



## **Rekomendacja nr 107/2024**

**z dnia 11 października 2024 r.**

**Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji  
w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka  
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego MCT Oil  
we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD,  
deficyt dehydrogenazy pirogronianu, zespół jelitowej ucieczki  
białka, wada serca – stan po zabiegach kardiochirurgicznych,  
deficyt CPT1, deficyt CPT2, deficyt MTP, hipertrójglicerydemia,  
acyduria malonowa, acyduria metylomalonowa, zespół Alagille’a,  
wrodzone zaburzenie glikozylacji typu 1a PMM2-CDG, chłonkotok,  
niedobór lipazy lipoproteinowej, cytrulinemia typu II, deficyt CACT**

**Prezes Agencji rekomenduje** wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego MCT Oil we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt dehydrogenazy pirogronianu, zespół jelitowej ucieczki białka, wada serca – stan po zabiegach kardiochirurgicznych, deficyt CPT1, deficyt CPT2, deficyt MTP, hipertrójglicerydemia, acyduria malonowa, acyduria metylomalonowa, zespół Alagille’a, wrodzone zaburzenie glikozylacji typu 1a PMM2-CDG, chłonkotok, niedobór lipazy lipoproteinowej, cytrulinemia typu II, deficyt CACT.

### **Uzasadnienie rekomendacji**

Aktualna ocena, podobnie jak poprzednia z czerwca 2021 r., dotyczy oceny zasadności dalszego finansowania ze środków publicznych, środka spożywczego sprowadzanego z zagranicy stanowiącego wsparcie w zakresie bilansowania diety o ograniczonej zawartości tłuszczu. Populacje pacjentów obejmują zaburzenia utleniania kwasów tłuszczowych oraz stan po zabiegach kardiochirurgicznych. W porównaniu do poprzednich ocen obecna obejmuje również nie uwzględniony uprzednio deficyt palmitylotransferazy karnityny typu 2 (deficyt CPT2). W analizowanych wskazaniach sprowadzane są również inne produkty spożywcze mające na celu zapewnienie właściwych proporcji kwasów tłuszczowych w diecie lub wzbogacenie diety, takie jak: FruitiVits, Lipistart, Liquigen, MCT Procal, Milupa Basic-F, Monogen, SOS, Complete Amino Acid Mix, DocOmega, Paediatric Seravit, K.Yo. W związku z czym Prezes Agencji nie dostrzega niezaspokojonej potrzeby zdrowotnej.

Dostępne dowody naukowe dotyczą suplementacji diety kwasami tłuszczowymi o średniej długości łańcucha, w związku z czym w zdecydowanej większości przypadków nie referują do konkretnego środka spożywczego. Aktualizacja w zakresie skuteczności klinicznej

i bezpieczeństwa stosowania wnioskowanej technologii nie wykazała istnienia dowodów naukowych zmieniających wnioskowanie z poprzednich ocen. W zakresie nowego wskazania (deficyt CPT2) odnaleziono trzy opisy przypadków.

Prognozowany roczny koszt dla płatnika publicznego oszacowany został na ok. 0,7 mln zł. Należy w tym miejscu zaznaczyć, że obciążenie budżetu płatnika wzrosło ponad pięciokrotnie w porównaniu do poprzednich szacunków, przy porównywalnej liczebności populacji.

Mając na uwadze powyższe Prezes Agencji utrzymuje w mocy uprzednią ocenę rekomendując dalsze wydawanie zgód na refundację produktu MCT Oil sprowadzanego z zagranicy w trybie importu docelowego.

### **Przedmiot wniosku**

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego:

- MCT Oil, płyn, butelka à 500 ml,

produkt sprowadzany jest z zagranicy w oparciu o art. 4 ustawy z dnia 6 września 2001 r. Prawo farmaceutyczne (Dz.U. z 2022 r. poz. 2301, z późn. zm.). W zleceniu określono, że ocena dotyczy wskazań: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt dehydrogenazy pirogronianu, zespół jelitowej ucieczki białka, wada serca – stan po zabiegach kardiologicznych, deficyt CPT1, deficyt CPT2, deficyt MTP, hipertrójglicydemia, acyduria malonowa, acyduria metylomalonowa, zespół Alagille’a, wrodzone zaburzenie glikozylacji typu 1a PMM2-CDG, chłonkotok, niedobór lipazy lipoproteinowej, cytrulinemia typu II, deficyt CACT.

### **Problem zdrowotny**

Analizowane wskazania obejmują szeroki zakres problemów zdrowotnych należących do zaburzeń metabolicznych oraz chorób układu limfatycznego:

- Deficyty LCHAD (dehydrogenazy 3-hydroksyacylo-koenzymu A długołańcuchowych kwasów tłuszczowych), MTP (mitochondrialnego białka trójfunkcyjnego), VLCAD (dehydrogenazy acylo-CoA kwasów tłuszczowych o bardzo długim łańcuchu,) CACT (translokazy karnitynoacylokarnitynowej), CPT1 (transferazy karnitynowo-palmitynowej typu 1) i CPT2 (transferazy karnitynowo-palmitynowej typu 2) należą do zaburzeń spalania tłuszczów długołańcuchowych. Objawy oraz ciężkość choroby wynikają z niemożności rozkładu i wykorzystania jako źródła energii tłuszczu, dostarczanego z pożywienia. Schorzenia te charakteryzują się szerokim spektrum klinicznym objawów występujących już w okresie noworodkowym, obejmujących m.in. kardiomiopatię, hipoglikemię, kwasicę metaboliczną, miopatię mięśni szkieletowych, neuropatię. Deficyt LCHAD należy w populacji polskiej do najczęściej ujawniających się klinicznie zaburzeń procesu oksydacji kwasów tłuszczowych (częstość występowania deficytu LCHAD oceniono na 0,8/10 000 na terenie UE).
- Deficyt dehydrogenazy pirogronianu (PDH) to rzadka choroba neurometaboliczna, która charakteryzuje się szerokim spektrum objawów klinicznych, w tym metabolicznych i neurologicznych o różnym nasileniu. PDH należy do chorób wymagających leczenia dietą ketogenną. Chorobowość wynosi <1/1 000 000.
- Hipertrójglicydemia to schorzenie, w którym dochodzi do wtórnych niedoborów średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych. Hiperlipoproteinemia typu V charakteryzuje się obecnością chylomikronów w osoczu na czczo oraz zwiększonym stężeniem VLDL. Rodzinny zespół chylomikronemii to dyslipidemia polegająca na stałej obecności chylomikronów w osoczu na czczo, bez zwiększonego stężenia VLDL. Na świecie rodzinny zespół chylomikronemii występuje bardzo rzadko (1/1 000 000).

- Zespół jelitowej ucieczki białka to schorzenie, w którym dochodzi do niedoborów kalorycznych; jest to zespół objawów klinicznych związanych z nadmierną utratą białek osocza do światła jelita w wyniku zmian morfologiczno-czynnościowych naczyń chłonnych lub poprzez chorobowo zmienioną błonę śluzową.
- Niedobór lipazy lipoproteinowej jest rzadką chorobą genetyczną powodującą gromadzenie tłuszczów we krwi. Jest uwarunkowany genem autosomalnym recesywnym. Częstość występowania bezobjawowych heterozygot wynosi około 1:500, w postaci homozygotycznej natomiast zdarza się u około jednej osoby na milion.
- Acyduria malonowa jest bardzo rzadką chorobą metaboliczną spowodowaną niedoborem dekarboksylazy malonylo-CoA; opisano mniej niż 20 przypadków na świecie.
- Acyduria metylomalonowa (MMA) jest chorobą dziedziczną w sposób autosomalny recesywny. Należy do grupy wrodzonych wad metabolizmu aminokwasów i skutkuje zwiększonym stężeniem kwasu metylomalonowego we krwi i moczu. U dzieci objawy najczęściej pojawiają się już w pierwszych dniach, najpóźniej po kilku tygodniach życia. Zalicza się do nich: wymioty, odwodnienie, brak apetytu, brak przyrostu masy ciała, senność (zdarza się, że zapadają w śpiączkę), zwiotczenie ciała, drgawki. W przypadku długotrwałych powikłań obserwuje się: niepełnosprawność intelektualną, choroby nerek, zapalenie trzustki. Bez leczenia choroba może prowadzić do śpiączki i śmierci. Późne przypadki MMA mogą wystąpić w każdym wieku (okresie niemowlęcym, dzieciństwie lub nawet później) i mają bardzo zróżnicowany obraz kliniczny.
- Zespół Alagille'a – zespół chorobowy uwarunkowany genetycznie (zmiany w genie JAG1), czego skutkiem jest występowanie objawów ze strony różnych układów i narządów: przewlekła cholestaza (nieprawidłowości w obrębie dróg żółciowych), zwężenie tętnic płucnych, wady kręgosłupa, charakterystyczne wady wrodzone twarzy, zmiany w obrębie gałki ocznej, barwnikowe zwyrodnienie siatkówki, dysplazja nerek. U części pacjentów obserwuje się również nieprawidłową budowę serca (wady przegrody międzykomorowej, tetralogię Fallota). Chorobowość wynosi ok. 1/70 tys. osób. Leczenie obejmuje, m.in. dietę z wysoką zawartością węglowodanów i średniołańcuchowych trójglicerydów oraz suplementację witaminową.
- PMM2-CDG jest najczęstszą postacią wrodzonych zaburzeń N-glikozylacji i charakteryzuje się dysfunkcją mózdzku, nieprawidłowym rozmieszczeniem tkanki tłuszczowej, odwróceniem brodawek sutkowych, zezem i hipotonią. Niemowlęta zwykle rozwijają ataksję, opóźnienie psychomotoryczne i objawy pozaneurologiczne, w tym zaburzenia rozwoju, enteropatię, zaburzenia czynności wątroby, zaburzenia krzepnięcia. Dochodzi również do zajęcia serca i nerek. Fenotyp jest jednak bardzo zmienny i obejmuje zarówno niemowlęta, które umierają w pierwszym roku życia, jak i osoby dorosłe z łagodnymi objawami. Leczenie ma charakter objawowy.
- Chłonkotok (wysięk opłucnowy utworzony przez chłonkę) jest rzadkim powikłaniem rozległych zabiegów operacyjnych w obrębie klatki piersiowej, jak również wrodzonym schorzeniem noworodków lub konsekwencją procesów rozrostowych w obrębie klatki piersiowej.
- Cytrulinemia typu II wynika z deficytu syntazy kwasu argininobursztynowego, w której dochodzi do gromadzenia się cytruliny. Choroba ma wiele objawów, w tym noworodkową encefalopatię hiperamonemiczną z letargiem, napadami padaczkowymi i śpiączką; zaburzenia czynności wątroby we wszystkich grupach wiekowych; epizody hiperamonemii i objawów neuropsychiatrycznych u dzieci lub dorosłych.

Zgodnie z informacjami przekazanymi przez MZ, liczba pacjentów, dla których zrefundowano ocenianą interwencję w 2023 r. wyniosła 124.

## Alternatywna technologia medyczna

Biorąc pod uwagę wytyczne praktyki klinicznej, aktualne obwieszczenie w sprawie listy leków refundowanych i zakres świadczeń gwarantowanych należy wskazać, że środki spożywcze takie jak produkt MCT Oil stanowią uzupełnienie zalecanej do stosowania diety o obniżonej zawartości tłuszczu i/lub suplementacji kwasów tłuszczowych o średniej długości łańcucha (MCT).

W związku z powyższym komparatorem dla ocenianej technologii jest najlepsza terapia wspomagająca, prowadzona w oparciu o różne technologie zarówno konwencjonalne jak i medyczne.

W ramach importu docelowego sprowadzane dla pacjentów są również inne produkty spożywcze mające na celu wsparcie w bilansowaniu oraz zwiększenie tolerancji diety. Za najbardziej zbliżone jeżeli chodzi o cel interwencji uznano Liquigen (emulsja 50% MCT i 50% woda), preparat złożony MCT Procal (96% MCT) oraz Betaquik (20% emulsja MCT). Niemniej wskazuje się, że wymienione produkty różnią się od siebie zawartością MCT, postacią i wskazaniami.

## Opis wnioskowanego świadczenia

MCT Oil zawiera średniołańcuchowe kwasy tłuszczowe (frakcjonowany olej kokosowy, olej z ziaren palmowych). Wskazany jest do stosowania u pacjentów w każdym wieku, jako uzupełnienie diety.

## 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 poprzednich Rekomendacjach (27/2018<sup>1</sup> oraz 65/2021<sup>2</sup>) przedstawiono dowody z różnych poziomów wiarygodności. Analiza uwzględniała zarówno jedno badanie RCT, badania retrospektywne, jak i opisy serii oraz pojedynczych przypadków. W wyniku przeprowadzonego przeglądu systematycznego wykazano, że większość dowodów wskazywała na zasadność stosowania MCT.

W aktualizacji przeglądu odnaleziono

- 3 badania o charakterze retrospektywnym (Yang 2024, Gillingham 2024, Ambrose 2022) raportujące wyniki w populacji pacjentów z zaburzeniami utleniania długołańcuchowych kwasów tłuszczowych;
- 1 badanie prospektywne Folwaczny 2021 w populacji pacjentów z hipertrójglicerydemią;
- 2 opisy – serii przypadków (Aljouda 2023) i pojedynczego przypadku (Arslan 2024) pacjentów z niedoborem lipazy lipoproteinowej;
- 1 retrospektywne badanie (Kido 2022) u pacjentów z cytrulinemią typu II;
- 3 opisy przypadków (Shima 2016, Alsahlawi 2022, Alabbasi 2024) raportujących wpływ diety z dodatkiem oleju MCT na wyniki pacjentów z deficytem palmitylotransferazy karnityny typu 2.

<sup>1</sup> [https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia\\_mz/2018/022/REK/RP\\_27\\_2018\\_MCT.pdf](https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2018/022/REK/RP_27_2018_MCT.pdf) (data dostępu: 08.10.2024 r.)

<sup>2</sup> [https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia\\_mz/2021/073/REK/RP\\_2065\\_2021.pdf](https://bip.aotm.gov.pl/assets/files/zlecenia_mz/2021/073/REK/RP_2065_2021.pdf) (data dostępu: 08.10.2024 r.)

### Skuteczność

Dla wskazań związanych z zaburzeniami utleniania długołańcuchowych kwasów tłuszczowych:

- Dwa z odnalezionych doniesień nie pozwalają na wnioskowanie o skuteczności ze względu na projekt analizy. W badaniu Ambrose 2022 oceniano poziom przestrzegania (compliance) zaleceń dietetycznych, przy czym wykazano, że im wyższy compliance tym lepsza kontrola choroby. Z kolei w Gillingham 2024 oceniano wpływ wczesnego badania przesiewowego w kierunku choroby podstawowej w porównaniu do diagnozy stawianej po wystąpieniu objawów, odnotowano istotne różnice na korzyść wczesnego przesiewu. Autorzy wskazali na podobne postępowanie, w tym dietetyczne, między grupami.
- W badaniu porównawczym Yang 2024 względem terapii triheptanoiną<sup>3</sup> wykazano istotne różnice na niekorzyść terapii wspomaganej wyłącznie kwasami MCT. Podczas stosowania diety MCT 54% pacjentów doświadczyło poważnych zdarzeń klinicznych w porównaniu do 36% pacjentów stosujących trihetapoinę. Nieznaczną rzewagę dla MCT zaobserwowano jedynie w przypadku częstości wizyt ambulatoryjnych, choć ogólne zużycie zasobów opieki zdrowotnej było zdecydowanie wyższe w grupie z MCT (1,2 pobytu w szpitalu, 1,0 wizyt na SOR w porównaniu z 0,2 pobytów w szpitalu; 0,3 wizyt na SOR).

Badanie przeprowadzone w populacji hipertrójglicydemii raportowano wyłącznie surogatowe punkty końcowe, a celem była ocena metaboliczna posiłków o różnym składzie kwasów tłuszczowych. W związku z czym badanie nie pozwala na wnioskowanie o skuteczności klinicznej diety wzbogaconej o MCT ze względu na charakter.

W doniesieniach dla niedoboru lipazy lipoproteinowej również analizowano surogatowe punkty końcowe, związane były z poziomem triglicerydów we krwi. Wykazano zmniejszenie poziomu u pacjentów, którzy zastosowali modyfikację diety. W przypadku doniesień dla nowoocenicznego wskazania związanego z deficytem palmitylotransferazy karnityny typu 2 wskazywano na redukcję objawów klinicznych. Niemniej dla tych jednostek przedstawiono opisy przypadków, które nie pozwalają na wnioskowanie o skuteczności ocenianej strategii terapeutycznej, będącej w zasadzie interwencją żywieniową.

Dla cytrulinemii typu II przedstawiono badanie kohortowe, gdzie analizowano czy stosowanie modyfikacji diety (w tym podanie MCT Oil) we wczesnym okresie życia (pacjenci z NICCD) u pacjentów z deficytem cytrynu niesie większe korzyści niż rozpoczęcie leczenia w późniejszym okresie (pacjenci z CTLN2). Obserwowane różnice, w których wykazano istotność statystyczną były związane wyłącznie z poziomami poszczególnych aminokwasów.

### Ograniczenia

Głównym ograniczeniem analizy jest ograniczona liczba dostępnych dowodów naukowych oraz brak dowodów naukowych odpowiedniej jakości pozwalających na wnioskowanie o użyteczności włączenia środka MCT Oil do prowadzonej w racjonalny i zrównoważony sposób diety o zmodyfikowanej zawartości kwasów tłuszczowych.

Ponadto analizowane doniesienia miały nieznaczną wartość poznawczą w zakresie oceny wielkości efektu terapeutycznego interwencji dietetycznej mającej na celu wzbogacenie diety o kwasy tłuszczowe ze średnią długością łańcucha. Odnalezione dowody są z niskiego poziomu wiarygodności. Włączone do analizy badania retrospektywne cechują się licznymi ograniczeniami metodologicznymi. Ponadto w większości uwzględnionych badań MCT Oil nie był jedyną interwencją – ogólnie

---

<sup>3</sup> Triheptanoina to substancja czynna zawarta w produkcie Dojolvi, ocenianym w 2021 roku przez Agencję we wskazaniu obejmującym niedobór mitochondrialnego białka trójfunkcyjnego. Prezes Agencji wydał wówczas negatywną rekomendację wskazując brak informacji o skuteczności leczenia w porównaniu z dostępnymi opcjami alternatywnymi i stanie klinicznym pacjenta, dla którego złożono wnioszek. Koszt refundacji wnioskowanej technologii wyniósłby w skali roku 648 000 zł netto.

wprowadzono postępowanie dietetyczne obejmujące, m.in. dietę z obniżoną zawartością długołańcuchowych trójglicerydów, suplementację MCT, suplementację l-karnityną.

Nadal brak jest dowodów naukowych dla stosowania MCT Oil dla części wskazań objętych zleceniem, tj. wada serca – stan po zabiegach kardiochirurgicznych, deficyt CPT1, acyduria malonowa, acyduria metylomalonowa, zespół Alagille’a, wrodzone zaburzenie glikozylacji typu 1a PMM2-CDG, chłonkotok, deficyt CACT.

### **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/QALY (3 x 63 460,00 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.*

W oparciu o niesystematyczne wyszukiwanie nie odnaleziono żadnych analiz farmakoekonomicznych wskazujących na użyteczność kosztową ocenianej interwencji.

### **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 2024 r. poz. 930 z późn. zm.)**

*Jeżeli analiza kliniczna wnioskodawcy nie zawiera randomizowanych badań klinicznych dowodzących wyższości leku nad technologiami medycznymi dotychczas refundowanymi w danym wskazaniu, to cena zbytu netto 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.*

W 2023 r. wydano łącznie 186 zgód na refundację produktu MCT Oil dla 124 pacjentów, z czego najwięcej z deficytem LCHAD (n=64) oraz VLCHAD (n=27). Łączna liczba zrefundowanych opakowań wyniosła 2 434, gdzie kwota za opakowanie wynosiła 255,69 zł, natomiast łączna kwota za refundację wynosiła ok. 622 tys. zł, z czego ok. 361 tys. zł dotyczyło deficytu LCHAD.

W tym miejscu należy wskazać, że mając na uwadze dane ze zlecenia środek MCT Oil nie był sprowadzany w części ocenianych wskazań: niedobór lipazy lipoproteinowej, wrodzone zaburzenie glikozylacji typu 1a - PMM2-CDG, acyduria malonowa, acyduria metylmalonowa oraz deficyt CACT.

Oszacowane roczne wydatki płatnika na refundację MCT Oil wyniosą 690 696,12 zł.

#### *Ograniczenia*

Obliczenia mają charakter jedynie poglądowy, z uwagi na niepewności dotyczące liczebności chorych w kolejnych latach.

#### **Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka**

Nie dotyczy.

#### **Uwagi do 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 w odniesieniu do ocenianej technologii**

W poprzednio wydanych rekomendacjach wskazano, że w wytycznych dotyczących zaburzeń utleniania kwasów tłuszczowych wymienia się MCT jako element leczenia żywieniowego. Dokumenty dotyczące leczenia dyslipidemii nie zawierały informacji dotyczących włączenia MCT do postępowania dietetycznego. Uwzględniono rekomendacje dotyczące leczenia acydurii metylmalonowej i chłonnokotoku. W jednym dokumencie wskazano na zastosowanie MCT w leczeniu chłonnokotoku.

Aktualizacja danych w oparciu o 7 nowych dokumentów wskazuje na postępowanie terapeutyczne w większości spójne w zakresie zaburzeń oksydacji kwasów tłuszczowych, hipertrójglicerdemii, chłonnokotoku oraz acydurii metylmalonowej. Nie odnaleziono wytycznych dla pozostałych wskazań: deficyt CPT1, acyduria malonowa, cytrulinemia typu II, deficyt CACT, zespół Alagille'a oraz wrodzone zaburzenie glikozylacji typu 1a - PMM2-CDG.

#### *Rekomendacje refundacyjne*

Nie odnaleziono rekomendacji.

#### **Podstawa przygotowania rekomendacji**

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia Ministra Zdrowia z dnia 18 czerwca 2024 r. (PLD.45341.567.2024.1.KB) w sprawie ponownego zbadania zasadności wydawania zgód na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego:

- MCT Oil, płyn, butelka à 500 ml doustna,

we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt dehydrogenazy pirogronianu, zespół jelitowej ucieczki białka, wada serca – stan po zabiegach kardiochirurgicznych, deficyt CPT1, deficyt CPT2, deficyt MTP, hipertrójglicerydemia, acyduria malonowa, acyduria metylomalonowa, zespół Alagille'a, wrodzone zaburzenie glikozylacji typu 1a PMM2-CDG, chłonnokotok, niedobór lipazy lipoproteinowej, cytrulinemia typu II, deficyt CACT, na podstawie art. 39 ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2024 r., poz. 930 z późn. zm.), po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości.

**PREZES**

**Daniel Rutkowski**

*/dokument podpisany elektronicznie/*

#### **Piśmiennictwo**

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 103/2024 z dnia 7 października 2024 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia MCT Oil w wielu wskazaniach
2. Raport nr OT.4211.19.2024, MCT Oil we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt dehydrogenazy pirogronianu, zespół jelitowej ucieczki białka, wada serca – stan po zabiegach kardiochirurgicznych, deficyt CPT1, deficyt CPT2, deficyt MTP, hipertrójglicerydemia, acyduria malonowa, acyduria metylomalonowa, zespół Alagille'a, wrodzone zaburzenie glikozylacji typu 1a PMM2-CDG, chłonnokotok, niedobór lipazy lipoproteinowej, cytrulinemia typu II, deficyt CACT; Opracowanie na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację. Aneks do opracowania nr: OT.4211.13.2021. Data ukończenia: 3 października 2024 r.