



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

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Paediatric Seravit, (proszek), we wskazaniach:

- *deficyt dehydrogenazy bardzo długotańcuchowych kwasów tłuszczowych (VLCAD),*
- *acyduria izowalerianowa.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Opinia dotyczy zasadności wydawania zgody na refundację w ramach importu docelowego produktu Paediatric Seravit we wskazaniach: deficyt dehydrogenazy bardzo długotańcuchowych kwasów tłuszczowych (VLCAD) oraz acyduria izowalerianowa (IVA). Paediatric Seravit był przedmiotem oceny Agencji w 2022 r. i otrzymał pozytywne Stanowisko Rady Przejrzystości (SRP nr 6/2022 z dnia 3 stycznia 2022 r.) oraz pozytywną Rekomendację Prezesa Agencji (REK nr 6/2022 z dnia 18 stycznia 2022 r.) w zakresie wydania zgód na refundację we wskazaniu VLCAD. Preparat nie był wcześniej oceniany we wskazaniu: acyduria izowalerianowa (IVA).

VLCAD należy do grupy zaburzeń zużytkowania wolnych kwasów tłuszczowych spowodowanych upośledzeniem ich utleniania wewnątrzmitochondrialnego (zaburzenia β -oksydacji kwasów tłuszczowych). Objawy mogą pojawiać się we wczesnym okresie niemowlęcym, w późnym okresie niemowlęcym lub dzieciństwie. U pacjentów mogą wystąpić: hipoglikemia hipoketotyczna, dysfunkcja wątroby, kardiomiopatia, dysfunkcja wątroby bez kardiomiopatii. Objawy zaburzenia β -oksydacji kwasów tłuszczowych ujawniają się w okresach zwiększonego katabolizmu (infekcja, gorączka, stres) oraz niedostatecznego dopływu energii (wymioty, wysiłek fizyczny, nagła operacja). Szacuje się,

iz częstość występowania deficytu VLCAD wynosi ok. 1/40 000 do 1/110 000 żywych urodzeń.

IVA jest acydurią organiczną, dziedziczną autosomalnie recesywnie, charakteryzującą się niedoborem dehydrogenazy izowalerylo-CoA i dużą zmiennością kliniczną. Może ujawnić się w niemowlęctwie ostrymi objawami, takimi jak wymioty, słaby przyrost masy ciała, drgawki, letarg, charakterystyczny zapach „spoconych stóp”, ostre zapalenie trzustki, łagodne do ciężkiego opóźnienie rozwoju lub w okresie dzieciństwa kwasicą metaboliczną (wywołaną przez długotrwałe głodzenie, zwiększoną podaż bogatobiałkowych pokarmów czy infekcje). Leczenie ww. chorób metabolicznych polega na wprowadzeniu konkretnych modyfikacji dietetycznych.

Dowody naukowe

Wg wytycznych odnoszących się do zaburzeń metabolizmu kwasów tłuszczowych (polskie Zalecenia dietetyczne z 2020 r., brytyjskie BIMDG 2020, światowe SERN i GMDI 2019) należy w deficycie VLCAD u niemowląt stosować specjalne mieszanki niskotłuszczowe wzbogacone średniołańcuchowymi kwasami tłuszczowymi (MCT). Natomiast u starszych dzieci rekomenduje się dietę z ograniczeniem długołańcuchowych tłuszczów, zmodyfikowaną o MCT (mieszanki lub olej). W przypadku deficytu translokazy karnitynoacylokarnitynowej (CACT), konieczne jest przestrzeganie zakazu dłuższego przebywania na czczo (głodówki) oraz wprowadzenie diety o niskiej zawartości długołańcuchowych kwasów tłuszczowych, uzupełnionej MCT. W wytycznych wskazano, iż aby uniknąć deficytów niezbędnych kwasów tłuszczowych u dzieci ograniczających spożycie LCT i suplementujących MCT wskazane jest przyjmowanie środków spożywczych zawierających kwas arachidonowy (ARA) i kwas dokozaheksaenowy (DHA). W przypadku gdy suplementacja DHA jest niezbędna, zalecane dawki dla dzieci wynoszą 60 mg/dzień lub 100 mg/dzień w zależności od wieku.

W wytycznych odnoszących się do acydurii izowalerylianowej (międzynarodowe Thimm 2025 i europejskie EIMD) nie przedstawiono bezpośrednich zaleceń dla stosowania ocenianego preparatu. W trakcie terapii IVA zalecane jest ograniczenie podaży białka w diecie i suplementacja za pomocą l-karnityny, a w cięższych przypadkach suplementacja z pomocą L-glicyny. Leczenie powinno być dostosowywane indywidualnie w zależności od aktualnego stanu pacjenta. Podczas leczenia należy monitorować stężenie aminokwasów i karnityny w osoczu.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z obliczeniami prognozowane roczne wydatki płatnika publicznego związane z refundacją preparatu Paediatric Seravit w ramach importu docelowego wyniosą ok. 50 tys. zł (min. 20 tys. zł; max. 100 tys. zł.).

Główne argumenty decyzji

- *brak dowodów naukowych oraz rekomendacji wskazujących na uzasadnienie stosowania ocenianego preparatu w omawianych wskazaniach;*
- *dostępne na rynku inne preparaty mogące stanowić wsparcie żywieniowe w tej grupie pacjentów.*

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 na potrzeby oceny zasadności dalszego wydawania zgody na refundację nr: OTAD.4211.1.2025 (Aneks do opracowania nr: OT.4211.14.2022) „Paediatric Seravit we wskazaniach: deficyt dehydrogenazy bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (VLCAD) oraz acyduria izowalerianowa”, data ukończenia: 18.12.2025 r.