą z suplementacji średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych (MCT) u wybranych pacjentów z zespołem CPT1 ze znaczącą hepatomegalią, hiperlipidemią lub kwasicą cewkową (np. Lipistart lub Monogen).

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia Ministra Zdrowia z 10.03.2023 r. (znak pisma: PLD.45341.245.2023.1.KB), odnośnie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego: Lipistart, proszek, puszka 400 g, we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT I, deficyt CPT II, chłonkobrzusze, wada serca – stan po leczeniu kardiochirurgicznym, na podstawie art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r. poz. 826) po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości nr 61/2023 z dnia 5 czerwca 2023 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Lipistart we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, deficyt CPT2, chłonkobrzusze, wada serca – stan po leczeniu kardiochirurgicznym

PREZES

dr n. med. Roman Topór-Mądry

/dokument podpisany elektronicznie/

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 61/2023 z dnia 5 czerwca 2023 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Lipistart we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, deficyt CPT2, chłonkobrzusze, wada serca – stan po leczeniu kardiochirurgicznym;
2. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego wydawania zgody na refundację nr: OT.4211.5.2023 (Aneks do opracowania nr: OT.4311.14.2019) Lipistart we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, deficyt CPT2, chłonkobrzusze, wada serca – stan po leczeniu kardiochirurgicznym. Data ukończenia: 1 czerwca 2023 r.