



Rekomendacja nr 129/2023

z dnia 16 listopada 2023 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Monogen we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt MTP, naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego

Prezes Agencji rekomenduje wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Monogen we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt MTP, naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego, 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 Monogen, w związku z tym przeprowadzono aktualizację w zakresie istnienia nowych dowodów naukowych oraz wytycznych klinicznych w odniesieniu do rekomendacji nr 52/2019 z dnia 8 lipca 2019 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego: Monogen we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CACT, chłonnokotek (w tym stan po zabiegach kardiochirurgicznych), choroba Leśniowskiego-Crohna, mitochondrialna kardiomiopatia z deficytem kompleksu I łańcucha oddechowego, naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego.

Przedmiotowa rekomendacja dotyczy części wskazań uwzględnionych w poprzedniej rekomendacji, a także wskazania nieuwzględnionego, tj. deficytu MTP.

Wytyczne kliniczne w leczeniu deficytów LCHAD, VLCAD i MTP zalecają stosowanie diety z ograniczeniem tłuszczów, przede wszystkim długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (LCT) z jednoczesną suplementacją średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych (MCT).

Dla wskazania naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego, odnaleziono 3 opisy przypadków, u których zastosowano suplementację preparatami zawierającymi MCT (Prajapati 2022 oraz Khayat 2021), w tym jeden z zastosowaniem preparatu Monogen (Hasosa 2019). Odnaleziono

także 2 badania retrospektywne dotyczące pacjentów stosujących suplementację MCT (Niu 2021 oraz Prasad 2019).

Dla wskazania deficyt MTP odnaleziono jeden opis przypadku pacjenta stosującego suplementację preparatem Monogen oraz Liquigen (Sivasubramaniam 2021) oraz jedno badanie retrospektywne Spiekerkoetter 2009, uwzględniające pacjentów z zaburzeniami mitochondrialnego trójfunkcyjnego kompleksu białkowego (TFP), w tym pacjentów z deficytem MTP, LCHAD oraz LKAT.

W wyniku wyszukiwania nie zidentyfikowano nowych doniesień naukowych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa Monogen dla pozostałych wskazań, tj. deficytu VLCAD, deficytu LCHAD.

Aktualizacja dostępnych informacji podtrzymuje przyjęte dotychczas wnioski i rekomendację wskazującą na zasadność dalszego finansowania produktu Monogen we wskazaniach, tj. deficyt VLCAD i deficyt LCHAD oraz na zasadność finansowania we wskazaniach: deficyt MTP i naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego. Niemniej nadal podstawowym ograniczeniem analizy klinicznej jest niewielka liczba dowodów, dotyczących efektywności klinicznej i praktycznej stosowania produktu Monogen.

Zgodnie z oszacowaniami wpływu na budżet roczny koszt importu środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Monogen może wynieść od 1,3 mln zł (35 pacjentów) do 5,6 mln zł (155 pacjentów). Należy jednak wskazać, że obliczenia mają charakter poglądowy i mogą nie odzwierciedlać rzeczywistych wydatków ponoszonych przez płatnika publicznego w związku z rzeczywistym dawkowaniem Monogenu uzależnionym od masy ciała pacjenta, a także liczbą pacjentów, u których stosowanie Monogenu byłoby wskazane.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności wydawania zgód na refundację produktu leczniczego Monogen we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt MTP, naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego, 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 z późn. zm.).

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 MTP

Niedobór mitochondrialnego białka trójfunkcyjnego (ang. *mitochondrial trifunctional protein deficiency*) jest zaburzeniem beta-oksydacji kwasów tłuszczowych charakteryzującym się szerokim spektrum klinicznym od ciężkich objawów występujących już w okresie noworodkowym, obejmujących m.in. kardiomiopatię, hipoglikemię, kwasicę metaboliczną, miopatię mięśni szkieletowych, neuropatię, choroby wątroby i zgon, do łagodnego fenotypu z polineuropatią obwodową, epizodami rabdomiolizy i zwyrodnieniem barwnikowym siatkówki.

Naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego

Wrodzony zespół naczyniakowatości jelita cienkiego (WZNLJ, in. choroba Waldmanna) jest to zlokalizowana lub uogólniona choroba naczyń limfatycznych, często związana z patologią układu chłonnego w dowolnej lokalizacji w organizmie. W zespole utrudniony jest przepływ chłonki przez pierwotnie uszkodzone naczynia limfatyczne, co prowadzi do zaburzeń wchłaniania pochodzących z pożywienia witamin rozpuszczalnych w tłuszczach oraz lipidów zawierających długołańcuchowe kwasy tłuszczowe, a z powodu utraty białka pojawiają się obrzęki.

Alternatywna technologia medyczna

Zgodnie z wytycznymi klinicznymi w leczeniu deficytów LCHAD, VLCD oraz MTP zalecana jest dieta z ograniczeniem tłuszczów, przede wszystkim długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (LCT, ang. *long chain triglycerides*), z jednoczesną suplementacją średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych (MCT, ang. *medium chain triglycerides*).

Nie odnaleziono wytycznych dotyczących leczenia żywieniowego ŚSSPŻ o zmodyfikowanej zawartości tłuszczów we wskazaniu naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego.

Zgodnie z Obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 20 października 2023 r. w sprawie wykazu leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 listopada 2023 r. aktualnie ze środków publicznych refundowane jest jeden produkt wzbogacone w MCT - Bebilon Pepti MCT we wskazaniach: zespoły wrodzonych defektów metabolicznych, alergie pokarmowe i biegunki przewlekłe.

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

Opis wnioskowanego świadczenia

Środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego Monogen, proszek, puszka á 400 g jest kompletnym w składniki odżywcze niskotłuszczowym pokarmem z białkiem serwatki w proszku, z niską zawartością długołańcuchowych trójglicerydów i z wysoką zawartością MCT. Zawiera kwas linolowy i kwas alfa-linolenowy. Preparat suplementowany kwasem dokozaheksaenowym i kwasem arachidonowym.

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 śsspż dla części wskazań względem rekomendacji nr 52/2019 z dnia 8 lipca 2019 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego: Monogen we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CACT, chłonkotok (w tym stan po zabiegach kardiologicznych), choroba Leśniowskiego-Crohna, mitochondrialna kardiomiopatia z deficytem kompleksu I łańcucha oddechowego, naczyńniakowatość limfatyczna jelita cienkiego.

Przeprowadzono również przegląd systematyczny w celu odnalezienia dowodów naukowych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa stosowania środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Monogen we wskazaniu deficyt MTP.

W wyniku przeprowadzonego wyszukiwania odnaleziono dla wskazania:

naczyńniakowatość limfatyczna jelita cienkiego

- 3 opisy przypadków, w tym jeden przypadek w którym zastosowano preparat Monogen (Hasosa 2019) oraz dwa przypadki pacjentów, u których zastosowano suplementacje preparatami zawierającymi MCT (Prajapati 2022 oraz Khayat 2021);
- 2 badania retrospektywne dotyczące pacjentów stosujących suplementację MCT:
 - Niu 2021 – do badania włączono 8 pacjentów w średnim wieku podczas diagnozy 5,5 roku;
 - Prasad 2019 – do badania włączono 28 pacjentów w średnim wieku podczas diagnozy 8 lat;

deficyt MTP (wskazanie nie było uwzględnione w poprzedniej rekomendacji)

- opis przypadku pacjenta stosującego suplementację preparatem Monogen oraz Liquigen (abstrakt konferencyjny Sivasubramaniam 2021);
- 1 badanie Spiekerkoetter 2009, opisujące przypadki 75 pacjentów, w tym 38 pacjentów z zaburzeniami mitochondrialnego trójfunkcyjnego kompleksu białkowego (TFP) uwzględniających pacjentów z deficytem MTP, LCHAD oraz LKAT. Spośród 6 pacjentów z TFP 5 stosowało suplementację MCT.

Nie odnaleziono nowych badań dla pozostałych wskazań, tj. deficytu VLCAD oraz deficytu LCHAD.

Skuteczność i bezpieczeństwo

Naczyńniakowatość limfatyczna jelita cienkiego

Opis przypadku Hasosah 2019 dotyczył 5-miesięcznego dziecka, u którego rozpoczęto dietę opartą na MCT (podawano preparat Monogen) i ograniczono spożycie tłuszczu. U dziecka po 3 miesiącach od zastosowanej terapii dietetycznej stwierdzono wzrost masy ciała, ustąpienie biegunki, wyniki badań laboratoryjnych (albumina w surowicy i alfa-1-antytrypsyna w kale) uległy normalizacji. Wskazano na konieczność trwałego stosowania diety, z uwagi na możliwość ponownego pojawienia się objawów klinicznych i biochemicznych po odstawieniu diety niskotłuszczowej.

W dokumencie Prajapati 2022 przedstawiono przypadek 3-letniego dziecka, któremu podawano albuminy ludzkie jako uzupełnienie białka, z furosemidem, multiwitaminami, w tym witaminami rozpuszczalnymi w tłuszczach, żelazem doustnym oraz suplementowano wapniem oraz MCT. Pacjentka zareagowała na leczenie, stopniowo stabilizując się i poprawiając stan kliniczny. Została wypisana ze szpitala do domu w trzecim tygodniu od przyjęcia z zaleceniem stosowania diety bogatej w białko, diety niskotłuszczowej oraz suplementacji MCT (przez całe życie).

Przypadek opisany w dokumencie Khayat 2021 dotyczył 4-letniego dziecka, u którego rozpoczęto stosowanie diety wysokobiałkowej o minimalnej zawartości tłuszczu wraz z suplementacją preparatem o wysokiej zawartości MCT. Stan kliniczny dziecka poprawił się, ustąpiła biegunka, zwiększyła się ilość podskórnej tkanki tłuszczowej, ustąpiło wodobrzusze oraz zmniejszył się obrzęk stopy.

Wyniki badań retrospektywnych wykazały, że:

- Niu 2021 – u 8 pacjentów po zastosowaniu diety z suplementacją MCT (dodatkowo wlewy albumin u 4 pacjentów) stan kliniczny uległ poprawie, w tym odnotowano poprawę stanu odżywienia. U jednego pacjenta możliwe było zastosowanie zwykłej diety, ze względu na brak objawów żołądkowo-jelitowych;
- Prasad 2019 – u wszystkich pacjentów zastosowano terapię dietetyczną (dieta wysokobiałkowa i niskotłuszczowa), obejmujące także stosowanie m.in. oleju MCT, wapnia, witamin ADEK w ramach suplementacji. Dodatkowo 11 pacjentom podano wlew albumin. U 6 spośród 28 pacjentów nie uzyskano poprawy po terapii dietetycznej i rozpoczęto terapię oktreotydem. U 24 pacjentów odnotowano poprawę podczas średniego 39-miesięcznego okresu obserwacji, 4 pacjentów utracono podczas obserwacji, a jeden zmarł. U 8 pacjentów nastąpił nawrót i wymagali ponownej hospitalizacji, wśród przyczyn podano nieprzestęganie zaleceń dietetycznych (6 pacjentów) oraz powikłania (2 pacjentów).

Deficyt MTP

Opis przypadku przedstawiony w abstrakcie konferencyjnym Sivasubramaniam 2021 dotyczył 3-miesięcznego dziecka przyjętego do szpitala na oddział intensywnej terapii ze względu na zasłabnięcie, u którego zdiagnozowano kwasicę metaboliczną i ciężką kardiomiopatię rozstrzeniową. U pacjenta zastosowano dojelitowe karmienie preparatami MCT Monogen i Liquigen. Po 69-dniowym leczeniu na OIOM-ie, pacjent rozwijał się prawidłowo w domu, odnotowano jedynie łagodne zaburzenia czynności serca. W publikacji wskazano, że u pacjentów z deficytem MTP konieczne jest ograniczenie spożycia egzogennych długołańcuchowych kwasów tłuszczowych, aby zapobiec gromadzeniu się toksycznych produktów β -oksydacji.

W badaniu Spiekerkoetter 2009 u 3 pacjentów ograniczono spożycie tłuszczów długołańcuchowych, u 5 pacjentów zastosowano uzupełnienie diety preparatem MCT. Wszyscy pacjenci z TFP otrzymywali dodatkową dawkę węglowodanów (dieta hiperkaloryczna), a u 2 pacjentów zastosowano ciągłe karmienie nocne przez sondę nosowo-żołądkową. U 65% pacjentów (11/17) z zaburzeniami TFP zaobserwowano utrzymującą się lub tymczasową miopatię. U 21% (3/14) pacjentów z zaburzeniami TFP (w tym LCHAD) rozwinęła się neuropatia obwodowa, a u 43% (6/14) retinopatia. U 11 pacjentów z zaburzeniami TFP, miopatia związana była z gorączką i u 9 pacjentów z wysiłkiem fizycznym.

Dodatkowe informacje o bezpieczeństwie

W ulotce zawarto poniższe informacje dotyczące stosowania Monogen:

- produkt należy stosować pod nadzorem lekarza;
- produkt jest odpowiedni dla dzieci od 1. roku życia, jako uzupełnienie diety;
- produkt może być stosowany doustnie lub przez sondę;
- nie należy podawać preparatu pozajelitowo.

Ograniczenia analizy

Głównym ograniczeniem analizy jest niewielka liczba dowodów, dotyczących efektywności klinicznej i praktycznej stosowania produktu Monogen (opisy przypadków Hasosa 2019 i Sivasubramaniam 2021). W większości odnalezionych publikacjach nie wskazano, jakie preparaty MCT stosowali pacjenci.

Ponadto w odnalezionym badaniu retrospektywnym Spiekerkoetter 2009 włączono pacjentów z zaburzeniami mitochondrialnego trójfunkcyjnego kompleksu białkowego, w tej grupie uwzględniono pacjentów z deficytem MTP, LCHAD, w tym jedynie 5 pacjentów stosowało suplementację MCT. Nie przedstawiono jednak oddzielnie wyników dla pacjentów z deficytem MTP stosujących MCT, nie wskazano również jakie produkty MCT stosowano w poszczególnych przypadkach.

W wyniku aktualizacji wyszukiwania nie odnaleziono nowych dowodów dotyczących stosowania mieszanek wzbogaconych o MCT w populacji pacjentów z deficytem VLCAD, deficytem LCHAD.

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 190 380 zł (3 x 63 460 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 Monogen, wynosi: 505,93 zł. Wskazano także, że w okresie styczeń 2022 – sierpień 2023 pozytywnie rozpatrzono zgody na refundację Monogen dla 35 pacjentów (liczba unikalnych numerów

PESEL), którym zrefundowano 4 421 opakowań, dla których łączna kwota refundacji wyniosła ok. 2,24 mln zł.

Koszt średniej rocznej terapii jednego pacjenta na podstawie danych MZ wynosi we wskazaniu:

- deficyt LCHAD: 36 692,57 zł;
- deficyt VLCAD: 43 408,79 zł;
- deficyt MTP: 43 408,79 zł;
- naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego: 27 320,22 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 2023 r., poz. 826 z późn. zm.)

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 wskazują, że średnie roczne wydatki ponoszone przez płatnika publicznego wyniosą:

- ok. 1,3 mln zł - w wariancie uwzględniającym liczebność populacji ze zlecenia MZ (35 pacjentów):
 - deficyt LCHAD (24 pacjentów): ok. 881 tys. zł;
 - deficyt VLCAD (9 pacjentów): ok. 391 tys. zł;
 - deficyt MTP (1 pacjent): ok. 43 tys. zł;
 - naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego (1 pacjent): ok. 27 tys. zł;

- ok. 5,6 mln zł – w wariantcie uwzględniającym maksymalną liczebności populacji wskazaną przez ekspertów (155 pacjentów):
 - deficyt LCHAD (50 pacjentów): ok. 1,8 mln zł;
 - deficyt VLCAD (50 pacjentów): ok. 2,2 mln zł;
 - deficyt MTP (5 pacjentów): ok. 217 tys. zł;
 - naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego (50 pacjentów): 1,4 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. Dodatkowo brak jest możliwości wiarygodnego oszacowania liczebności populacji docelowej.

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

Rekomendacje kliniczne (BIMDG 2020, van Calcar 2020, SERN, GMDI 2019, Zalecenia dietetyczne w pediatrii 2019, Spiekerkoetter 2009) w terapii zaburzeń oksydacji długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (deficyt LCHAD, deficyt VLCAD oraz deficyt MTP) zalecają ograniczenie podaży długołańcuchowych kwasów tłuszczowych oraz stosowanie suplementacji MCT (średniołańcuchowe kwasy tłuszczowe). Wśród specjalnych mieszanek zawierających MCT wymieniany jest między innymi preparat Monogen.

Nie odnaleziono wytycznych dotyczących leczenia żywieniowego we wskazaniu naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego.

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia Ministra Zdrowia z 19.09.2023 r. (znak pisma: PLD.45341.995.2023.1.KB), odnośnie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego: Monogen we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt MTP, naczyniakowatość limfatyczna jelita

cienkiego, 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, z późn. zm.) po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości nr 128/2023 z dnia 6 listopada 2023 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Monogen we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt MTP, naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego.

ZASTĘPCA PREZESA

Daniel Rutkowski

/dokument podpisany elektronicznie/

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 128/2023 z dnia 6 listopada 2023 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Monogen we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt MTP, naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego;
2. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego wydawania zgody na refundację nr: OT.4211.18.2023 (Aneks do opracowania nr: OT.4311.6.2019) Monogen we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt MTP, naczyniakowatość limfatyczna jelita cienkiego. Data ukończenia: 2 listopada 2023 r.