



Rekomendacja nr 169/2025

z dnia 14 listopada 2025 r.

**Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego
specjalnego przeznaczenia żywieniowego K.Quik we wskazaniach:
deficyt transportera glukozy GLUT-1, deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt
CPT1, deficyt MTP, deficyt dehydrogenazy pirogronianowej,
padaczka lekooporna**

Prezes Agencji rekomenduje objęcie refundacją środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego K.Quik we wskazaniach: deficyt transportera glukozy GLUT-1, deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, deficyt MTP, deficyt dehydrogenazy pirogronianowej, padaczka lekooporna.

Uzasadnienie

Ocena dotyczy zbadania zasadności wydawania zgód na refundację w ramach importu docelowego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspż) K.Quik mieszanki, średniołańcuchowych trójglicerydów (MCT), w postaci emulsji płynnej do stosowania enteralnego (doustnie lub przez zgłębnik), we wskazaniach: deficyt transportera glukozy GLUT-1, deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, deficyt MTP, deficyt dehydrogenazy pirogronianowej, padaczka lekooporna. Produkt K.Quik nie jest dostępny w obrocie na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej.

Wnioskowany śsspż był oceniany przez Agencję w 2022 r. (pod ówczesną nazwą Betaquik) w węższym zakresie wskazań, tj.: deficyt transportera glukozy GLUT-1 oraz padaczka lekooporna. Zarówno Stanowisko Rady Przejrzystości nr 53/2022 z dnia 30 maja 2022 roku, jak i Rekomendacja nr 55/2022 z dnia 3 czerwca 2022 r. były pozytywne.

Obecnie w ramach importu docelowego sprowadzane są inne preparaty zawierające MCT, takie jak: K.Vita, Liquigen, MCT Oil, MCT Procal, Lipistart i Monogen, jednak różnią się one składem od K.Quik.

Odnalezione wytyczne zalecają dietę ketogeniczną, w tym opartą na MCT, we wszystkich ocenianych wskazaniach. Zalecany jest indywidualny dobór postępowania dietetycznego do potrzeb chorego. Wnioskowany śsspż (pod nazwą Betaquik) został wymieniony jako przykład preparatu o wysokiej zawartości MCT.

W ramach przeglądu piśmiennictwa nie odnaleziono bezpośrednich dowodów naukowych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo śsspż K.Quik. Zidentyfikowane badania dotyczą stosowania diety opartej na MCT w padaczce lekoopornej oraz w deficycie LCHAD lub MTP u pacjentów pediatrycznych. Wyniki wskazują, że suplementacja MCT w połączeniu z terapią standardową może być skuteczna w leczeniu padaczki lekoopornej u pacjentów dorosłych i pediatrycznych, a także mieć korzystny wpływ na wzrost i rozwój pacjentów pediatrycznych z deficytem LCHAD lub MTP. Jednak ze względu na małą liczebność prób i ograniczenia metodologiczne, wyniki tych badań należy interpretować z ostrożnością. Nie odnaleziono badań dla pozostałych wskazań (deficyt GLUT-1 (opublikowanych od 2022 r.), deficyt VLCAD, deficyt CPT1 i deficyt dehydrogenazy pirogronianowej).

Oszacowano, że finansowanie śsspż K.Quik w ramach importu docelowego będzie skutkowało obciążeniem finansowym dla płatnika publicznego w wysokości około 54 tys. zł rocznie.

Uwzględniając wnioski płynące z przeprowadzonych analiz oraz pozytywne Stanowisko wydane przez Radę Przejrzystości, finansowanie śsspż K.Quik we wnioskowanym wskazaniu uznaje się za zasadne.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego K.Quik, płynna emulsja, we wskazaniach: deficyt transportera glukozy GLUT-1, deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, deficyt MTP, deficyt dehydrogenazy pirogronianowej, padaczka lekooporna 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. 2025 r., poz. 907 z późn. zm.).

Problem zdrowotny

Analizowane wskazania obejmują choroby metaboliczne o podłożu genetycznym oraz padaczkę lekooporną:

- zespół niedoboru transportera glukozy typu 1 (GLUT-1) to rzadkie zaburzenie charakteryzujące się niedoborem glikoproteiny, skutkujące ograniczeniem dostępności glukozy dla komórek mózgowych;
- deficyty: dehydrogenazy 3-hydroksyacylo-koenzymu A długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (LCHAD, ang. *long-chain 3-hydroxyacyl-coenzyme A dehydrogenase deficiency*), dehydrogenazy acylo-CoA kwasów tłuszczowych o bardzo długim łańcuchu (VLCAD, ang. *very long chain fatty acyl-CoA dehydrogenase deficiency*), transferazy karnitynowo-palmitynowej typu 1 (CPT1, ang. *Carnitine palmitoyltransferase I deficiency*) oraz mitochondrialnego białka trójfunkcyjnego (MTP, ang. *mitochondrial trifunctional protein deficiency*), należą do zaburzeń spalania tłuszczów długołańcuchowych. Objawy oraz ciężkość choroby wynikają z niemożności rozkładu i wykorzystania jako źródła energii tłuszczu dostarczanego z pożywienia;
- deficyt dehydrogenazy pirogronianowej to rzadka choroba neurometaboliczna charakteryzująca się szerokim spektrum objawów klinicznych, w tym metabolicznych i neurologicznych o różnym nasileniu.
- padaczka lekooporna jest rozpoznawana wtedy, gdy dwie kolejne próby interwencji lekowych w ramach monoterapii lub terapii dodanej (dobrze tolerowanych, właściwie dobranych i odpowiednio użytych) nie doprowadzają do osiągnięcia utrwalonej i pełnej kontroli napadów.

Alternatywna technologia medyczna

Pacjenci mogą stosować śsspz zawierające średniołańcuchowe trójglicerydy (MCT), tj. m. in.: K.Vita, Liquigen, MCT Oil, MCT Procal, Lipistart i Monogen, sprowadzane głównie w ramach importu docelowego, jednakże różnią się one składem od ocenianego śsspz K.Quik. Spośród śsspz zawierających MCT obecnie refundowany jest jedynie Bebilon Pepti MCT, preparat mlekozastępczy w proszku, przeznaczony dla niemowląt wymagających stosowania diety eliminacyjnej.

W przypadku padaczki lekoopornej alternatywne postępowanie obejmuje: farmakoterapię, implantację stymulatora nerwu błędnego, zabiegi neurochirurgiczne.

Opis wnioskowanego świadczenia

K.Quik to gotowa do spożycia, płynna emulsja (bezzmakowa), mieszanka średniołańcuchowych trójglicerydów. Opakowanie zawiera 15 butelek po 225 ml. Według informacji producenta śsspz K.Quik jest przeznaczony do postępowania dietetycznego w stanach wymagających źródła MCT, w tym w diecie ketogenicznej. Dawkowanie zależy od wieku, masy ciała i stanu zdrowia pacjenta, jest ustalane przez lekarza/dietetyka. K.Quik jest odpowiedni dla pacjentów od 3. roku życia. Nie należy stosować go u osób z niedoborem dehydrogenazy acylo-CoA średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych (MCADD).

Oceniane wskazania wykraczają poza zapisy rejestracyjne – w zleceniu populacja nie została zawężona do osób powyżej 3. roku życia.

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

Przeprowadzono wyszukiwanie aktualizacyjne dla wcześniej ocenianych wskazań (deficyt GLUT-1 oraz padaczka lekooporna) oraz pełne wyszukiwanie dla pozostałych wskazań. Nie odnaleziono

badania dotyczących bezpośrednio oceny skuteczności i bezpieczeństwa śspz K.Quik. Do analizy klinicznej włączono 5 badań dotyczących stosowania diety opartej na MCT, w tym 2 w padaczce lekoopornej (Rasmussen 2022 – badanie prospektywne, jednoramienne, Shin 2022 – randomizowane badanie typu cross-over) i 3 w deficycie LCHAD lub MTP u pacjentów pediatrycznych (Gillingham 2003 – badanie prospektywne jednoramienne, Gillingham 2006 – randomizowane badanie typu cross-over, De Biase 2016 – badanie retrospektywne). Badania obejmowały małe grupy pacjentów (5-15 osób).

Skuteczność

Padaczka lekooporna:

Wyniki obu badań sugerują, że suplementacja MCT w połączeniu ze standardową terapią może być skuteczna w leczeniu padaczki lekoopornej zarówno u dorosłych, jak i u dzieci.

deficyt LCHAD lub MPT:

Wyniki badań sugerują, że suplementacja MCT w połączeniu ze standardową terapią może mieć korzystny wpływ na wzrost i rozwój pacjentów pediatrycznych z deficytem LCHAD lub MPT a także, że szczególne znaczenie może mieć koordynacja suplementacji MCT z okresami zwiększonej aktywności fizycznej.

Bezpieczeństwo

U pacjentów wystąpiły przemijające działania niepożądane: objawy żołądkowo-jelitowe, hipoglikemia, kwasica metaboliczna, hiperkalciuria.

Ograniczenia

Interwencję stanowiły różne preparaty zawierające MCT, w żadnym badaniu nie wskazano bezpośrednio produktu K.Quik. Z uwagi na niewielkie grupy badane, wysoki odsetek rezygnacji przed zakończeniem obserwacji oraz ograniczenia metodologiczne badań, do wyników należy podejść z ostrożnością. Nie odnaleziono dowodów naukowych dla wskazań: deficyt GLUT-1 (opublikowanych od 2022 r.), deficyt VLCAD, deficyt CPT1 i deficyt dehydrogenazy pirogronianowej.

Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Nie dotyczy

Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Nie dotyczy

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. 2025 r., poz. 907 z późn. zm.)

Nie dotyczy

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

Zgodnie z danymi Ministerstwa Zdrowia, w 2024 roku w ramach importu docelowego sprowadzono 72 opakowania preparatu K.Quik, na łączną kwotę 32 394,96 PLN. Wnioski o refundację dotyczyły wyłącznie dwóch wskazań: deficytu transportera glukozy GLUT-1 oraz deficytu dehydrogenazy pirogronianowej. W 2025 roku, do dnia 3 września, wydano zgodę na refundację 136 opakowań preparatu K.Quik, co wiązało się z kosztem 28 795,52 PLN. Żaden z wniosków nie obejmował wskazania padaczka lekooporna.

Cena netto jednego opakowania zbiorczego (zawierającego 15 buteleczek po 225 ml) wynosiła 449,93 PLN, natomiast koszt refundacji ponoszony przez płatnika publicznego został oszacowany na 495,27 PLN.

Na podstawie danych z lat 2024-2025 przyjęto założenie, że w kolejnym roku w ramach wszystkich wnioskowanych wskazań zostanie sprowadzonych 109 opakowań preparatu K.Quik. Prognozowane wydatki płatnika publicznego wyniosą 53,98 tys. PLN. Największa część tej kwoty dotyczy pacjentów z deficytem GLUT-1 (32,19 tys. PLN), natomiast najmniejsza – pacjentów z deficytem MPT oraz padaczką lekooporną (po 495,27 PLN).

Ograniczenia

Oszacowania są obarczone dużą niepewnością dotyczącą rzeczywistej liczby pacjentów, liczby opakowań, m.in. ze względu na fakt, że dawkowanie preparatu zależy od wieku, masy ciała i stanu zdrowia pacjenta i jest ustalane indywidualnie przez lekarza lub dietetyka, a także ceny, która może ulec zmianie.

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Uwagi do programu lekowego

Nie dotyczy.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Nie dotyczy.

Omówienie rekomendacji wydawanych w innych krajach w odniesieniu do ocenianej technologii

Rekomendacje kliniczne

Spośród ośmiu odnalezionych dokumentów (Wytyczne Polskiego Towarzystwa Neurologicznego – PTN 2022, Wytyczne Genetic Metabolic Dietitians International - GMDI v1.4 2022, Zalecenia praktyczne British Dietetic Association - BDA 2020, Wytyczne International Glut1DS Study Group - Klepper 2020, Zalecenia dietetyczne 2020, Wytyczne International Ketogenic Diet Study Group – Kossof 2018, Zalecenia British Inherited Metabolic Disease Group - BIMDG 2017, Konsensus ekspertów -Spiekerkoetter 2009), tylko wytyczne BDA 2020 wymieniają ocenianą interwencję (pod nazwą Betaquik) jako przykład preparatu o wysokiej zawartości MCT w przeliczeniu na 100 ml produktu, przeznaczonego do terapii dietą ketogeniczną u dzieci z wrodzonymi zaburzeniami metabolizmu – deficytem dehydrogenazy pirogronianowej.

Wszystkie wytyczne zalecają stosowanie diety ketogenicznej, w tym opartej na MCT, we wszystkich ocenianych wskazaniach. Podkreślają konieczność indywidualnego dostosowania postępowania dietetycznego do potrzeb pacjenta.

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 4.09.2025 r. Ministra Zdrowia (znak pisma: PLD.45341.940.2025.1.KB), dotyczącego przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego K.Quik, roztwór doustny, we wskazaniach: deficyt transportera glukozy GLUT-1, deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, deficyt MTP, deficyt dehydrogenazy pirogronianowej, padaczka lekooporna, 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 2025 r. poz. 907), po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości nr 160/2025 z dnia 3 listopada 2025 roku w sprawie oceny zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego K.Quik w wielu wskazaniach.

ZASTĘPCA PREZESA

Anna Kowalczuk

/dokument podpisany elektronicznie/

Piśmiennictwo

1. Opracowanie nr DCh.4211.3.2025: K.Quik we wskazaniach: deficyt transportera glukozy GLUT-1, deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, deficyt MTP, deficyt dehydrogenazy pirogronianowej, padaczka lekooporna. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację: Data ukończenia: 27 października 2025 r.
2. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 160/2025 z dnia 3 listopada 2025 roku w sprawie oceny zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego K.Quik w wielu wskazaniach.