



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezese Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Stanowisko Rady Przejrzystości

nr 83/2019 z dnia 23 września 2019 roku

w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację żywności specjalnego przeznaczenia medycznego Lipistart we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, chłonkobrzusze, wada serca – stan po leczeniu kardiochirurgicznym

Rada Przejrzystości uważa za zasadne wydawanie zgód na refundację żywności specjalnego przeznaczenia medycznego Lipistart, proszek, puszka à 400 g, we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, chłonkobrzusze, wada serca – stan po leczeniu kardiochirurgicznym.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, chłonkobrzusze, wada serca – stan po leczeniu kardiochirurgicznym są to ultrarządki choroby, w których zalecane jest niskie spożycie długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (LCT).

Produkt Lipistart jest przeznaczony do stosowania w leczeniu zaburzeń, w których zalecane jest wysokie spożycie średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych (MCT) oraz niskie spożycie długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (LCT). Lipistart zawiera kompletny zestaw składników odżywczych.

Dowody naukowe

W ramach przeglądu systematycznego, dla wskazania deficyt VLCAD i LCHAD odnaleziono 1 badanie kliniczne I fazy, dotyczące pacjentów stosujących produkt Lipistart i Monogen. Do analizy włączono również 4 opisy przypadków skutecznie leczonych omawianym preparatem.

Nie odnaleziono żadnego badania spełniającego kryterium włączenia do analizy dla deficytu CPT1.

Jedno retrospektywne badanie wskazuje na skuteczność preparatu u niemowląt z wysiękiem chłonki do jamy opłucnej (łac. chylothorax) oraz chłonkobrzuszem (ang. chylous ascites) (Bellini 2012) oraz jedno retrospektywne badanie u pacjentów z wysiękiem chłonki do jamy opłucnej. Ze względu na fakt, iż w badaniu Bellini 2012 jedynie u nieznacznej części pacjentów wystąpiło



chłonnokbrzusze, do analizy włączono 2 opisy przypadków, w których dzieciom podawano podobny preparat (Monogen).

Problem ekonomiczny

Problem będzie dotyczył 17 do 158 chorych, a koszt leczenia preparatem żywieniowym Lipistart wyniesie od 200 tys. do 2 mln rocznie.

Główne argumenty decyzji

- *Dobre podstawy patofizjologiczne stosowania preparatu żywieniowego Lipistart,*
- *Wytyczne Towarzystw Naukowych,*
- *Wcześniejsze pozytywne stanowiska Rady.*

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 2019 r., poz. 1373 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 oceny zasadności wydawania zgody na refundację nr: OT.4311.14.2019 „Lipistart we wskazaniach: deficyt LCHAD, deficyt VLCAD, deficyt CPT1, chłonnokbrzusze, wada serca – stan po leczeniu kardiochirurgicznym”. Data ukończenia: 18 września 2019 r.