



Rada Przejrzystości

działająca przy

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji

Opinia Rady Przejrzystości
nr 274/2020 z dnia 19 października 2020 roku
w sprawie utworzenia odrębnej grupy limitowej dla środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego
Milupa PKU 2 mix

Rada Przejrzystości uznaje za niezasadne utworzenie odrębnej grupy limitowej dla środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego Milupa PKU 2 mix proszek, 400 g, EAN 4008976340287.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Stosownie do przepisów ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych, do grupy limitowej kwalifikuje się środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego o tych samych wskazaniach lub przeznaczeniu oraz podobnej skuteczności. Natomiast, po zasięgnięciu opinii Rady Przejrzystości, opierającej się w szczególności na porównaniu wielkości kosztów uzyskania podobnego efektu zdrowotnego lub dodatkowego efektu zdrowotnego, dopuszcza się tworzenie odrębnej grupy limitowej dla środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, jeżeli zawartość składników odżywczych w istotny sposób wpływa na efekt zdrowotny lub dodatkowy efekt zdrowotny.

Milupa PKU 2 mix to środek spożywczy specjalnego przeznaczenia żywieniowego, dostępny w aptece na receptę we wskazaniu określonym stanem klinicznym. Zawiera mieszaninę egzogennych i endogennych aminokwasów bez fenyloalaniny, tłuszcz, węglowodany, witaminy, składniki mineralne i pierwiastki śladowe. Wskazaniem do jego stosowania jest postępowanie dietetyczne w fenylketonurii (PKU) i hiperfenyloalaninemii (HPA) u małych dzieci w wieku powyżej 1. roku życia i dzieci w wieku szkolnym. Nie może być jedynym źródłem pożywienia. Stosuje się go pod nadzorem lekarza.

Fenylketonuria jest schorzeniem z grupy wrodzonych wad metabolizmu, powodującym zwiększone stężenie fenyloalaniny we krwi, toksyczne w mózgu. Fenylketonurii nie leczy się przyczynowo, ale można zapobiec wystąpieniu objawów i następstw tej choroby. Aktualne leczenie polega na utrzymywaniu ścisłej kontroli metabolicznej za pomocą diety o małej zawartości fenyloalaniny,



co wymaga stosowania specjalnych produktów żywieniowych. Następstwem nieleczonej fenyloketonurii może być niedorozwój umysłowy, małogłowie, opóźnienie rozwoju mowy, drgawki, wypryski, zaburzenia zachowania oraz wiele innych.

Preparat Milupa PKU 2 mix jest refundowany w grupie limitowej 216.10 „Dieta eliminacyjna w fenyloketonurii zawierająca wszystkie składniki odżywcze, z długołańcuchowymi kwasami tłuszczowymi - przeznaczona dla dzieci po ukończeniu 1 r.ż.”. Jego cena detaliczna to 347,32 zł. Do 31 sierpnia 2020 r. wysokość dopłaty świadczeniobiorcy za ten preparat wynosiła 3,20 zł. Od dnia 1 września 2020 r. w omawianej grupie limitowej znajdują się także trzy inne preparaty: Comida PKU B formula (proszek), Comida PKU B formula Chocolate (proszek) i Comida PKU B formula Strawberry (proszek). Od tego czasu podstawę limitu stanowi Comida PKU B formula Strawberry (cena detaliczna – 298,78 zł), wydawany za dopłatą 3,20 zł. Dopłata do pozostałych dwóch środków Comida wynosi odpowiednio 14,47 zł oraz 4,20 zł, natomiast do preparatu Milupa – 129,85 zł.

Dowody naukowe

W wyniku przeprowadzonego przeglądu nie odnaleziono badań spełniających kryteria włączenia, tak dla wnioskowanej technologii, jak i technologii alternatywnej.

W ramach opracowania, przygotowanego przez Agencję, przedstawiono natomiast cztery dokumenty z wytycznymi: polskie Instytutu Matki i Dziecka 2015, amerykańskie ACMG 2016 oraz europejskie E.S.PKU 2017 i uzupełnienie 2020. Wszystkie wskazują, że podstawowym sposobem postępowania w grupie pacjentów z PKU jest dostosowanie poziomu spożycia fenyloalaniny w ciągu dnia oraz zastępowanie białka w żywności konwencjonalnej, które zostało usunięte z diety, z uwagi na listę produktów niezalecanych i zabronionych w fenyloketonurii, bezpiecznym lub wolnym od fenyloalaniny białkiem, zwanym białkiem syntetycznym, mieszanką/suplementem aminokwasów lub substytutem białka. Substytuty białka są wolne od fenyloalaniny lub zawierają jej ograniczoną ilość, zapewniając przy tym minimalne rekomendowane spożycie. W polskich wytycznych zamieszczono tabelę ze wskazanymi do stosowania preparatami w leczeniu chorych z fenyloketonurią w zależności od grupy wiekowej oraz rodzaju preparatu, wśród których, w grupie od 2 do 8 roku życia, widnieje preparat Milupa PKU 2 mix. Nie odnaleziono wytycznych dotyczących preparatu Comida PKU B formula.

Do Agencji wpłynęła opinia ekspercka przygotowana przez specjalistę pediatrii. Ekspertka przytoczyła krótką charakterystykę stanu klinicznego oraz zasady leczenia fenyloketonurii, które jest oparte głównie o interwencję żywieniową, pozwalającą skutecznie zapobiec lub zminimalizować skutki uboczne

oddziaływania wysokich stężeń fenyloalaniny na ośrodkowy układ nerwowy. Ekspertka poruszyła również aspekty dotyczące praktycznego wymiaru doboru preparatów, będących środkami spożywczymi specjalnego przeznaczenia żywieniowego, różnic między nimi oraz dostępności i problemów związanych ze stosowaniem.

Problem ekonomiczny

Wydatki NFZ na refundację produktów w grupie limitowej 216.10 wyniosły 3,50 mln zł w 2019 roku i 1,87 mln zł w okresie od stycznia do czerwca 2020 roku (co odpowiada 3,74 mln zł rocznie). W scenariuszu istniejącym, wydatki NFZ na refundację produktów znajdujących się obecnie w grupie 216.10 wynoszą 2,36 mln zł rocznie. Oszacowanie to zakłada dostęp pacjentów do preparatów Comida.

Główne argumenty decyzji

Analiza wartości spożywczej preparatów Milupa PKU 2 mix i Comida PKU B formuła wskazuje na pewne różnice w zakresie wartości energetycznej oraz zawartości tłuszczu, białka, kwasu linolowego i cukrów prostych, a także witamin C i D, kwasu foliowego i pantotenowego oraz fluoru, molibdenu i L-karnityny. Mimo zauważalnych rozbieżności można uznać, że preparaty pod względem realizacji potrzeb odżywczych u dzieci są podobne, udział i znaczenie w dziennej racji pokarmowej tych produktów jest zbliżone i wymagają zbilansowania diety z wykorzystaniem żywności konwencjonalnej.

Wydatki NFZ na refundację produktów w grupie limitowej 216.10 wyniosły 3,50 mln zł w 2019 roku i 1,87 mln zł w okresie od stycznia do czerwca 2020 roku (co odpowiada 3,74 mln zł rocznie). W scenariuszu istniejącym, wydatki NFZ na refundację produktów znajdujących się obecnie w grupie 216.10 wynoszą 2,36 mln zł rocznie. Oszacowanie to zakłada dostęp pacjentów do preparatów Comida.

Potencjalnymi problemami w stosowaniu środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, w tym Milupa PKU 2 mix i Comida PKU B formuła, mogą być ich wartości sensoryczne, jak smak, zapach, barwa i struktura. Ponadto niektóre preparaty ze zmodyfikowanym składem aminokwasowym mogą być nieakceptowalne dla konsumentów, co może nie wynikać wprost ze składu lub wartości odżywczej danego produktu, lecz stanowić indywidualny determinant wyboru.

Dodatkowo wskazać należy, że grupa limitowa 216.10 dotyczy diety przeznaczonej dla dzieci po ukończeniu 1 r.ż., tak jak wskazania środka Milupa PKU 2 mix. O ile zaś preparat Comida PKU B formuła jest przeznaczony do stosowania u dzieci w wieku powyżej 1. roku życia, młodzieży i dorosłych, o tyle oba produkty smakowe, w tym stanowiący podstawę limitu, mogą być stosowane u dzieci powyżej 3 lat młodzieży i dorosłych.

W nawiązaniu do otrzymanego od eksperta sygnału o problemach z dostępnością pozostałych preparatów z omawianej grupy limitowej, Rada Przejrzystości zwraca uwagę na obowiązek zapewnienia ciągłości dostaw produktów objętych refundacją. Przepisy ustawy o refundacji przewidują uchylene decyzji administracyjnej o objęciu refundacją, gdy nie zostanie dotrzymane zobowiązanie w zakresie zapewnienia ciągłości dostaw lub rocznej wielkości dostaw oraz dojdzie do niezaspokojenia potrzeb świadczeniobiorców.

Tryb wydania opinii

Opinię wydano na podstawie art. 15 ust. 3 ustawy o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 357, z późn. zm.), w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 5 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2020 r., poz. 1398), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4320.31.2020 „Opracowanie dotyczące oceny zasadności utworzenia odrębnej grupy limitowej dla produktu Milupa PKU 2”, data ukończenia: 14 października 2020 r.