



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 160/2025 z dnia 3 listopada 2025 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego K.Quik
w wielu wskazaniach

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie 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.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Refundacji preparatu K.Quik (roztwór doustny) w ramach importu docelowego, dla wskazań: deficyt transportera glukozy GLUT-1, deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, deficyt MTP, deficyt dehydrogenazy pirogronianowej, padaczka lekooporna. Produkt K.Quik, jest przeznaczony do postępowania dietetycznego w stanach wymagających źródła średniołańcuchowych trójglicerydów (MCT), w tym w diecie ketogenicznej. Śsspż 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).

Środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego K.Quik był oceniany w Agencji w 2022 r. (ówczesna nazwa produktu: Betaquik) jednak tylko dla wskazań: deficyt transportera glukozy GLUT-1 oraz padaczka lekooporna. Zarówno Stanowisko Rady Przejrzystości jak i Rekomendacja Prezesa Agencji były pozytywne. Śsspż K.Quik nie znajduje się w obrocie na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej.

Dowody naukowe

- **Padaczka lekooporna**

Rasmussen 2022 - Badanie ukończyło 6 spośród 9 pacjentów, którzy rozpoczęli badanie.

Skuteczność

U 5/6 pacjentów zaobserwowano zmniejszenie częstości napadów padaczkowych. Ogólny wskaźnik częstości napadów padaczkowych porównujący częstość napadów padaczkowych po rozpoczęciu stosowania oleju MCT z częstością obserwowaną przed rozpoczęciem suplementacji diety olejem MCT wyniósł 0,5804 (95% CI: 0,4676; 0,7203), $p < 0,0001$. Autorzy badania wskazują, że częstość napadów padaczkowych zmniejszyła się o 41,96%.

Bezpieczeństwo

U wszystkich 6 pacjentów, którzy ukończyli badanie obserwowano łagodne nudności, ból brzucha i luźne stolce.

Shin 2025 - Badanie ukończyło 10 spośród 15 zrandomizowanych pacjentów: 5 pacjentów, którzy początkowo stosowali dietę ketogeniczną wzbogaconą MCT oraz 5 pacjentów, którzy pierwotnie stosowali dietę ketogeniczną. Do końcowej analizy włączono wyniki od pacjentów, którzy ukończyli badanie.

Skuteczność

U wszystkich pacjentów, którzy najpierw stosowali dietę ketogeniczną wzbogaconą MCT (5/5) obserwowano brak napadów padaczkowych podczas stosowania interwencji (8 tyg.) i efekt utrzymał się po zmianie na dietę ketogeniczną bez suplementacji MCT (8 tyg.).

Spośród 5 pacjentów, którzy najpierw stosowali dietę ketogeniczną, u dwóch obserwowano brak napadów padaczkowych w ciągu 8 tygodni. Po zmianie na dietę ketogeniczną wzbogaconą MCT, w ciągu kolejnych 8 tygodni brak napadów obserwowano u 3 spośród 5 pacjentów.

Bezpieczeństwo

Podczas stosowania diety ketogenicznej wzbogaconej MCT obserwowano następujące działania niepożądane: przemijająca hipoglikemia i kwasica metaboliczna ($n=2$), przemijająca hiperkalciuria ($n=1$) oraz przemijające objawy żołądkowo-jelitowe ($n=2$). Wszystkie z nich udało się opanować.

- **Deficyt LCHAD lub MPT**

Gillingham 2003 - Wszyscy pacjenci (10/10) ukończyli badanie.

Skuteczność

Wszyscy pacjenci utrzymali przewidywany wzorzec wzrostu.

6 spośród 10 pacjentów było zdrowych, bez epizodów dekompensacji metabolicznej i bez hospitalizacji. Jeden badany był hospitalizowany z powodu

zapalenia płuc i leczony dożylnymi płynami, dekstrozą i antybiotykami. Dwóch badanych było hospitalizowanych z powodu wymiotów i odwodnienia związanego z towarzyszącą infekcją wirusową i leczonych dożylnymi płynami i dekstrozą. Jeden badany był hospitalizowany dwukrotnie w ciągu roku z powodu epizodów rabdomiolizy (maksymalne stężenie CPK = 30 000 U/l) związanych z aktywnością fizyczną. Leczono go odpoczynkiem, dożylnymi płynami i dekstrozą.

Bezpieczeństwo

Nie stwierdzono oznak zahamowania wzrostu, kardiomiopatii ani dysfunkcji wątroby.

Gillingham 2006 - W grupie, która otrzymała przed wysiłkiem sok pomarańczowy w połączeniu z MCT obserwowano m.in. niższe o 30% skumulowane stężenie długołańcuchowych 3-hydroksyacylokarnityn oraz 3-krotnie wyższe stężenie ̢-hydroksybutyranu niż w grupie, która otrzymała przed wysiłkiem jedynie sok pomarańczowy. Wnioski autorów badania:

Koordinacja suplementacji MCT z okresami zwiększonej aktywności może poprawić kontrolę metaboliczną po wysiłku u dzieci z deficytem LCHAD lub MPT.

De Biase 2016 - U pacjentów stwierdzono zahamowanie wzrostu we wczesnym okresie życia, które ustąpiło po 2. roku życia. U 4 spośród 5 pacjentów rozwinęła się retinopatia barwnikowa.

Stężenie długołańcuchowych hydroksylowanych acylokarnityn nie zmieniało się istotnie wraz z wiekiem, ale wzrastało w trakcie ostrych chorób. Stężenie wolnej karnityny utrzymywało się w granicach normy i nie korelowało z poziomem długołańcuchowych hydroksylowanych acylokarnityn.

Wnioski autorów badania: Wyniki te pokazują, że pacjenci z niedoborem LCHAD mogą mieć prawidłowy wzrost i rozwój przy odpowiednim leczeniu.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami, na podstawie przyjętych założeń, całkowity koszt refundacji śsspż, dla pacjentów ze wskazaniami: deficyt transportera glukozy GLUT-1, deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, deficyt MTP, deficyt dehydrogenazy pirogronianowej, padaczka lekooporna, w kolejnym roku wyniesie łącznie 53,98 tys. zł. Największe oszacowane wydatki dla płatnika dotyczą pacjentów z deficytem GLUT-1, najniższe zaś z deficytem MPT i padaczką lekooporną.

Kluczowym ograniczeniem niniejszych oszacowań jest niepewność dotycząca liczebności pacjentów, dla których będzie sprowadzany śsspż K.Quik, liczby opakowań oraz ceny, po której byłby sprowadzany. Zalecane dawkowanie zależy od wieku, masy ciała i stanu zdrowia pacjenta i powinno być ustalane wyłącznie przez lekarza lub dietetyka.

Główne argumenty decyzji:

- *Dowody naukowe wskazujące na skuteczność w padaczce lekoopornej oraz w deficycie LCHAD lub MTP u pacjentów pediatrycznych,*
- *Rekomendacje kliniczne oraz pozytywne opinie ekspertów,*
- *Niski koszt preparatu.*

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 2025 r. poz. 907), z uwzględnieniem opracowania 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”; data ukończenia: 27 października 2025 r.