



Rekomendacja nr 2/2026

z dnia 8 stycznia 2026 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu Paediatric Seravit we wskazaniach: deficyt dehydrogenazy bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (VLCAD) oraz acyduria izowalerianowa

Prezes Agencji rekomenduje wydawanie zgód na refundację produktu Paediatric Seravit we wskazaniu: deficyt dehydrogenazy bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (VLCAD).

Prezes Agencji nie rekomenduje wydawania zgód na refundację produktu Paediatric Seravit we wskazaniu acyduria izowalerianowa.

Uzasadnienie rekomendacji

Produkt Paediatric Seravit był już przedmiotem oceny Agencji. W 2022 roku wydano pozytywną rekomendację w zakresie jego finansowania w jednym wskazaniu - VLCAD. Zgodnie z uwzględnioną wówczas publikacją, u pacjentów z VLCAD stosowane jest postępowanie dietetyczne – w tym mieszanki witamin /minerałów /węglowodanów /aminokwasów.

Aktualizacja przeglądu dowodów naukowych nie dostarcza nowych danych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa stosowania produktu Paediatric Seravit w VLCAD. Nie odnaleziono żadnych doniesień obejmujących zastosowanie u pacjentów z acydurią izowalerianową.

W opublikowanych wytycznych klinicznych, u pacjentów z ww. schorzeniami zalecane jest stosowanie odpowiedniego postępowania dietetycznego łącznie z podawaniem żywności medycznej.

Pod uwagę wzięto, że wnioskowane wskazania obejmują rzadkie zaburzenia metaboliczne, a oceniany produkt przeznaczony jest do postępowania dietetycznego u dzieci, jako uzupełnienie diety.

Uwzględniono także koszty leczenia, które w przypadku terapii przewlekłej 1 pacjenta (w latach 2024-2025 produkt sprowadzano dla 1 pacjenta) szacuje się na kwotę wynoszącą około 5 tys. PLN rocznie.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Paediatric Seravit we wskazaniach: deficyt dehydrogenazy bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (VLCAD) oraz acyduria izowalerianowa, 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, z późn. zm.).

Problem zdrowotny

Deficyt dehydrogenazy acylo-CoA kwasów tłuszczowych o bardzo długim łańcuchu (ang. very long chain fatty acyl-CoA dehydrogenase deficiency – VLCAD) należy do grupy zaburzeń zużytkowania wolnych kwasów tłuszczowych spowodowanych upośledzeniem ich utleniania wewnątrzmitochondrialnego (zaburzenia β -oksydacji kwasów tłuszczowych). Deficyt VLCAD dziedziczny

się w sposób autosomalny recesywny. Jest on spowodowany mutacją w genie ACADVL (17p13.1). Mutacja w tym genie prowadzi do zaburzenia funkcji mitochondrialnej beta-oksydacji długocięściowych kwasów tłuszczowych. Szacuje się, iż częstość występowania deficytu VLCAD wynosi ok. 1/40 000 do 1/110 000 żywych urodzeń.

Acyduria izowalerianowa (ang. isovaleric acidemia, IVA), jest acydurią organiczną, dziedziczną autosomalnie recesywnie, charakteryzującą się niedoborem dehydrogenazy izowalerylo-CoA i dużą zmiennością kliniczną. Może ujawnić się w okresie niemowlęcym ostrymi objawami, takimi jak: wymioty, słaby przyrost masy ciała, drgawki, letarg, charakterystyczny zapach, ostre zapalenie trzustki, łagodne do ciężkiego opóźnienie rozwoju; lub w okresie dzieciństwa kwasica metaboliczną. Według Orpha.net rozpowszechnienie acydurii izowalerianowej wynosi 1-9 na 100 000 urodzeń.

Alternatywna technologia medyczna

Według danych przekazanych przez Ministerstwo Zdrowia, oprócz ocenianej interwencji, w ramach importu docelowego sprowadzano także inne środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego, tj. MCT Oil, MCT Peptide, Milupa Basic-F, Lipistart, Liquigen, MCT Procal i Monogen (we wskazaniu VLCAD) oraz Basic-P, Glycine, IVA Anamix Infant, IVA Anamix Junior, IVA Cooler 15, Milupa leu 2 prima i Basecal (we wskazaniu acyduria izowalerianowa).

Opis wnioskowanego świadczenia

Pediatric Seravit to żywność specjalnego przeznaczenia medycznego; mieszanka witamin, minerałów i pierwiastków śladowych na bazie węglowodanów, zawierająca śladowe ilości sodu, potasu i chlorków. Produkt jest przeznaczony do postępowania dietetycznego u niemowląt i dzieci na ograniczonych dietach terapeutycznych wymagających suplementacji witamin, minerałów i pierwiastków śladowych.

W ulotce Paediatric Seravit wskazano, że produkt może być podawany jedynie pod ścisłym nadzorem medycznym oraz że nie może stanowić on jedyne źródła żywienia.

Wnioskowany produkt był przedmiotem oceny Agencji (rekomendacja pozytywna wydana w 2022 roku, ocena dotyczyła wskazania VLCAD).

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

W ramach analizy klinicznej (aktualizacja poprzedniego opracowania w zakresie jednego wskazania - VLCAD), nie odnaleziono nowych dowodów naukowych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa ocenianej technologii.

Nie odnaleziono żadnych dowodów naukowych dotyczących stosowania ocenianej interwencji we wskazaniu IVA.

Szczegółowe podsumowanie przeprowadzonego wyszukiwania przedstawiono w raporcie analitycznym.

Skuteczność i bezpieczeństwo

W poprzednim opracowaniu uwzględniono jedno retrospektywne, wielośrodkowe badanie stanowiące opis złożonego postępowania medycznego i żywieniowego u trzech pacjentów z ciężkimi zaburzeniami utleniania długocięściowych kwasów tłuszczowych LC-FAOD. U pacjentów stosowano terapię polegającą na podawaniu formuły niezawierającej MCT (w celu suplementacji witamin/minerałów/węglowodanów/aminokwasów) łącznie z innymi terapiami. W badaniu bezpośrednio nie stosowano preparatu Paediatric Seravit, jednak w publikacji wskazano, że w terapii wymagana była częsta zmiana receptury i suplementacja witaminami/minerałami (Rekomendacja nr 6/2022).

Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Zgodnie z danymi uwzględnionymi w zleceniu MZ, cena netto sprzedaży do apteki zawierająca marżę hurtową ocenianego produktu Paediatric Seravit, proszek (podmiot odpowiedzialny: SHS International) wynosi 167,58 PLN za 200 g.

Ponadto, w ramach importu docelowego, we wskazaniu VLCAD sprowadzane są też inne produkty tj. MCT Oil, MCT Peptide, Milupa Basic-F, Lipistart, Liquigen, MCT Procal, Monogen; natomiast we wskazaniu IVA: Basic-P, Glycine, IVA Anamix Infant, IVA Anamix Junior, IVA Cooler 15, Milupa leu 2 prima, Basecal.

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. 2024 r., poz. 930 z późn. zm.)

Nie dotyczy.

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

Zgodnie z danymi MZ produkt Paediatric Seravit jest sprowadzany dla 1 pacjenta we wskazaniu VLCAD (32 opakowania w 2024 roku i 16 opakowań w 2025 r.).

Uwzględniając wielkość populacji docelowej zgodnie z opiniami ekspertów tj. łącznie 15 pacjentów (min.: 6 max.: 30), szacowany wpływ na wydatki z perspektywy NFZ wyniesie ok. 50 274 (min.: 20 110 maks.: 100 548) PLN rocznie.

Głównym ograniczeniem analizy jest niepewność co do liczby pacjentów, którzy będą stosować oceniany produkt.

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Uwagi do zapisów programu lekowego

Nie dotyczy.

Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej

Nie dotyczy.

Omówienie rekomendacji wydawanych w innych krajach w odniesieniu do ocenianej technologii

W wyniku aktualizacji wyszukiwania nie odnaleziono nowych wytycznych dotyczących postępowania w VLCAD. W poprzednio uwzględnionych wytycznych zalecenia obejmowały wprowadzenie diety niskotłuszczowej, wysokowęglowodanowej. Osoby z potwierdzonym rozpoznaniem VLCAD powinny unikać długotrwałych przerw w jedzeniu, bez względu na ciężkość choroby.

Uwzględniono dwa dokumenty wytycznych (międzynarodowe Thimm 2025 i europejskie EIMD) odnoszące się do postępowania w acydurii izowalerianowej. Zalecane jest ograniczenie spożycia naturalnych białek celem zmniejszenia obciążenia kwasem izowalerianowym. Wskazuje się ponadto na suplementację L-karnityny (zalecane regularne monitorowanie pacjentów).

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia Ministra Zdrowia z dnia 22 września 2025 (znak pisma: PLD.45341.999.2025.1.AB), odnośnie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu Paediatric Seravit we wskazaniach: deficyt dehydrogenazy bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (VLCAD) oraz acyduria izowalerianowa, 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.), po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości nr 193/2025 z dnia 22 grudnia 2025 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Paediatric Seravit we wskazaniach: VLCAD, acyduria izowalerianowa.

Piśmiennictwo

1. Raport nr OTAD.4211.1.2025 Paediatric Seravit we wskazaniach: deficyt dehydrogenazy bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (VLCAD) oraz acyduria izowalerianowa.
2. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 193/2025 z dnia 22 grudnia 2025 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Paediatric Seravit we wskazaniach: VLCAD, acyduria izowalerianowa.