

**Rekomendacja nr 78/2012**  
**Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych**  
**z dnia 8 października 2012 r.**  
**w sprawie objęcia refundacją**  
**środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego**  
**Neocate LCP, dieta - preparat złożony, proszek 400 g puszka;**  
**we wskazaniu: postępowanie dietetyczne u niemowląt**  
**w ciężkiej alergii na białka mleka krowiego oraz złożonej**  
**nietolerancji białek pokarmowych**

**Prezes Agencji**, w ślad za stanowiskiem Rady Przejrzystości,<sup>1</sup> **rekomenduje** objęcie refundacją środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Neocate LCP, preparat złożony, proszek 400 g puszka we wskazaniu: postępowanie dietetyczne u niemowląt w ciężkiej alergii na białka mleka krowiego oraz złożonej nietolerancji białek pokarmowych.

**Uzasadnienie rekomendacji**

Neocate LCP jest dietetycznym środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia, złożonym z mieszaniny wolnych aminokwasów z dodatkiem długołańcuchowych wielonasyconych kwasów tłuszczowych, kwasu dokozaheksaenowego i kwasu arachidonowego. Znajduje zastosowanie u niemowląt i dzieci w ciężkiej alergii na białka mleka krowiego oraz złożonej nietolerancji białek pokarmowych. Preparat posiada porównywalne właściwości hipoałergiczne do Nutramigenu AA i jest dobrze tolerowany.

Rada Przejrzystości zaproponowała umieszczenie preparatu Neocate LCP w grupie limitowej 217.7 Diety eliminacyjne mlekozastępcze – mieszanki elementarne, w której znajduje się preparat Nutramigen AA, natomiast biorąc pod uwagę zdanie odrębne zgłoszone przez członków Rady Przejrzystości, Prezes Agencji uważa za zasadne umieszczenie preparatu Neocate LCP w odrębnej grupie limitowej stojąc na stanowisku, że umieszczenie ww. preparatów we wspólnej grupie limitowej mogłoby spowodować znaczące różnice w wysokości dopłaty do poszczególnych preparatów.

**Przedmiot wniosku**

Wniosek podmiotu odpowiedzialnego dotyczy objęcia refundacją środka specjalnego przeznaczenia żywieniowego Neocate LCP, preparat złożony, proszek 400 g puszka, [REDACTED] [REDACTED] postępowanie dietetyczne u niemowląt w ciężkiej alergii na białka mleka krowiego oraz złożonej nietolerancji białek pokarmowych. Zgodnie z wnioskiem proponowana cena [REDACTED]

## Problem zdrowotny

Według kryteriów Europejskiej Akademii Alergologii i Immunologii Klinicznej (EAACI) nadwrażliwość pokarmowa definiowana jest jako nieprawidłowa, powtarzająca się reakcja na spożyty lub spożywany pokarm, który jest dobrze tolerowany przez osoby zdrowe.

Mechanizm nadwrażliwości pokarmowej może mieć charakter immunologiczny lub nieimmunologiczny. Nadwrażliwości o podłożu immunologicznym określane są mianem alergii pokarmowych. Zaburzenia immunologiczne w przebiegu alergii pokarmowej mogą mieć charakter IgE-zależny, IgE-niezależny oraz mieszany, możliwe są także reakcje krzyżowe.

Rozwój alergicznej nadwrażliwości pokarmowej (alergii pokarmowej), podobnie jak innych chorób alergicznych, jest uwarunkowany współdziałaniem czynników genetycznych, środowiskowej ekspozycji na alergeny oraz niespecyficznych czynników wspomagających takich jak: narażenie na dym tytoniowy, zanieczyszczenie powietrza czy infekcje.

Obraz kliniczny może obejmować objawy ze strony przewodu pokarmowego, dróg oddechowych, układu sercowo-naczyniowego i skóry. Obraz kliniczny reakcji IgE-zależnych obejmuje objawy ze strony przewodu pokarmowego, takie jak: wymioty, bóle brzucha, biegunka, świąd jamy ustnej i gardła, reakcje skórne w postaci pokrzywki czy obrzęku naczynioruchowego, objawy z dróg oddechowych, wśród których najczęstsze są objawy alergicznego nieżytu nosa i obturacja drzewa oskrzelowego. Mogą również występować zaburzenia ze strony układu sercowo-naczyniowego do wstrząsu anafilaktycznego włącznie. W przypadkach, w których objawy alergii nie są zależne od przeciwciał IgE obraz kliniczny jest mniej burzliwy, natomiast w sytuacjach w których objawy alergii nie są zależne od przeciwciał IgE, przebieg choroby nie jest tak ostry jak w IgE-zależnej formie alergii. Objawy mają zwykle charakter podostry lub przewlekły, a ich występowanie jest prawdopodobnie związane

z wydzielaniem cytokin zapalnych przez limfocyty T oraz komórki prezentujące antygeny (APC).

Szacuje się, że odsetek niemowląt i dzieci z objawami alergii pokarmowej wynosi 6-8%, natomiast częstość alergii na białka mleka krowiego, potwierdzona oceną immunologiczną i próbami eliminacyjnymi, wynosi 2-3%. U większości dzieci z nadwrażliwością pokarmową rozpoznaną i leczoną w okresie niemowlęcym i wczesnodziecięcym objawy choroby ustają (ok. 80% do 4.-5. roku życia). U pozostałych chorych stan przetrwałej nadwrażliwości pokarmowej jest indywidualnie zróżnicowany w czasie. Nabywanie tolerancji pierwotnie szkodliwego pokarmu następuje szybciej i w większym odsetku u chorych z nadwrażliwością pokarmową IgE-niezależną niż u chorych, u których objawy chorobowe są wyzwalane z udziałem mechanizmu patogenetycznego IgE-zależnego.

Podstawą rozpoznania alergii jest ustalenie związku przyczynowo-skutkowego pomiędzy spożyciem szkodliwego pokarmu, a występowaniem dolegliwości. Podstawą leczenia alergii na białka pokarmowe, w tym białko mleka krowiego u niemowląt i dzieci jest zastosowanie diety eliminacyjnej. Polega ona na czasowym lub stałym usunięciu z żywienia chorego dziecka szkodliwego lub źle tolerowanego składnika pokarmowego z jednoczesnym wprowadzeniem w jego miejsce składników zastępczych o równoważnych wartościach odżywczych. W diecie eliminacyjnej najczęściej stosuje się hydrolizaty białkowe - preparaty, w których białka zostały poddane hydrolizie w celu obniżenia ich właściwości antygenowych. Wyróżnia się 3 rodzaje preparatów, w zależności od stopnia hydrolizy białka oraz zawartości wolnych aminokwasów:

- hydrolizaty o nieznacznym stopniu hydrolizy białka (typu HA – mieszanki hypoantygenu),
- hydrolizaty o znacznym stopniu hydrolizy białka (kazeinowe lub serwatkowe),
- mieszanki elementarne (frakcja białkowa zastąpiona przez izolowane aminokwasy).

## Opis wnioskowanego świadczenia

Neocate LCP jest dietetycznym środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego przeznaczony do postępowania dietetycznego u niemowląt w alergii na białka mleka krowiego, złożonej nietolerancji białek pokarmowych i innych schorzeniach, w których wskazana jest dieta elementarna. Preparat stanowi opartą na aminokwasach kompletną dietę z dodatkiem

długołańcuchowych wielonasyconych kwasów tłuszczowych (LCP), kwasu dokozaheksaenowego (DHA) i kwasu arachidonowego (ARA). Neocate LCP jest mieszanką elementarną, w której frakcję białkową zastąpiono zestawem syntetycznych aminokwasów przeznaczoną do stosowania u niemowląt od urodzenia do ukończenia 1-go roku życia.

Jako środek spożywczy Neocate LCP został wprowadzony do obrotu 26 marca 2012 roku.

### **Alternatywna technologia medyczna**

Podstawą leczenia alergii na białka pokarmowe, w tym białko mleka krowiego u niemowląt i dzieci jest zastosowanie diety eliminacyjnej. Polega ona na czasowym lub stałym usunięciu z żywienia chorego dziecka szkodliwego lub źle tolerowanego składnika pokarmowego z jednoczesnym wprowadzeniem w jego miejsce składników zastępczych, o równoważnych wartościach odżywczych, dieta taka przybiera formę podawania pokarmów niealergizujących.

Wytyczne praktyki klinicznej w przypadku alergii na białko mleka krowiego najczęściej zalecają zastosowanie hydrolizatów białka o wysokim stopniu hydrolizy, a także hydrolizaty mleka sojowego i ryżowego oraz preparaty mlekozastępcze oparte na mieszaninie pojedynczych aminokwasów. Natomiast w ciężkiej alergii na białka mleka krowiego zalecane są mieszanki aminokwasów.

Jako komparator dla preparatu Neocate LCP, we wnioskowanej populacji wnioskodawca

[Redacted text block]

### **Skuteczność kliniczna**

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[Redacted text block]

[REDAKTED]

### Skuteczność praktyczna

Wnioskodawca nie przedstawił danych dotyczących skuteczności praktycznej.

### Bezpieczeństwo stosowania

[REDAKTED]

### Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

[REDAKTED]

### Stosunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

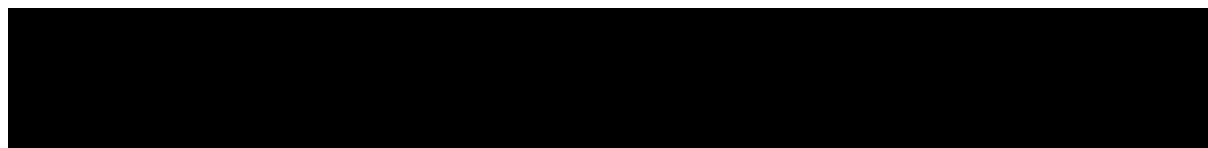
[REDAKTED]



**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. nr 122, poz.696 z późn. zm.)**

Oceniany preparat należy do kategorii dietetycznych środków spożywczych, nie objętej dyspozycją z art. 13 ust 3 cytowanej ustawy.

#### **Wpływ na budżet płatnika publicznego**



[Redacted content]

[Redacted content]

**Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej**

[Redacted content]

[Redacted content]



## Omówienie rekomendacji wydanych w innych krajach

Odnaleziono jedną rekomendację dotyczącą stosowania ocenianej technologii.

*Pharmaceutical Benefits Advisory Committee* (PBAC, Australia)- pozytywna rekomendacja finansowa odnosząca się do preparatu Neocate LCP. Organizacja rekomenduje umieszczenie na wykazach refundacyjnych preparatu Neocate LCP, który w stosunku do preparatu Neocate ma dodatek długołańcuchowych wielonienasyconych kwasów tłuszczowych (LCP), zwracając uwagę, że są przesłanki teoretyczne na korzyść suplementacji LCP u niemowląt poniżej 12 miesięcy z alergią pokarmową.

Wnioskodawca przedstawił informację, iż oprócz pozytywnej rekomendacji PBAC odnaleziono również pozytywną rekomendację HAS z 2008 roku (*Haute Autorité de Santé, Francja*) oraz PTAC (*Pharmacology and Therapeutics Advisory Committee, Nowa Zelandia*) z maja 2010, jednak w wyniku wyszukiwania Agencji nie udało się zidentyfikować takich dokumentów. Natomiast na podstawie *Pharmaceutical Schedule* z września 2012 roku odnaleziono informację o finansowaniu ze środków publicznych preparatu Neocate LCP w Nowej Zelandii (we wskazaniu: nietolerancja hydrolizatów wysokiego stopnia, anafilakcja na białko mleka krowiego lub produkty mleczne oraz eozynofilowe zapalenie przetyku).

## Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja Prezesa Agencji w przedmiocie objęcia refundacją środka spożywczego specjalnego przeznaczenia Neocate LCP, dieta - preparat złożony, proszek 400 g puszka, we wskazaniu: postępowanie dietetyczne u niemowląt w ciężkiej alergii na białka mleka krowiego oraz złożonej nietolerancji białek pokarmowych została przygotowana na podstawie zlecenia Ministra Zdrowia z dnia 25 kwietnia 2012 r. (znak pisma: MZ-PLA-460-12525-143/KKU/12), na podstawie art. 35 ust. 1 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. Nr 122, poz. 696, z późn. zm.).

## Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 87/2012 z dnia 8 października 2012 r. w sprawie zasadności finansowania środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Neocate LCP (preparat

złożony) we wskazaniu: postępowanie dietetyczne u niemowląt w ciężkiej alergii na białka mleka krowiego oraz złożonej nietolerancji białek pokarmowych.

2. AOTM-OT-4350-8/2012 Wniosek o objęcie refundacją środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego: Neocate LCP, dieta - preparat złożony, proszek 400g puszka; we wskazaniu: postępowanie dietetyczne u niemowląt w ciężkiej alergii na białka mleka krowiego oraz złożonej nietolerancji białek pokarmowych.
3. Prezentacja wyników analizy weryfikacyjnej nr AOTM-OT-4350-8/2012 oraz AOTM-OT-4350-16/2012: „Neocate LCP, dieta - preparat złożony, proszek 400 g puszka; we wskazaniu: postępowanie dietetyczne u niemowląt w ciężkiej alergii na białka mleka krowiego oraz złożonej nietolerancji białek pokarmowych. Neocate Advance, dieta - preparat złożony, proszek 400g puszka; we wskazaniu: postępowanie dietetyczne u dzieci w wieku powyżej 1. roku życia w ciężkiej alergii na białka mleka krowiego oraz złożonej nietolerancji białek pokarmowych”.