



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 117/2018 z dnia 13 listopada 2018 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Aldixyl
we wskazaniu: adrenoleukodystrofia

Rada Przejrzystości uważa za niezasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Aldixyl, płyn, butelka á 300 ml, we wskazaniu: adrenoleukodystrofia.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację sprowadzanego z zagranicy środka spożywczego specjalnego przeznaczenia medycznego - Aldixyl, płyn, butelka á 300 ml, we wskazaniu: adrenoleukodystrofia. Jest to ciężka, postępująca choroba demielinizacyjna ośrodkowego i obwodowego układu nerwowego oraz nadnerczy, sprzężona z chromosomem X (X-ALD), dziedziczona w sposób recesywny. Proces degeneracyjny spowodowany jest przez odkładanie się długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (VLCFA) w tkankach (nadnercza) i mózgu wskutek ich upośledzonego transportu do wnętrza peroksysomu, W Polsce jest ok. 40 pacjentów z X-ALD, z czego do leczenia kwalifikują się 32 osoby.

Aldixyl nie był dotychczas oceniany przez AOTMiT. W 2014 oraz w 2018 r. była oceniana w adrenoleukodystrofii zbliżona technologia, tj. Lorenzo's Oil (LO) czyli mieszanina trierukanu glicerolu (GTE), i trioleinianu glicerolu (GTO); płyn á 500 ml. Produkt Lorenzo's Oil otrzymał pozytywne rekomendacje Prezesa (2014 i 2018 r) w subpopulacji pacjentów z bezobjawową postacią choroby potwierdzoną badaniem neurologicznym i brakiem lub niewielkimi zmianami w MRI. Aldixyl posiada dodatkowo triglicerydy sprzężonego kwasu linolowego (TGCLA), Alfaxyl (kwas α -liponowy, L-zredukowany glutation, witamina E) oraz aromat naturalny.

Dowody naukowe

Odnaleziono jedynie badanie Cappa2011, oceniające wpływ łącznego podawania oleju Lorenza (mieszanina GTO/GTE) oraz sprzężonego kwasu linolowego (CLA) u 5 kobiet bezobjawowych lub skąpoobjawowych. Wynikiem



terapii było obniżenie stężenia VLCFA (kwasu heksokozanowego 26:0) we krwi oraz IL-6 w płynie mózgowo-rdzeniowym oraz poprawa w przewodzeniu impulsów w nerwie piszczelowym (brak zmian w n. pośrodkowym). Nie badano wpływu GTO/GTE + CLA na istotne klinicznie punkty końcowe. Ograniczeniem analizy jest brak badań dotyczących Aldixylu. Należy zaznaczyć, że kobiety z ALD stanowią specyficzną populację chorych z odmienną manifestacją i przebiegiem choroby, w związku z czym wyników badania Cappa 2011 nie można przenosić na całą populację chorych. Nie odnaleziono żadnych rekomendacji refundacyjnych dla produktu Aldixyl.

Problem ekonomiczny

Zgodnie z danymi zawartymi w zleceniu Ministra Zdrowia, w Polsce nie została wydana żadna zgoda na refundację Aldixylu. Wyniki uproszczonej analizy wpływu na budżet wskazują, że koszt rocznej terapii populacji docelowej (32 osoby) wyniesie z perspektywy płatnika publicznego ok. 2,4 mln zł (1,8mln zł w przypadku terapii olejem Lorenza).

Główne argumenty decyzji

Nie ma żadnych badań naukowych oceniających Aldixyl. Wg. jednego z ekspertów „brak jest danych, że dodatkowa (w porównaniu do Lorenzo's Oil) suplementacja w inne składniki ma znaczenie kliniczne, przy stosowaniu prawidłowej diety”. Aldixyl jest znacznie droższy niż olej Lorenza.

Tryb wydania stanowiska

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust 2 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2018 r., poz. 1510, z późn. zm.), w związku 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 2016 r. poz. 1536 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: OT.4311.33.2018 „Aldixyl, płyn we wskazaniu: adrenoleukodystrofia”. Data ukończenia: 5 listopada 2018 r.