



Rekomendacja nr 117/2026

z dnia 6 sierpnia 2026 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu MCT Procal we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt dehydrogenazy pirogronianu, deficyt palmitylotransferazy karnityny (CPT), deficyt transportera glukozy GLUT-1, deficyt mitochondrialnego białka trójfunkcyjnego (MTP), glikogenoza typu III

Prezes Agencji rekomenduje wydawanie zgód na refundację produktu MCT Procal we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt dehydrogenazy pirogronianu, deficyt palmitylotransferazy karnityny (CPT), deficyt transportera glukozy GLUT-1, deficyt mitochondrialnego białka trójfunkcyjnego (MTP), glikogenoza typu III.

Uzasadnienie rekomendacji

Pod uwagę wzięto, że wnioskowane wskazania obejmują rzadkie zaburzenia metaboliczne, a oceniany produkt przeznaczony jest do postępowania dietetycznego u dzieci (od 3 r. ż.) i dorosłych, jako uzupełnienie diety.

Według wytycznych klinicznych kluczową rolę w postępowaniu medycznym u pacjentów z analizowanymi schorzeniami odgrywa dieta, w tym polegająca na ograniczeniu podaży długołańcuchowych kwasów tłuszczowych, wytyczne wskazują jednocześnie na zasadność stosowania triglicerydów średniołańcuchowych (MCT).

Produkt MCT Procal był już przedmiotem oceny Agencji. W 2023 roku wydano pozytywną rekomendację w zakresie jego finansowania we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt dehydrogenazy pirogronianu, deficyt palmitylotransferazy karnityny i deficyt transportera glukozy GLUT-1. W niniejszej rekomendacji odniesiono się również do wskazań wcześniej nieocenianych, tj. deficytu mitochondrialnego białka trójfunkcyjnego (MTP) oraz glikogenozy typu III.

Dostępne dowody wskazują, że zastosowanie triglicerydów średniołańcuchowych (MCT) jako elementu postępowania dietetycznego może wiązać się z korzystnym wpływem na wybrane parametry metaboliczne u pacjentów z ww. wskazaniem. Ze względu jednak na ograniczoną liczebność populacji, obserwacyjny charakter większości badań oraz heterogeniczność stosowanych interwencji i ocenianych punktów końcowych, wnioskowanie o skuteczności klinicznej i bezpieczeństwie produktu MCT Procal pozostaje ograniczone.

Biorąc pod uwagę otrzymane od Ministra Zdrowia dane dotyczące importu omawianej technologii szacuje się, że wielkość populacji docelowej będzie kształtowała się na poziomie kilkudziesięciu pacjentów rocznie, a wpływ na budżet płatnika nie przekroczy ok. 210 tys. PLN (w 2025 roku produkty sprowadzono łącznie dla 50 osób).

Podsumowując, zebrane w procesie oceny informacje uznano za wystarczające, by uzasadnić dalsze wydawanie zgód na refundację produktu MCT Procal w analizowanych wskazaniach.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego: produktu MCT Procal, proszek do sporządzania zawiesiny doustnej, saszetki 16 g, we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt dehydrogenazy pirogronianu, deficyt palmitylotransferazy karnityny (CPT), deficyt transportera glukozy GLUT-1, deficyt mitochondrialnego białka trójfunkcyjnego (MTP) i glikogenoza typu III, 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 2026 r., poz. 253 z późn. zm.).

Problem zdrowotny

Deficyt dehydrogenazy długotańcuchowych 3-hydroksyacylo-koenzymu A (deficyt LCHAD, ang. *long-chain 3-hydroxyacyl-coenzyme A dehydrogenase deficiency*) należy do zaburzeń β -oksydacji długotańcuchowych kwasów tłuszczowych. Choroba ujawnia się zwykle w okresie noworodkowym, niemowlęcym lub we wczesnym dzieciństwie i może przebiegać z hipoglikemią hipoketotyczną, kwasicą metaboliczną, hipotonią, zaburzeniami funkcji wątroby oraz serca.

Według danych dostępnych na stronie orpha.net częstość występowania deficytu LCHAD w Polsce szacuje się na 1/120 000 urodzeń.

Deficyt dehydrogenazy acylo-CoA kwasów tłuszczowych o bardzo długim łańcuchu (deficyt VLCAD, ang. *very long chain fatty acyl-CoA dehydrogenase deficiency*) należy do grupy zaburzeń β -oksydacji długotańcuchowych kwasów tłuszczowych. Obraz kliniczny deficytu VLCAD jest zbliżony do obserwowanego w przypadku deficytu LCHAD i objawia się w okresie niemowlęcym lub dzieciństwie. U pacjentów mogą wystąpić: hipoglikemia hipoketotyczna, dysfunkcja wątroby czy kardiomiopatia.

Szacuje się, iż częstość występowania deficytu VLCAD wynosi od ok. 1/40 000 do 1/110 000 urodzeń.

Deficyt dehydrogenazy pirogronianu (deficyt PDCD, ang. *pyruvate dehydrogenase complex deficiency*) to rzadkie, genetyczne zaburzenie metabolizmu węglowodanów, spowodowane niedoborem jednej z trzech podjednostek enzymu dehydrogenazy pirogronianowej (PDC), które biorą udział w przekształcaniu pirogronianu w acetylo-CoA. Początek i ciężkość choroby zależy od poziomu aktywności enzymów PDC.

Deficyt PDCD należy do ultrarzadkich chorób metabolicznych, a jego częstość występowania nie została jednoznacznie określona.

Deficyt palmitylotransferazy karnityny (CPT) obejmuje grupę rzadkich, dziedzicznych zaburzeń metabolizmu długotańcuchowych kwasów tłuszczowych, do których należą deficyt CPT1 (ang. *Carnitine Palmitoyltransferase 1A Deficiency*) oraz deficyt CPT2 (ang. *Carnitine Palmitoyltransferase II Deficiency*). Choroba wynika z niedoboru enzymów uczestniczących w transporcie długotańcuchowych kwasów tłuszczowych do mitochondriów. W zależności od postaci choroby mogą występować hipoglikemia hipoketotyczna, zaburzenia czynności wątroby, kardiomiopatia oraz nawracające epizody rabdomiolizy.

Według Orphanet częstość występowania deficytu CPT1A wynosi poniżej 1 przypadku na 1 000 000 osób, natomiast deficytu CPT II od 1 do 9 przypadków na 100 000 osób.

Deficyt transportera glukozy typu 1 (GLUT-1) to rzadkie, genetyczne zaburzenie metaboliczne, charakteryzujące się niedoborem proteiny, dzięki której glukoza przekracza barierę krew-mózg. Najczęstszym objawem tego zaburzenia są drgawki (epilepsja), które zazwyczaj pojawiają się w ciągu pierwszych kilku miesięcy życia.

Według danych Orphanet chorobowość jest szacowana w zakresie 1-9 na 1 mln osób.

Deficyt mitochondrialnego białka trójfunkcyjnego (MTP, ang. *mitochondrial trifunctional protein*; określany również jako TFP) jest zaburzeniem β -oksydacji kwasów tłuszczowych

charakteryzującym się szerokim spektrum klinicznym (od łagodnego fenotypu do ciężkich objawów).

Deficyt MTP należy do ultrarzadkich chorób metabolicznych, w literaturze opisano mniej niż 100 przypadków choroby.

Glikogenoza typu III (GSD III) Glikogenozy (GSD) to choroby genetyczne wynikające z zaburzeń metabolizmu glikogenu, dotyczące głównie wątroby i mięśni. Większość typów dziedziczona jest w sposób autosomalny recesywny. Glikogenoza typu III (choroba Coriego) powodowana jest uszkodzeniami genu AGL. Choroba ujawnia się zwykle w okresie niemowlęcym i charakteryzuje się hipoglikemią, hiperlipidemią i współistniejącymi uszkodzeniami wątroby.

Częstość występowania wszystkich typów glikogenoz wynosi ok. 1:20 000–40 000 w populacji ogólnej. Według danych Orphanet chorobowość glikogenozy typu III nie została jednoznacznie określona, natomiast częstość urodzeń szacuje się na około 1/100 000.

Alternatywna technologia medyczna

Zgodnie z aktualnym Obwieszczeniem MZ we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt dehydrogenazy pirogronianu, deficyt palmitylotransferazy karnityny (CPT), deficyt transportera glukozy GLUT-1, deficyt mitochondrialnego białka trójfunkcyjnego (MTP), glikogenoza typu III nie są refundowane żadne środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspż) o zbliżonym składzie do ocenianego produktu MCT Procal.

Zgodnie z informacjami przekazanymi w zleceniu MZ, dla pacjentów z analizowanymi wskazaniami były sprowadzane do Polski, w ramach importu docelowego, produkty: MCT Oil, Monogen, Liquigen, Lipistart, Fruiti Vits, SOS 20, 25, K.Yo, Milupa Basic-F, DocOmega, Complete Amino Acid Mix, Paediatric Seravit, Betaquik, Fruiti Vits, Glycosade.

Opis wnioskowanego świadczenia

MCT Procal należy do środków spożywczych specjalnego przeznaczenia medycznego. Jest to produkt w postaci proszku o neutralnym smaku, stanowiący źródło trójglicerydów średniołańcuchowych (MCT). Przeznaczony jest do postępowania dietetycznego u pacjentów z zaburzeniami oksydacji długołańcuchowych kwasów tłuszczowych, zaburzeniami wchłaniania tłuszczów oraz innymi schorzeniami wymagającymi stosowania diety bogatej w trójglicerydy średniołańcuchowe (MCT) i ubogiej w trójglicerydy długołańcuchowe (LCT). Produkt jest przeznaczony do stosowania u pacjentów w wieku powyżej 3 lat.

MCT Procal był przedmiotem oceny Agencji (rekomendacja pozytywna wydana w 2023 roku).

Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa

W analizie klinicznej uwzględniono: 4 badania dotyczące pacjentów z MTP lub LCHAD/MTP (badania obserwacyjne Gillingham 2024 i Gillingham 2003, badanie RCT Gillingham 2006, opis przypadku Guan 2021) oraz 4 publikacje stanowiące opisy pojedynczych pacjentów lub serii przypadków z glikogenozą typu III (Rossi 2020, Merrigan 2019, Clemente 2010, Burns 2009).

W ramach aktualizacji przeglądu systematycznego dla wcześniej ocenianych wskazań odnaleziono jedno nowe badanie spełniające kryteria włączenia tj. badanie obserwacyjne dotyczące pacjentów z deficytem GLUT-1 (Salazar 2024). Nie odnaleziono nowych dowodów naukowych dla wskazań: deficyt VLCAD, deficyt dehydrogenazy pirogronianu oraz deficyt CPT.

Szczegółowe podsumowanie przeprowadzonego wyszukiwania i wyniki włączonych badań przedstawiono w raporcie analitycznym.

Skuteczność i bezpieczeństwo

W populacji 13 pacjentów z deficytem transportera glukozy typu 1 (GLUT-1), w badaniu obserwacyjnym Salazar 2024 stosowanie diety ketogenicznej z udziałem MCT wiązało się z większym spożyciem tłuszczów oraz wyższym stężeniem ciał ketonowych we krwi w porównaniu z dietą ketogeniczną bez MCT. Nie wykazano istotnych różnic w zakresie zmian profilu lipidowego.

W publikacjach Clemente 2010, Merrigan 2019 oraz Burns 2009 (łącznie 3 pacjentów) stosowanie MCT lub diety ketogenicznej z udziałem MCT u pacjentów z glikogenezą typu III wiązało się z poprawą parametrów klinicznych. Obserwowano m.in. wzrost stężenia ciał ketonowych, ustąpienie epizodów hipoglikemii, zmniejszenie hepatomegalii, obniżenie aktywności enzymów wątrobowych, utrzymanie prawidłowej kontroli glikemii, poprawę parametrów czynności serca (u pacjenta z ciężką kardiomiopatią) oraz obniżenie stężenia triglicerydów. W analizie Rossi 2020, obejmującej sześciu chorych, obserwowano przede wszystkim zmniejszenie aktywności kinazy kreatynowej (CK) oraz, u części pacjentów, poprawę parametrów wątrobowych, mięśniowych i kardiologicznych. Wyniki dotyczące wpływu interwencji na profil lipidowy były niespójne. Jednocześnie w przypadkach stosowania wyłącznie MCT nie odnotowano istotnych zmian parametrów metabolicznych.

Zgodnie z wynikami badań Gillingham 2003 i Gillingham 2006 stosowanie MCT, w deficycie LCHAD lub MTP może korzystnie wpływać na wybrane parametry metaboliczne, w tym obniżenie stężeń długołańcuchowych hydroksyacylo-karnityn. Nie odnotowano jednak jednoznacznego wpływu MCT na wydolność fizyczną. W badaniu retrospektywnym Gillingham 2024 lepsze wyniki w zakresie stanu narządu wzroku obserwowano u pacjentów wcześniej zdiagnozowanych i leczonych dietetycznie, w tym z zastosowaniem MCT, jednak autorzy zaznaczyli, że obserwowanego efektu nie można przypisać bezpośrednio stosowaniu MCT. Dodatkowo opis przypadku Guan 2021 wskazuje na możliwą poprawę funkcji mięśniowej oraz ograniczenie nawrotów rabdomiolizy po wdrożeniu diety niskotłuszczowej z MCT.

Większość publikacji nie zawierała szczegółowego raportowania działań niepożądanych. Na podstawie dostępnych informacji nie zidentyfikowano istotnych problemów bezpieczeństwa związanych ze stosowaniem MCT. W pojedynczym przypadku odnotowano niską akceptowalność smakową preparatu w proszku, prowadzącą do jego odstawienia.

Ograniczenia analizy

Dostępne dowody charakteryzują się niską jakością i pochodzą głównie z badań obserwacyjnych, opisów przypadków oraz serii przypadków. Ponadto, w większości publikacji MCT stosowano jako element złożonego postępowania dietetycznego, co ogranicza ocenę wpływu samego MCT na obserwowane wyniki. Zwraca się również uwagę, że badania dotyczące bezpośrednio środka spożywczego MCT Procal ograniczały się do pojedynczego opisu przypadku u pacjenta z glikogenezą typu III (Burns 2009). Pozostałe publikacje prezentowały wyniki stosowania diet zawierających MCT, bez jednoznacznego wskazania wykorzystywanych produktów.

Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

Szacowany koszt netto produktu MCT Procal, za opakowanie 30 saszetek po 16 g, wynosi 469,96 PLN (dane MZ za 2025 rok).

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

Przy uwzględnieniu danych MZ za 2025 rok oszacowano, że koszt refundacji MCT Procal może wynosić 207 268,12 PLN dla łącznie 50 pacjentów.

Głównym ograniczeniem analizy jest niepewność co do liczby pacjentów, którzy będą stosować oceniany produkt. Ponadto, oceniany śspż stosowany jest jako uzupełnienie diety w różnych wskazaniach i u chorych w różnym wieku, co bezpośrednio przekłada się na zróżnicowane dawkowanie i czas stosowania.

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

Odnalezione wytyczne wskazują na zasadność stosowania triglicerydów średniołańcuchowych (MCT) w deficycie LCHAD, deficycie VLCAD, deficycie MTP oraz deficycie CPT, jako element postępowania dietetycznego obejmującego ograniczenie podaży długołańcuchowych kwasów tłuszczowych. W deficycie dehydrogenazy pirogronianu oraz deficycie transportera glukozy GLUT-1, MCT są wymieniane jako możliwy element diety ketogenicznej. Jednocześnie MCT Procal został wskazany w wybranych wytycznych jako produkt o wysokiej zawartości MCT. W glikogenozie typu III MCT Procal jest wymieniany w wytycznych brytyjskich jako możliwe uzupełnienie diety wysokobiałkowej, natomiast wytyczne francuskie, amerykańskie i polskie nie wskazują MCT jako standardowego elementu leczenia tej jednostki chorobowej.

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia Ministra Zdrowia z dnia 29 maja 2026 (znak pisma: PLD.45340.653.2026.1.AB), odnośnie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu MCT Procal we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt dehydrogenazy pirogronianu, deficyt palmitylotransferazy karnityny (CPT), deficyt transportera glukozy GLUT-1, deficyt mitochondrialnego białka trójfunkcyjnego (MTP), glikogenoza typu III, 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 2026 r., poz. 253 z późn. zm.), po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości nr 111/2026 z dnia 3 sierpnia 2026 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego MCT Procal w wielu wskazaniach.

Piśmiennictwo

1. Raport nr DWOK.414.4.2026. MCT Procal we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt dehydrogenazy pirogronianu, deficyt palmitylotransferazy karnityny (CPT), deficyt transportera glukozy GLUT-1, deficyt mitochondrialnego białka trójfunkcyjnego (MTP), glikogenoza typu III.
2. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 111/2026 z dnia 3 sierpnia 2026 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego MCT Procal w wielu wskazaniach.