



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 113/2026 z dnia 3 sierpnia 2026 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Lorenzo's Oil
we wskazaniu: adrenoleukodystrofia u pacjenta leczonego
leriglitzonem

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Lorenzo's Oil, płyn, butelka 500 ml, we wskazaniu: adrenoleukodystrofia u pacjenta leczonego leriglitzonem.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Pismem z dnia 08.05.2026, Minister Zdrowia na podstawie art. 39 ust. 3 zlecił zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Lorenzo's Oil, płyn, butelka 500 ml we wskazaniu: adrenoleukodystrofia u pacjenta leczonego leriglitzonem.

Środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego Lorenzo's Oil sprowadzany jest z zagranicy w oparciu o art. 29a ustawy z dnia 25 sierpnia 2006 r. o bezpieczeństwie żywności i żywienia (Dz.U. z 2023 r. poz. 1448, z późn. zm.) we wskazaniu: adrenoleukodystrofia w subpopulacji bezobjawowych pacjentów bez lub z minimalnymi zmianami w obrazie rezonansu magnetycznego. Środek uzyskał rekomendację nr 147/2024 z dnia 20 grudnia 2024 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Lorenzo's Oil we wskazaniu: adrenoleukodystrofia.

Preparat stanowi mieszaninę trójoleinianu glicerolu i trójerukanu glicerolu w stosunku 4:1, podanie doustne, podmiot odpowiedzialny NUTRICIA LTD.

Oceniane w niniejszym raporcie wskazanie dotyczy pacjenta z adrenoleukodystrofią leczonego leriglitzonem (nazwa handlowa Nezglyal), uzyskał on pozytywną opinię komitetu EMA (CHMP), który zarekomendował dopuszczenie go do obrotu, ale wciąż oczekuje na ostateczną decyzję Komisji Europejskiej). Ponadto zgodnie z przekazaną dokumentacją wskazanie obejmuje dziecięcą mózgową postać adrenoleukodystrofii (ang. childhood cerebral

adrenoleukodystrophy, ccALD), z istotnymi objawami klinicznymi cALD. Tym samym niniejsza ocena dotyczy nowego wskazania względem populacji, dla której obecnie sprowadzany jest Lorenzo's Oil.

Ministerstwo Zdrowia przekazało dokumenty dotyczące przebiegu choroby u pacjenta, którego dotyczy wniosek oraz opinie od Konsultant Krajowej w dziedzinie pediatrii metabolicznej oraz od Konsultant Wojewódzkiej w dziedzinie pediatrii metabolicznej.

Pacjent przyjmuje leriglitazon, zawiesina doustna, w ramach francuskiego programu wczesnego dostępu do terapii, przed uzyskaniem standardowej dostępności produktu (ATU, fr. Autorisation Temporaire d'Utilisation).

Adrenoleukodystrofia sprzężona z chromosomem X (X-ALD) to rzadka choroba genetyczna, dotyka głównie chłopców, występuje w niej mutacja genu ABCD1, zaburzenie peroksysomalnej β -oksydacji, kumulacja kwasów tłuszczowych o długich łańcuchach (VLCFA), których organizm nie potrafi rozbijać. Skutkiem tego tłuszcze gromadzą się w mózgu i nadnerczach, niszcząc osłonki nerwów (demielinizacja). Głównymi postaciami choroby są:

- Mózgowa u dzieci: dotyka chłopców w wieku 4–10 lat, szybko prowadzi do utraty wzroku, mowy i sprawności.
- Adrenomieloneuropatia (AMN): pojawia się u dorosłych, powoduje sztywność i osłabienie nóg oraz niewydolność nadnerczy.

Leczenie to przeszczep szpiku lub komórek macierzystych (pomaga tylko na wczesnym etapie postaci mózgowej), podawanie hormonów kory nadnerczy. Wczesne wykrycie daje szansę na skuteczną pomoc.

Lorenzo's Oil jest wskazany do stosowania u pacjentów z adrenoleukodystrofią, mechanizm jego działania polega na hamowaniu syntezy bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (VLCFA), które gromadzą się u pacjentów z adrenoleukodystrofią sprzężoną z chromosomem X (X-ALD). Mononienasycone kwasy tłuszczowe zawarte w preparacie konkurują z enzymami odpowiedzialnymi za wydłużanie łańcuchów kwasów tłuszczowych, co prowadzi do zmniejszenia stężenia VLCFA we krwi.

Dowody naukowe

Nie odnaleziono badań oceniających bezpośrednio skuteczność i bezpieczeństwo skojarzonego stosowania Lorenzo's Oil i leriglitazonu. W badaniu NEXUS, oceniającym skuteczność leriglitazonu u pacjentów z dziecięcą postacią mózgową adrenoleukodystrofii (cALD) (N=11) stosowanie Lorenzo's Oil było dozwolone jako leczenie towarzyszące pod warunkiem stabilnej dawki. Nie przedstawiono analiz dotyczących wpływu stosowania Lorenzo's Oil na wyniki leczenia ani analiz podgrup uwzględniających tę terapię, w związku z tym nie jest możliwe określenie zakresu ekspozycji na Lorenzo's Oil ani ocena jego potencjalnego wpływu na obserwowane efekty kliniczne.

Pomimo potencjalnej komplementarności mechanizmów działania obu terapii – Lorenzo’s Oil poprzez wpływ na metabolizm bardzo długocięciuchowych kwasów tłuszczowych (VLCFA), a leriglitazon poprzez modulację szlaków zależnych od PPAR γ (receptor aktywowany przez proliferator peroksysomów), obejmujących m.in. odpowiedź zapalną, stres oksydacyjny i funkcję mitochondrialną – obecnie brak jest bezpośrednich dowodów klinicznych potwierdzających dodatkową korzyść wynikającą z jednoczesnego stosowania obu terapii u pacjentów z cALD.

Należy jednak uwzględnić, że adrenoleukodystrofia jest chorobą ultraradką, co ogranicza dostępność wysokiej jakości danych klinicznych oraz możliwość przeprowadzania badań oceniających terapie skojarzone.

Według Konsultantów Krajowej i Wojewódzkiej w publikacjach medycznych od lat poruszany jest temat leczenia ALD olejem Lorenza. Preparat ten zawiera trójoleinian glicerolu i trójerykan glicerolu w stosunku 4:1, które zmniejszają syntezę bardzo długocięciuchowych kwasów tłuszczowych (VLCFA) poprzez konkurencyjne hamowanie enzymu odpowiedzialnego za wydłużanie nasyconych kwasów tłuszczowych. Mimo poprawy biochemicznej, nie udowodniono do tej pory jednoznacznej skuteczności klinicznej tego preparatu. Na podstawie ograniczonych dostępnych dowodów wydaje się, że olej Lorenza nie zapobiega postępowi choroby w przypadku ALD ani go nie spowalnia, może natomiast poprawić profil biochemiczny chorych. Działania niepożądane oleju Lorenza obejmują trombocytopenię, podwyższone stężenie enzymów wątrobowych, dolegliwości żołądkowo-jelitowe i zapalenie dziąseł. Mimo powyższych, biorąc pod uwagę bardzo trudne rokowanie co do dalszego przebiegu choroby, Konsultanci popierają wniosek o podjęcie próby leczenia pacjenta olejem Lorenza, mając nadzieję, że w połączeniu z leriglitazonem zmniejszy on u chłopca ciężkość przebiegu ALD.

Problem ekonomiczny

Z informacji otrzymanych od MZ wynika, że do daty przekazania zlecenia do AOTMiT wpłynął 1 wniosek o refundację w ramach importu docelowego w ocenianym wskazaniu. Zgodnie z oszacowaniami pozytywna decyzja refundacyjna dla importu śsspż Lorenzo’s Oil będzie wiązała się z wydatkami płatnika publicznego wynoszącymi 48 tys. PLN rocznie.

W oszacowaniach wykorzystano najbardziej wiarygodne dostępne dane, jednak cechują się one ograniczeniami:

- Przyjęto założenie dotyczące kosztu jednego opakowania, oparte na danych pochodzących z niemieckiego zestawienia cen aptecznych, co może nie odzwierciedlać rzeczywistych kosztów ponoszonych w ramach importu docelowego.*

- *Oszacowania oparto na liczbie opakowań objętych zgodą na refundację w 2023 r., która może nie odpowiadać aktualnemu lub przyszłemu poziomowi wykorzystania produktu. Jednak brak szczegółowych danych dotyczących pacjenta wskazanego we wniosku uniemożliwia przeprowadzenie bardziej precyzyjnych oszacowań kosztów terapii. Oceniany śsspż jest stosowany jako uzupełnienie diety u pacjentów w różnym wieku, co wpływa na indywidualne zapotrzebowanie i dawkowanie produktu.*

Główne argumenty decyzji:

- *Brak efektu leczniczego w populacji z istotnymi objawami klinicznymi otrzymującej leriglitazon;*
- *Brak badań naukowych świadczących o istotności klinicznej produktu;*
- *Zalecenia wytycznych nie wskazują na zasadność użycia tej metody;*
- *Brak rekomendacji refundacyjnych.*

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 2025 r. poz. 1461) 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 2026 r. poz. 253), z uwzględnieniem opracowania nr: DWOK.414.3.2026 „Lorenzo's Oil we wskazaniu: adrenoleukodystrofia u pacjenta leczonego leriglitazonem”; data ukończenia: 29 lipca 2026 r.