



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 86/2014 z dnia 10 marca 2014 r.

w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu
lecniczego LEU-free cooler (Dieta eliminacyjna), woreczki á 130ml
we wskazaniu: 3 metylokrotonyloglicynuria

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne wydawanie zgody na refundację środka spożywczo specjalnego przeznaczenia żywieniowego LEU-free cooler (Dieta eliminacyjna), woreczki á 130ml we wskazaniu: 3-metylokrotonyloglicynuria.

Uzasadnienie

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

W pismach z dnia 3.07.2013, znak MZ-PLD-460-18536-44/AL/13 (data wpływu do AOTM 8 lipca 2013 r.), Minister Zdrowia zwrócił się z prośbą o przygotowanie na podstawie art. 31e ustawy o świadczeniach rekomendacji Prezesa dla świadczenia opieki zdrowotnej LEU-free cooler (Dieta eliminacyjna), woreczki á 130 ml we wskazaniu: 3-metylokrotonyloglicynuria, w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego nieposiadającego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu na terytorium Rzeczypospolitej Polskiej, sprowadzanego z zagranicy na warunkach i w trybie określonym w art. 4 ustawy z dnia 6 września 2001 r. – Prawo farmaceutyczne (Dz. U. z 2008 r. Nr 45, poz. 271, z późn. zm.).

Mając na uwadze ograniczony zakres dostępnych danych (wynikający z braku rejestracji środków specjalnego przeznaczenia żywieniowego LEU-free cooler w Polsce), zwrócono się do Ministra Zdrowia z prośbą o wyrażenie zgody na wykonanie skróconej oceny ww. świadczenia opieki zdrowotnej, ograniczonej do oceny skuteczności oraz profilu bezpieczeństwa, z wykorzystaniem dostępnych informacji dotyczących rejestracji ww. produktu leczniczego w Wlk. Brytanii, uzupełnionej o przegląd dostępnych rekomendacji klinicznych, rekomendacji refundacyjnych dla tego leku na świecie oraz opinie ekspertów klinicznych. Pismem z dnia 30 sierpnia 2013r. Minister wyraził zgodę na taki sposób postępowania.

Problem zdrowotny

3-Metylokrotonyloglicynuria (3MCC) to niedobór karboksylazy 3-metylokrotonylo-CoA (niedobór 3MCC), znany także jako niedobór BMCC. Jest to choroba dziedziczna, dziedziczona autosomalnie



recesywnie. Osoby z tą chorobą mają niewystarczający poziom enzymu odpowiedzialnego za rozkład białek zawierających leucynę. Częstotliwość występowania tej 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 wnioskowanej technologii medycznej

Cooler jest gotowym do picia substytutem białka zawierającym 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.

Alternatywne technologie medyczne

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 przed wystąpieniem objawów wymaga jedynie obserwacji i profilaktyki stanów dekomensacji metabolicznej, bez konieczności przewlekłego stosowania diety eliminacyjnej. Uzupełniająca podaż izoleucyny i waliny. Postępowanie dietetyczne obejmuje wszystkich pacjentów leczonych zachowawczo.

Skuteczność kliniczna

Brak danych.

Skuteczność praktyczna

Brak danych.

Bezpieczeństwo stosowania

Brak danych.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

Aktualnie, na Wykazie Leków Refundowanych (WLR) nie znajduje się żaden śsspz przeznaczony dla pacjentów z 3MCC.

Otrzymane dane z NFZ 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.

Rekomendacje innych instytucji dotyczące ocenianej technologii medycznej

Nie odnaleziono rekomendacji klinicznych we wnioskowanym wskazaniu.

Dodatkowe uwagi Rady

Brak uwag.

Biorąc pod uwagę powyższe argumenty, Rada Przejrzystości przyjęła stanowisko jak na wstępie.

.....
Przewodniczący Rady Przejrzystości
prof. Tomasz Pasierski

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31 e ustawy z dnia 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2008 r. Nr 164, poz.1027 z późn .zm.) w związku z art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2012 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. Nr 122, poz. 696 z późn. zm.), z uwzględnieniem raportu ws. zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego AOTM-BP-431-7/2014, LEU-free cooler (Dieta eliminacyjna), woreczki á 130ml we wskazaniu: 3 metylokrotonyloglicynuria, marzec 2014.

Inne wykorzystane źródła danych, oprócz wskazanych w ww. raporcie:

1. Nie dotyczy.