



## Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

### Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 55/2019 z dnia 1 lipca 2019 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację żywności specjalnego przeznaczenia medycznego MCT procal we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt dehydrogenazy pirogronianu, deficyt transportera glukozy GLUT-1, acyduria malonowa

*Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację żywności specjalnego przeznaczenia medycznego MCT procal, proszek, saszetka à 16 g, we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt dehydrogenazy pirogronianu, deficyt transportera glukozy GLUT-1.*

*Jednocześnie Rada Przejrzystości uważa za niezasadne wydawanie zgód na refundację żywności specjalnego przeznaczenia medycznego MCT procal, proszek, saszetka à 16 g, we wskazaniu acyduria malonowa.*

#### Uzasadnienie

##### Problem decyzyjny

*Minister Zdrowia zlecił zbadanie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego: MCT procal, proszek, saszetka à 16 g, we wskazaniach: deficyt VLCAD (dehydrogenazy 3-hydroksyacylo-koenzymu A długotańcuchowych kwasów tłuszczowych); deficyt LCHAD (dehydrogenazy acylo-CoA kwasów tłuszczowych o bardzo długim łańcuchu); deficyt dehydrogenazy pirogronianu; deficyt transportera glukozy GLUT-1; acyduria malonowa.*

*Produkt MCT procal nie posiada ważnego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu na terenie Rzeczypospolitej Polskiej.*

##### Dowody naukowe

*Dostępne są jedynie bardzo skromne dane kliniczne dotyczące wnioskowanych wskazań. W jednośrodkowym, badaniu klinicznym MacDonald 2018, przeprowadzonym w populacji z deficytami LCHAD, VLCAD oraz CACT wykazano podobną użyteczność produktu Monogen (o zbliżonym składzie do MCT procal - podwyższonej zawartości MCT i zredukowanej LCT) w wymienionych wskazaniach w porównaniu z produktem Lipistart, nie odnotowano nieprawidłowości w zapisie EEG, nie stwierdzono także różnic w zakresie parametrów biochemicznych.*



Odnalezione rekomendacje kliniczne SERN i GMDI 2019, BMIDG 2013/2017, EFNS EBN 2011, EGE 2009, AGE 2010, AKGE 2009 dotyczące deficytu VLCAD i deficytu LCHAD zalecają ograniczenie przyjmowanie długołańcuchowych kwasów tłuszczowych, które częściowo powinny zostać zastąpione przez średniołańcuchowe kwasy tłuszczowe MCT. Odnalezione rekomendacje kliniczne: ASPN 2016, ILAE 2015, PTND 2015 (Polska) i IE 2011 dotyczące deficytu transportera glukozy GLUT-1 i deficytu dehydrogenazy pirogronianu zalecają stosowanie diety ketogennej. W żadnej z rekomendacji nie odniesiono się do możliwości suplementacji MCT lub zmiany proporcji LCT/MCT. W przypadku acydurii malonowej rekomendowane postępowanie dietetyczne polega na wprowadzeniu diety o obniżonej zawartości białka, stosowanie L-karnityny i cyjanokobalaminy.

Zdaniem ekspertów klinicznych MCT procal jest przydatny w populacji z deficytami LCHAD, VLCAD w sytuacjach wymagających dodatkowej podaży energii, np. przed wysiłkiem fizycznym. W deficycie dehydrogenazy pirogronianu oraz deficycie transportera glukozy GLUT-1, w których postępowaniem z wyboru jest stosowanie diety ketogennej, jego stosowanie może być zasadne, gdy zalecenia dietetyczne opierają się na mniej restrykcyjnej proporcji ketogennej lub na diecie Atkinsa czy też na diecie o niskim indeksie glikemicznym. Zdaniem eksperta nie ma uzasadnienia dla stosowania terapii MCT procal u pacjentów z acydurią malonową (jeśli nie ma żadnych dodatkowych indywidualnych wskazań).

#### Problem ekonomiczny

Z powodu braku danych dotyczących populacji docelowej nie jest możliwe precyzyjne oszacowanie kosztów refundacji związanych z refundacją żywności specjalnego przeznaczenia medycznego w ocenianych wskazaniach.

Na podstawie danych dotyczących refundacji w ramach importu docelowego produktu MCT procal w 2018 r. przyjęto, iż rocznie powyższym produktem leczonych będzie 29 pacjentów z analizowanymi wskazaniami, której łączny koszt oszacowano na ok. 154 tys. zł. W przypadku przejęcia przez MCT procal rynku wszystkich produktów zawierających MCT, liczba pacjentów leczonych MCT procal wzrośnie do 149, a koszt ich leczenia wyniesie ok. 791 tys. zł.

#### Główne argumenty decyzji

Głównym ograniczeniem analizy jest brak dowodów dotyczących efektywności klinicznej i praktycznej stosowania MCT procal. Odnalezione dowody dotyczące innej żywności specjalnego przeznaczenia medycznego stanowią dowody niskiej jakości. Nie odnaleziono dowodów dotyczących stosowania mieszanek wzbogaconych o MCT w populacji pacjentów z deficytem dehydrogenazy pirogronianu i deficytem transportera glukozy GLUT-1. Dowody dotyczące stosowania mieszanek wzbogaconych o MCT w populacji z acydurią malonową

*zostały przeprowadzone w populacji niemowląt, natomiast MCT procal dopuszczony jest do stosowania w populacji dzieci od 3 r.ż.*

*Jednakże zdaniem eksperta klinicznego u pacjentów z deficytem dehydrogenazy pirogronianu i deficytem transportera glukozy GLUT-1 zastosowanie środków z MCT może być zasadne w przypadku mniej restrykcyjnych form tej diety.*

.....  
*Przewodniczący Rady Przejrzystości*

*Prof. Rafał Niżankowski*

**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 2019 r., poz. 784 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania na potrzeby zbadania zasadności wydawania zgody na refundację produktu leczniczego, raport nr: OT.4311.8.2019 „MCT procal we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt dehydrogenazy pirogronianu, deficyt transportera glukozy GLUT-1, acyduria malonowa”. Data ukończenia: 26 czerwca 2019 r.