



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

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego 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),*
- *glikogenoza typu III.*

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Przedmiotem niniejszej oceny jest podtrzymanie stanowiska Rady Przejrzystości nr 26/2023 z 13 marca 2023 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego MCT Procal we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt dehydrogenazy pirogronianu, deficyt palmitylotransferazy karnityny (CPT), deficyt transportera glukozy GLUT-1, acyduria malonowa; rozszerzonego o wskazania: deficyt mitochondrialnego białka trójfunkcyjnego (MTP), oraz glikogenoza typu III, z wyłączeniem wskazana: acyduria malonowa.

Deficyt mitochondrialnego białka trójfunkcyjnego (MTP, ang. Mitochondrial trifunctional protein; określany również jako TFP) jest zaburzeniem beta-oksydacji kwasów tłuszczowych charakteryzującym się szerokim spektrum klinicznym od ciężkich objawów występujących już w okresie noworodkowym, obejmujących m.in. kardiomiopatię, hipoglikemię, kwasicę metaboliczną, miopatię mięśni szkieletowych, neuropatię, choroby wątroby i zgon,

do łagodnego fenotypu z polineuropatią obwodową, epizodami rabdomyolizy i zwyrodnieniem barwnikowym siatkówki.

W literaturze opisano mniej niż 100 przypadków deficytu MTP. Leczenie obejmuje przestrzeganie diety niskotłuszczowej z ograniczeniem spożywania długołańcuchowych kwasów tłuszczowych i ich zastąpienie średniołańcuchowymi kwasami tłuszczowymi (MCT).

U niemowląt i małych dzieci deficyt MTP powoduje wystąpienie dekompensacji metabolicznej, objawy choroby mogą obejmować m.in. senność, zmianę zachowania, osłabienie mięśni, słaby apetyt, kwasicę metaboliczną, jeżeli choroba nie jest leczona u pacjenta mogą pojawić się problemy z oddychaniem, drgawki oraz śpiączka, poważne problemy z sercem. Brak leczenia zwykle prowadzi do śmierci z powodu problemów z sercem lub oddychaniem ok. trzeciego roku życia. U niewielkiej liczby osób zgłaszano także przypadki deficytu MTP z łagodnymi objawami. Objawy pojawiają się w czasie od drugiego roku życia do dorosłości i charakteryzują się osłabieniem mięśni, bez objawów dekompensacji metabolicznej.

Glikogenozy (GSD) to choroby genetyczne wynikające z zaburzeń metabolizmu glikogenu, dotyczące głównie wątroby i mięśni. Powstają wskutek nieprawidłowości enzymów odpowiedzialnych za przemianę glukozy w glikogen i odwrotnie. Większość typów dziedziczona jest w sposób autosomalny recesywny.

Częstość występowania wszystkich typów glikogenoz wynosi ok. 1:20 000–40 000 w populacji ogólnej.

Glikogenoza typu III (choroba Coriego) powodowana jest uszkodzeniami genu AGL. Choroba ujawnia się zwykle w okresie niemowlęcym i charakteryzuje się hipoglikemią oraz hiperlipidemią, a współistniejące uszkodzenia wątroby mogą prowadzić do spowolnienia wzrostu.

Hipoglikemia w GSD typu III jest zwykle mniej nasilona niż w GSD typu I (najcięższy i najczęstszy typ), co wynika z zachowanego procesu glukoneogenezy, a w przebiegu choroby obserwuje się znaczną ketonemię z hipoglikemią na czczo.

Leczenie glikogenozy typu III opiera się głównie na postępowaniu dietetycznym, obejmującym regularne posiłki, zwiększoną podaż białka oraz stosowanie węglowodanów o przedłużonym uwalnianiu (np. skrobi kukurydzianej), w celu utrzymania stabilnego stężenia glukozy we krwi oraz zapobiegania powikłaniom metabolicznym.

Dowody naukowe

Zaburzenia oksydacji długołańcuchowych kwasów tłuszczów: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt MCT

Odnalezione rekomendacje brytyjskie BIMDG 2024, amerykańskie van Calcar 2020, SERN i GMDI 2019, polskie Zalecenia dietetyczne w pediatrii 2019, europejskie Spiekerkoetter 2009, zalecają w terapii zaburzeń oksydacji długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (deficyt LCHAD, deficyt VLACD oraz deficyt MTP) ograniczenie podaży długołańcuchowych kwasów tłuszczowych oraz stosowanie suplementacji MCT (średniołańcuchowe kwasy tłuszczowe). Ważne jest unikanie okresów głodzenia i sytuacji mogących prowadzić do dekompensacji metabolicznej. Wśród specjalnych mieszanek zawierających MCT, wytyczne BIMDG 2024 wymieniają m.in. produkt MCT Procal.

Zaburzenia cyklu karnityny: deficyt palmitylotransferazy karnityny (CPT I oraz CPT II)

Odnalezione rekomendacje brytyjskie BIMDG 2024, zalecają ograniczenie podaży długołańcuchowych kwasów tłuszczowych oraz stosowanie suplementacji MCT (średniołańcuchowe kwasy tłuszczowe). Wśród specjalnych mieszanek zawierających MCT, wytyczne BIMDG 2020 wymieniają m.in. produkt MCT Procal.

Deficyt dehydrogenazy pirogronianu, deficyt transportera glukozy GLUT-1

Wytyczne dotyczące schorzeń związanych z zespołem niedoboru transportera glukozy typu 1 oraz deficytem dehydrogenazy pirogronianu (BIMDG 2024, Klepper 2020, BDA 2020, Kossof 2018) zalecają stosowanie diety ketogenicznej, w tym opartej na trójglicerydach o średnim łańcuchu (MCT). Oceniana interwencja została wymieniona w zaleceniach z BIMDG 2024 (pod nazwą MCT Procal) jako przykładowy suplement o wysokiej zawartości MCT.

Glikogenoza typu III

Wytyczne brytyjskie BIMDG 2024 wymieniają śsspż MCT Procal jako produkt białkowo-energetyczny dostępny na receptę przeznaczony dla pacjentów od 3. roku życia do wieku dorosłego, możliwy do zastosowania jako uzupełnienie diety wysokobiałkowej.

Francuskie wytyczne kliniczne PNDS z 2023 wskazują, że leczenie opiera się głównie na diecie wysokobiałkowej, unikaniu głodzenia oraz stosowaniu skrobi kukurydzianej. Wytyczne wskazują również na możliwość zwiększenia udziału tłuszczów w diecie, szczególnie u pacjentów z kardiomiopatią, jako elementu diety wysokobiałkowej i niskowęglowodanowej. Jednocześnie wytyczne nie zawierają rekomendacji dotyczących stosowania triglicerydów średniołańcuchowych (MCT) ani preparatów zawierających MCT jako standardowego elementu leczenia glikogenozy typu III.

W wytycznych amerykańskich dotyczących glikogenozy typu III (Kishnani 2010) wskazano, że triglicerydy średniołańcuchowe (MCT) nie stanowi standardu postępowania dla wszystkich pacjentów z GSD III. Mogą stanowić alternatywne źródło energii, jednak ich rola terapeutyczna pozostaje nieustalona. Autorzy

podkreślają konieczność dalszych badań. Zaznaczono, że MCT można rozważać jako element indywidualnie dobranej diety u wybranych chorych, szczególnie z GSD IIIa i kardiomiopatią/miopatią, pod kontrolą ośrodka metabolicznego.

W polskich zaleceniach pediatrycznych z 2020 r. opisujących schemat leczenia w glikogenozie III, nie zawarto rekomendacji dotyczących stosowania triglicerydów średniołańcuchowych (MCT). Wytyczne wskazują na dietę niskotłuszczową jako element właściwego żywienia.

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

Dla nowo ocenianych wskazań, tj. deficytu mitochondrialnego białka trójfunkcyjnego (MTP) oraz glikogenozy typu III, odnaleziono odpowiednio 4 badania dotyczące pacjentów z MTP lub LCHAD/MTP (badania obserwacyjne - Gillingham 2024 (retrospektywne), Gillingham 2003 (prospektywne), Gillingham 2006 – RCT oraz opis przypadku Guan 2021), a w przypadku glikogenozy typu III 4 publikacje stanowiące opisy pojedynczych pacjentów lub serii przypadków z glikogenozą typu III (Rossi 2020, Merrigan 2019, Clemente 2010, Burns 2009).

W Polsce nie jest dostępna alternatywna technologia medyczna, która może w pełni zastąpić śsspż MCT Procal. Pacjenci mogą stosować śsspż zawierające średniołańcuchowe trójglicerydy (MCT), tj.: K.Vita, Liquigen, MCT Oil, Lipistart, Betaquik i Monogen, sprowadzane głównie w ramach importu docelowego, jednakże różnią się one składem od ocenianego śsspż MCT Procal. Zgodnie z odnalezionymi wytycznymi klinicznymi, w przypadku postępowania dietetycznego optymalny dobór preparatu zależy od wielu czynników: indywidualnych potrzeb pacjentów w tym m.in. wieku, stanu zdrowia lub masy ciała.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z oszacowaniami analityków, przy uwzględnieniu liczebności populacji na podstawie danych MZ refundacja śsspż MCT Procal w ocenianych wskazaniach będzie wiązać się z wydatkami płatnika publicznego w wysokości ok. 207 tys. PLN rocznie. Największe oszacowane wydatki dla płatnika dotyczą pacjentów z deficytem LCHAD, najniższe zaś z deficytem MPT, a w drugiej kolejności z glikogenozą typu III.

Główne argumenty decyzji:

- Niezaspokojona potrzeba medyczna;
- Brak alternatywnej technologii medycznej;

- *Aktualne wytyczne kliniczne;*
- *Niewielkie obciążenie finansowe dla płatnika publicznego.*

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.414.4.2026 (Aneks do opracowania nr: OT.4211.23.2022) „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”; data ukończenia: 29 lipca 2026 r.