



Rekomendacja nr 58/2014

z dnia 25 lutego 2014 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego: GA Gel (dieta eliminacyjna) we wskazaniu acyduria glutarowa typu I.

Prezes Agencji rekomenduje wydawanie zgód na refundację w ramach procedury zapotrzebowania na sprowadzenie z zagranicy środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego nieposiadającego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu, niezbędnego dla ratowania życia lub zdrowia pacjenta (import docelowy): GA Gel (dieta eliminacyjna) we wskazaniu acyduria glutarowa typu I.

Uzasadnienie rekomendacji

Prezes Agencji, przychylając się do stanowiska Rady Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego: GA Gel (dieta eliminacyjna) we wskazaniu Acyduria glutarowa typu I.

Brak jest badań klinicznych omawiających skuteczność i bezpieczeństwo kliniczne środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego GA Gel w podanym wskazaniu. Odnaleziono 5 rekomendacji klinicznych i 1 finansową stwierdzającą przydatność GA Gel dla pacjentów od 6 mc do 10 r. życia. W wytycznych NHS NIHR 2012 wskazano ten środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego jako jeden z kilku do stosowania w diecie w Acydurii glutarowej typu I.

Przedmiot wniosku

Wniosek dotyczy zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspz): GA Gel (dieta eliminacyjna) saszetki à 24 g we wskazaniu: Acyduria glutarowa typu I. Środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego GA Gel (dieta eliminacyjna) saszetki à 24 g 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 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 żywieniowego oraz wyrobów medycznych. Preparat jest wtedy wydawany świadczeniobiorcy po wniesieniu opłaty ryczałtowej.



Problem zdrowotny

Acyduria glutarowa typu 1, inaczej niedobór dehydrogenazy glutarylo-CoA (GDD) jest autosomalnie recesywnym zaburzeniem neurometabolicznym, charakteryzującym się przełomami ostrej encefalopatii, które powodują uszkodzenia w prążkowie oraz poważne zaburzenia ruchu natury o charakterze dystonii i dyskinezy. Należy do chorób rzadkich, częstość występowania choroby na całym świecie szacuje się na 1 na 100,000 urodzeń. Postępowanie terapeutyczne w chorobie obejmuje obecnie dietę o niskiej zawartości lizyny, suplementację karnityny, w wypadku wystąpienia chorób dodatkowych – przygotowanie na szybką interwencję medyczną. Podczas ostrych epizodów najważniejsze w postępowaniu jest zwiększenie podaży energii (20-100% powyżej zalecanego dziennego spożycia); eliminacja naturalnego białka przez 24-48 godzin a następnie stopniowe jego przywrócenie; podwojenie suplementacji L-karnityny oraz ścisłe monitorowanie glukozy, elektrolitów, bilansu płynów, jak również mocznika i stanu wątroby przez kompetentny interdyscyplinarny zespół. Przestrzeganie zaleceń terapeutycznych medycyny ratunkowej jest konieczne, by zapobiec uszkodzeniu neuronów i późniejszej wtórnej dystonii.

Opis wnioskowanego świadczenia

GA gel to bezsmakowy substytut białka, pozbawiony lizyny z niską zawartością tryptofanu w postaci proszku. GA Gel to skondensowany preparat w postaci proszku przeznaczony dla pacjentów od 6 mż. do 10 r.ż. ze stwierdzoną acydurią glutarową. Preparat dostosowany jest do potrzeb żywieniowych niemowląt i młodszych dzieci z acydurią glutarową, który dostarcza wszystkie niezbędne egzogenne i endogenne aminokwasy bez lizyny, z niską zawartością tryptofanu, węglowodany, witaminy, minerały i pierwiastki śladowe. GA Gel jest jedynym preparatem stosowanym w acydurii glutarowej, który można przyjmować w minimalnym rozcieńczeniu (30 ml płynu na saszetkę 24g), co pozwala na przyjęcie preparatu w formie skondensowanej pasty.

Alternatywna technologia medyczna

Na podstawie opinii eksperta alternatywnymi technologiami stosowanymi w ocenianym wskazaniu w ramach postępowania dietetycznego są: GA1 Anamix Infant, LT-AM2, LT-AM3, w ramach farmakoterapii: L-karnityna (w dużych dawkach). W wytycznych NHS NIHR Expanded Newborn Screening 2012 wskazano kilka preparatów, które można stosować w acydurii glutarowej typu I: GA Anamix Infant, GA Gel, XLys Low Try Maxamaid oraz XLys Try Glutaridon. Ponadto na stronach producentów śsspz zidentyfikowano inne preparaty stosowane w acydurii glutarowej typu I w grupie wiekowej obejmującej przedział od 6 mies. do 10 lat (wskazanie dotyczące GA Gel), są to: GA express15 i GA amino5 produkowane przez Vitaflor, GA produkowane przez Mead Johnson Nutrition, XLYS Low TRY Maxamaid, XLYS Low TRY Maxamum i XLYS TRY Glutaridon produkowane przez Nutricię, Glutarex 1 i Glutarex 2 produkowane przez Abbott Nutrition oraz ga 1, ga 2 i ga 2-prima produkowane przez Milupa Metabolics.

Skuteczność kliniczna i bezpieczeństwo stosowania

Nie odnaleziono żadnych przeglądów systematycznych ani badań klinicznych, na podstawie, których można by wnioskować o skuteczności i bezpieczeństwie klinicznym środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego GA Gel w ocenianym wskazaniu.

Skuteczność praktyczna

Nie odnaleziono dowodów naukowych dokumentujących skuteczność praktyczną.

Wpływ na budżet płatnika publicznego

W ramach importu docelowego sprowadzono do Polski 8 opakowań preparatu GA Gel w 2012 r. i 12 opakowań w 2013 r. łączna kwota zgód na import docelowy przedmiotowego śsspz wg stanu na II kwartał 2013 roku wyniosła 10 768,24 PLN netto w 2012 roku (3 wnioski, 3 zgody, 1 unikalny numer PESEL) i 16 152,36 PLN netto w 2013 roku (2 wnioski, 2 zgody, 1 unikalny numer PESEL).

Śsspż GA Gel finansowany jest ze środków publicznych we wszystkich krajach, gdzie preparat jest zarejestrowany i ma on pełną refundację (Wielka Brytania, Australia i Kanada). Z informacji przekazanych przez podmiot odpowiedzialny wynika, iż cena zbytu netto środka GA Gel wynosi w krajach UE od 203,69 € do 303,79 €.

Omówienie rekomendacji wydawanych w innych krajach w odniesieniu do ocenianej technologii

Odnaleziono 5 rekomendacji klinicznych oraz 1 rekomendację finansową. Odnalezione wytyczne kliniczne zalecają ogólnie dietę niskolizynową z jednoczesnym zapewnieniem właściwej podaży białek, kluczowych aminokwasów, energii, mikro/makroelementów i witamin w skojarzeniu z suplementacją L-karnityny (BIMDG 2013 -British Inherited Metabolic Disease Group, EIMD [brak daty] –European registry and network for Intoxication type Metabolic Diseases, NHS National Institute for Health Research Expanded Newborn Screening 2012, Kölker 2011, Orphanet 2013. W wytycznych Expanded Newborn Screening, National Institute for Health Research – NIHR 2012 wskazano preparat GA Gel jako jeden z kilku, które można stosować w dziecie w acydurii glutarowej typu I.

Odnaleziono jedną australijską pozytywną rekomendację PBAC (Pharmaceutical Benefits Advisory Committee) z 2009 roku zalecającą finansowanie ze środków publicznych środka GA Gel w acydurii glutarowej typu I u pacjentów w wieku od 6 miesięcy do 10 lat.

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 04.07.2013r. Ministra Zdrowia (znak: MZ-PLD-460-18536-38/AL/13), w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspż)GA Gel (dieta eliminacyjna) saszetki á 24 g we wskazaniu: Acyduria glutarowa typu I, 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 67/2014 z dnia 25 lutego 2014 r. w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego GA Gel we wskazaniu Acyduria glutarowa typu I.

Piśmiennictwo:

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 67/2014 z dnia 25 lutego 2014 r. w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego GA Gel we wskazaniu Acyduria glutarowa typu I
2. Raport nr: AOTM-OT-431-24/2013, GA GEL (Dieta eliminacyjna) saszetki á 24 g we wskazaniu: Acyduria glutarowa typu I Raport ws. zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego. Warszawa, 20 luty 2014 r