



## **Rekomendacja nr 77/2014**

**z dnia 10 marca 2014 r.**

**Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych**

**w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka  
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego:  
LEU-free cooler (dieta eliminacyjna) woreczki á 130ml  
we wskazaniu: 3 metylokrotonyloglicynuria.**

**Prezes Agencji nie rekomenduje** wydawania zgód na refundację w ramach procedury zapotrzebowania na sprowadzenie z zagranicy produktu leczniczego nieposiadającego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu, niezbędnego dla ratowania życia lub zdrowia pacjenta środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego: LEU-free cooler (dieta eliminacyjna) we wskazaniu 3 metylokrotonyloglicynuria.

### **Uzasadnienie rekomendacji**

**Prezes Agencji**, przychylając się do stanowiska Rady Przejrzystości uważa za niezasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego: LEU-free cooler (dieta eliminacyjna) woreczki á 130ml we wskazaniu: 3 metylokrotonyloglicynuria.

Podstawowym postępowaniem w 3-metylokrotonyloglicynurii jest dieta z ograniczeniem produktów zawierających leucynę, która ma na celu zapobieganie uszkodzeniom mózgu i układu nerwowego. Z powodu braku badań naukowych wskazujących na skuteczność i bezpieczeństwo stosowania wnioskowanego produktu w 3-metylokrotonyloglicynurii oraz brak rekomendacji klinicznych w tym zakresie, trudno znaleźć przesłanki uzasadniające wydawanie zgody na refundację produktu LEU-free cooler we wnioskowanym wskazaniu.

### **Przedmiot wniosku**

Wniosek dotyczy zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspz): LEU-free cooler (Dieta eliminacyjna), woreczki á 130ml we wskazaniu: 3 metylokrotonyloglicynuria. Środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego LEU-free cooler (Dieta eliminacyjna), woreczki á 130ml nie posiada ważnego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu na terytorium Polski, może być jednak sprowadzany z zagranicy, jeżeli jego zastosowanie jest niezbędne dla ratowania życia lub zdrowia pacjenta, na warunkach i w trybie określonym w art. 29a ust. 5 ustawy z dnia 25 sierpnia 2006 r. o bezpieczeństwie żywności i żywienia (Dz.U. z 2010 r., Nr 136, poz 914 z późn. zm.). Minister Zdrowia może wydać zgodę na refundację sprowadzanego środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego na podstawie art. 39 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych



specjalnego przeznaczenia żywnościowego oraz wyrobów medycznych. Preparat jest wtedy wydawany świadczeniobiorcy po wniesieniu opłaty ryczałtowej.

### **Problem zdrowotny**

3- Methylcrotonylglicynuria (3MCC) to niedobór karboksylazy 3-Methylcrotonyl-CoA. Jest to choroba dziedziczna, dziedziczona autosomalnie recesywnie. Osoby z tą chorobą mają niewystarczający poziom enzymu odpowiedzialnego za rozkład białek zawierających leucynę. Częstotliwość występowania choroby wynosi 1 na 50 000 osób.

Niemowlęta dotknięte chorobą wyglądają normalnie przy urodzeniu. Pierwsze symptomy mogą wystąpić w ciągu pierwszego roku życia lub we wczesnym dzieciństwie. Objawami są: trudności w karmieniu, częste wymioty i biegunki, zmęczenie, senność, hipotonia (słabe napięcie mięśniowe). Nieleczona prowadzi do zaburzenia rozwoju, drgawek, śpiączki. Wczesne wykrycie i odpowiednie prowadzenie osoby chorej (odpowiednia dieta o niskiej zawartości białka) może zapobiec pogłębianiu choroby. Mutacja w obrębie genu karboksylazy (MCCC1 i MCCC2) nie zawsze jest jednoznaczna z wystąpieniem objawów choroby. Cechy niedoboru 3-MCC są podobne to zespołu Reye'a.

Podstawowym leczeniem jest dieta z ograniczeniem produktów zawierających leucynę. Gromadzenie produktów ubocznych przetwarzania leucyny powodują uszkodzenia mózgu i układu nerwowego. Stosuje się suplementację glicyną, karnityną i biotyną.

### **Opis wnioskowanego świadczenia**

LEU-free cooler jest gotowym do picia substytutem białka zawierającego egzo- i endogenne aminokwasy, węglowodany, witaminy, składniki, minerały, pierwiastki śladowe i długołańcuchowe wielonienasycone kwasy tłuszczowe omega-3 (LCP), kwas dokozaheksaenowy (DHA) i kwas eikozapentaenowy (EPA). Zawiera cukier i środki słodzące. Produkt może być przyjmowany tylko przez dzieci pod ścisłym nadzorem medycznym. Jest on dostępny od 3 r. ż. Dieta musi być uzupełniona naturalnymi proteinami, wodą i innymi składnikami odżywczymi określonymi ilościowo, w celu dostarczenia metioniny, płynów i innych. Preparat nie zawiera leucyny.

### **Alternatywna technologia medyczna**

Na podstawie opinii ekspertów kluczową rolę w postępowaniu medycznym u pacjentów z 3MCC odgrywa dieta z ograniczeniem białka naturalnego lub leucyny. Postępowanie dietetyczne obejmuje wszystkich pacjentów rozpoznanych objawowo. Część pacjentów rozpoznanych przedobjawowo wymaga jedynie obserwacji i profilaktyki stanów dekompensacji metabolicznej, bez konieczności przewlekłego stosowania diety eliminacyjnej. Potrzebna jest uzupełniająca podaż izoleucyny i waliny. Postępowanie dietetyczne obejmuje wszystkich pacjentów leczonych zachowawczo.

### **Skuteczność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania**

Nie odnaleziono badań klinicznych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo stosowania LEU-free cooler.

### **Skuteczność praktyczna**

Nie odnaleziono dowodów naukowych dokumentujących skuteczność praktyczną.

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

Aktualnie, na Wykazie Leków Refundowanych nie znajduje się żaden śsspż przeznaczony dla pacjentów z 3MCC.

Otrzymane dane z MZ wskazują, że w 2013 roku udzielono 2 zgody (2 wnioski) na łączną ilość 9. opakowań á 30 sztuk LEU-free cooler na leczenie 3MCC na kwotę 20 250zł, średnia cena

za opakowanie wynosiła 2 250zł. W 2012 roku nie było żadnych wniosków we wnioskowanym zleceniu.

### **Omówienie rekomendacji wydawanych w innych krajach w odniesieniu do ocenianej technologii**

Nie odnaleziono rekomendacji klinicznych we wnioskowanym wskazaniu.

Nie odnaleziono rekomendacji refundacyjnych dla ocenianego preparatu.

### **Podstawa przygotowania rekomendacji**

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 03.07.2013r. Ministra Zdrowia (znak: MZ-PLD-460-18536-44/AL/13), w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspż) LEU-free cooler (Dieta eliminacyjna), woreczki á 130ml we wskazaniu: 3 metylokrotonyloglicynuria, sprowadzanego zgodnie art. 29a ust. 5 ustawy z dnia 25 sierpnia 2006 r.o bezpieczeństwie żywności i żywienia (Dz.U. z 2010 r., Nr 136, poz. 914 z późn. zm.) na podstawie art. 31e ustawy z dnia 24 sierpnia 2004 roku o świadczeniach zdrowotnych finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz. 1027, z późn. zm.), i w związku z art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. Nr 122, poz. 696, z późn. zm.), po uzyskaniu stanowiska Rady Przejrzystości nr 86/2014 z dnia 10 marca 2014 r. w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego LEU-free cooler (Dieta eliminacyjna), woreczki á 130ml we wskazaniu: 3 metylokrotonyloglicynuria.

### **Piśmiennictwo:**

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 86/2014 z dnia 10 marca 2014 r. w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego LEU-free cooler (Dieta eliminacyjna), woreczki á 130ml we wskazaniu: 3 metylokrotonyloglicynuria.
2. Raport nr: AOTM-BP-431-7/2014, LEU-free cooler (Dieta eliminacyjna), woreczki á 130ml we wskazaniu: 3 metylokrotonyloglicynuria. Raport ws. zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego. Warszawa, marzec 2014 r.