



Stanowisko Rady Przejrzystości  
nr 65/2024 z dnia 8 lipca 2024 roku  
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację leku Glycosade  
we wskazaniach: glikogenoza oraz glikogenoza typu Ia, Ib, III, IV, VI,  
IX, XI, III-VI-IX

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację leku Glycosade we wskazaniach: glikogenoza oraz glikogenoza typu Ia, Ib, III, IV, VI, IX, XI, III-VI-IX.*

**Uzasadnienie**

Problem decyzyjny

*Utrzymanie refundacji w ramach importu docelowego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia Glycosade we wskazaniach glikogenoza oraz glikogenoza typu Ia, Ib, III, IV, VI, IX, XI, III-VI-IX*

Dowody naukowe

*Od poprzedniej opinii Rady ukazało się 5 nowych badań spełniających kryteria włączenia do przeglądu systematycznego, w tym badanie chińskie na dużej populacji N=95 pacjentów. Badania potwierdzają, iż terapia skrobią kukurydzianą poprawia parametry kliniczne i biochemiczne u pacjentów z GSD typu VI i Ia. Badania wskazują na lepsze efekty terapii przy wczesnym (poniżej 6 r.ż.) włączeniu terapii. Brak jest dowodów dotyczących efektywności klinicznej u pacjentów z glikogenozą typu innego niż I i VI.*

Problem ekonomiczny

*Roczne wydatki na refundację Glycosade w 2023 r. wyniosły ok. 260 tys. zł., co stanowiło refundację 272 opakowań dla 29 pacjentów.*

Główne argumenty decyzji:

- *Wystarczające dowody naukowe na skuteczność wnioskowanej terapii.*
- *Brak nowych doniesień ani okoliczności mogących wpłynąć na dotychczasowe opinie Rady w przedmiotowym temacie.*

**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 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4211.8.2024 „Glycosade we wskazaniach: glikogenoza oraz glikogenoza typu Ia, Ib, III, IV, VI, IX, XI, III-VI-IX”; data ukończenia: 4 lipca 2024 r. stanowiącego aneks do opracowania: OT.4311.18.2020