



## Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 59/2024 z dnia 17 czerwca 2024 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego S.O.S. 10, S.O.S. 15, S.O.S. 20, S.O.S. 25 we wskazaniach: uzupełnienie diety w prawidłowym zbilansowaniu dziennego zapotrzebowania na energię i stabilizacji w przebiegu acydurii propionowej, acydurii glutarowej, acydurii metylomalonowej, hiperamonemii pierwotnej, deficycie LCHAD, deficycie VLCAD, lizynurycznej nietolerancji białka, glikogenozie, chorobie syropu klonowego, deficycie CPS1

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego S.O.S. 10, S.O.S. 15, S.O.S. 20, S.O.S. 25 we wskazaniach: uzupełnienie diety w prawidłowym zbilansowaniu dziennego zapotrzebowania na energię i stabilizacji w przebiegu acydurii propionowej, acydurii glutarowej, acydurii metylomalonowej, hiperamonemii pierwotnej, deficycie LCHAD, deficycie VLCAD, lizynurycznej nietolerancji białka, glikogenozie, chorobie syropu klonowego, deficycie CPS1.*

### Uzasadnienie

#### Problem decyzyjny

*W 2021 r. Rada Przejrzystości wydała negatywne stanowisko (nr 31/2021), a Prezes Agencji negatywną rekomendację (nr 31/2021), w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego wskazanych środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego we wskazaniu: uzupełnienie diety w acydurii propionowej, acydurii glutarowej, acydurii metylomalonowej, hiperamonemii pierwotnej, deficycie LCHAD, deficycie VLCAD.*

*W ramach niniejszego zlecenia Minister Zdrowia zwrócił się o zbadanie zasadności wydawania zgód na refundację wymienionych śsspż w tych samych wskazaniach, a także w lizynurycznej nietolerancji białka, glikogenozie, chorobie syropu klonowego i deficycie CPS1.*

*Oceniana interwencja jest stosowana w chorobach rzadkich jako terapia awaryjna. Zgodnie z treścią ulotki produkt S.O.S. należy stosować pod ścisłą*

kontrolą lekarską wyłącznie u pacjentów ze zdiagnozowanymi wrodzonymi wadami metabolicznymi. Produkt ten nie może być jedynym źródłem pożywienia.

#### Dowody naukowe

Odnalezione wytyczne praktyki klinicznej zalecają, by w procedurze awaryjnej przerwać podawanie naturalnych białek na 24-48 godzin (syntetyczna dieta niebiałkowa) oraz zapewnić zapotrzebowanie kaloryczne za pomocą węglowodanów – w postaci doustnych roztworów glukozy, maltodekstryny, mieszanek węglowodanów u pacjentów lub w postaci dożylnych infuzji roztworu glukozy. Polimer glukozy został wskazany w wytycznych BIMDG 2017 dotyczących dietetycznej ścieżki postępowania w chorobie syropu klonowego oraz w wytycznych Forny 2021 odnoszących się do diagnostyki i leczenia acyduirii propionowej i metylomalonowej.

Polskie Zalecenia dietetyczne 2020 nie odnoszą się do zastosowania napoju węglowodanowego, jednak zalecają, aby węglowodany stanowiły 65% zapotrzebowania kalorycznego (podanie dojelitowe) we wszystkich typach glikogenozy. Z kolei Zalecenia dietetyczne w pediatrii 2020 w ramach leczenia choroby syropu klonowego zalecają stosowanie syntetycznej diety niebiałkowej.

W wyniku przeprowadzonych wyszukiwań nie odnaleziono nowych badań spełniających kryteria włączenia. W świetle publikacji Gokmen-Ozel 2010, opisującej badanie kliniczne przeprowadzone u 47 pacjentów z chorobami metabolicznymi, mające na celu porównanie różnych sposobów przygotowania mieszanki węglowodanowej pod kątem sposobu generującego najmniejszą liczbę błędów, stosowanie preparatu w saszetkach zawierających odmierzoną dawkę (w tym preparatu S.O.S.) pozwoliło zmniejszyć liczbę błędów podczas przygotowywania napoju, a w konsekwencji obniżyć ryzyko nietolerancji pokarmowej, biegunki osmotycznej, a w konsekwencji dekompensacji metabolicznej i encefalopatii.

#### Problem ekonomiczny

W okresie od stycznia 2023 r. do kwietnia 2024 r. wydano łącznie 15 zgód na refundację w ramach importu docelowego produktów S.O.S. dla 9 pacjentów, a łączna kwota refundacji dotycząca 97 opakowań wyniosła 12 889,77 zł.

Nie jest możliwe dokładne oszacowanie liczebności populacji docelowej, aczkolwiek dane z dostępnych źródeł wskazują na bardzo małą grupę pacjentów.

Koszt opakowania produktu S.O.S. waha się od około 90 do 158 zł. Koszt 1 g produktu to w przypadku S.O.S. 10 – 0,17 zł, S.O.S. 15 – 0,09 zł, S.O.S. 20 – 0,09 zł, a S.O.S. 25 – 0,1 zł. Natomiast cena dostępnego w Polsce, lecz nierefundowanego, produktu Fantomalt to około 48-58 zł za opakowanie 400 g, czyli od 0,12 do 0,15 zł za 1 g.

### Główne argumenty decyzji

*Stanowisko Rady Przejrzystości z 2021 r. opierało się na założeniu, że śsspż S.O.S. ma takie samo zastosowanie, jak dostępny na rynku polskim produkt Fantomalt, którego cena jest istotnie niższa. Nie ma zatem podstaw do sprowadzania z zagranicy innego preparatu, o nieudowodnionej przewadze klinicznej względem preparatu dostępnego. W ramach obecnej oceny ustalono natomiast, że koszt ocenianej interwencji jest zbliżony lub niższy niż produktu Fantomalt. Pozyskana opinia eksperta klinicznego podkreśla zaś, że prawidłowo zbilansowana dieta, z zastosowaniem ocenianego preparatu, zwiększa komfort życia pacjentów i zapobiega dekomensacjom metabolicznym. Finansowanie tego produktu nie tylko nie obciąży zasadniczo budżetu płatnika, ale też spowoduje oszczędności na wydatkach wynikających z incydentów dekompresji.*

### Uwaga Rady

*Zmiana stanowiska Rady w porównaniu do stanowiska nr 31/2021 wynika ze zrównania ceny produktu Fantomalt z produktem S.O.S. i z pozytywnych opinii ekspertów.*

### **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 2024 r., poz. 146) 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 2023 r., poz. 826 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4211.7.2024 (Aneks do opracowania nr: OT.4311.16.2020) „S.O.S. 10, S.O.S. 15, S.O.S. 20, S.O.S. 25 we wskazaniach: uzupełnienie diety w prawidłowym zbilansowaniu dziennego zapotrzebowania na energię i stabilizacji w przebiegu acydurii propionowej, acydurii glutarowej, acydurii metylomalonowej, hiperamonemii pierwotnej, deficycie LCHADD, deficycie VLCA, lizynurycznej nietolerancji białka, glikogenozy, chorobie syropu klonowego, deficycie CPS1”, data ukończenia: 13 czerwca 2024 r.