



## Rekomendacja nr 5/2022

z dnia 14 stycznia 2022 r.

### **Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego DocOmega we wskazaniach: deficyt translokazy karnitynoacylokarnitynowej (CACT) oraz deficyt dehydrogenazy bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (VLCAD)**

**Prezes Agencji rekomenduje** wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego DocOmega we wskazaniach: deficyt translokazy karnitynoacylokarnitynowej (CACT) oraz deficyt dehydrogenazy bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (VLCAD).

#### **Uzasadnienie rekomendacji**

Zgodnie z odnalezionymi wytycznymi klinicznymi zaleca się, aby w deficycie VLCAD i CACT u niemowląt stosować specjalne mieszanki niskotłuszczowe wzbogacone MCT. Natomiast u starszych dzieci rekomenduje się dietę z ograniczeniem długołańcuchowych kwasów tłuszczowych, zmodyfikowaną o MCT (mieszanki lub olej). W przypadku deficytu CACT, konieczne jest przestrzeganie zakazu dłuższego przebywania na czczo (głodówki) oraz wprowadzenie diety o niskiej zawartości długołańcuchowych kwasów tłuszczowych, uzupełnionej średniołańcuchowymi kwasami tłuszczowymi (ang. medium-chain triglycerides, MCT). W wytycznych, wskazano, iż aby uniknąć deficytów niezbędnych kwasów tłuszczowych u dzieci ograniczających spożycie LCT i suplementujących MCT wskazane jest przyjmowanie środków spożywczych zawierających kwas arachidonowy (ARA) i kwas dokozaheksaenowy (DHA).

W wyniku wyszukiwania dowodów naukowych odnaleziono jedno retrospektywne, wielośrodkowe badanie stanowiące opis złożonego postępowania medycznego i żywieniowego u trzech pacjentów z ciężkimi zaburzeniami utleniania długołańcuchowych kwasów tłuszczowych LC-FAOD. U pacjentów stosowano terapię polegającą na podawaniu



formuły niezawierającej MCT (w celu suplementacji witamin/minerałów/węglowodanów/aminokwasów) łącznie z innymi terapiami.

Aktualnie ze środków publicznych refundowana jest, L-carnitine m.in.: we wskazaniu zaburzenia spalania długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (LC-FAOD) – LCHADD, VLCADD, deficyt MTP, deficyt CACT, deficyt CPT2 (w programie lekowym). Ponadto w refundacji aptecznej dostępne są środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego zawierające MCT (Bebilon pepti MCT) we wskazaniu „zespoły wrodzonych defektów metabolicznych, alergii pokarmowe i biegunki przewlekłe”. Niezależnie od powyższego w opinii eksperta klinicznego, aktualnie refundowane technologie medyczne (środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego dostępne w aptece na receptę w całym zakresie zarejestrowanych wskazań i przeznaczeń lub we wskazaniu określonym stanem klinicznym) nie stanowią alternatywy dla opiniowanego preparatu, jako że mają inny skład lub profil wskazań do zastosowania.

Zgodnie z otrzymanymi danymi dotyczącymi ceny za opakowanie (120 g) środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego 547,81 zł. koszt refundacji wnioskowanej technologii dla jednego pacjentów wyniósłby w skali pół roku 3 286,86 zł., a w przypadku dwóch pacjentów 6 573,72 zł. Do szacowania wpływu na budżet przyjęto pół roczny okres z uwagi na fakt, że zdaniem eksperta klinicznego, obecnie nie jest możliwe określenie całkowitego czasu leczenia. W jego ocenie jeśli zaprojektowana dieta okaże się skuteczna, leczenie to powinno być kontynuowane. Zgodnie z wnioskiem populacja, u której ma być stosowana oceniana technologia wynosi 2 pacjentów.

Mając na uwadze powyższe oraz stanowisko Rady Przejrzystości, a także dodatkowe informacje przekazane przez eksperta klinicznego (stan kliniczny i planowane leczenie), za zasadne uznaje się wydanie zgody na refundację ze środków publicznych śssp DocOmega we wskazaniach: deficyt translokazy karnitynoacylokarnitynowej (CACT) oraz deficyt dehydrogenazy bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (VLCAD). Jednocześnie celowym wydaje się monitorowanie skuteczności i bezpieczeństwa leczenia.

### **Przedmiot wniosku**

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego DocOmega we wskazaniach: deficyt translokazy karnitynoacylokarnitynowej (CACT) oraz deficyt dehydrogenazy bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (VLCAD), na podstawie art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523, z późn. zm.).

### **Problem zdrowotny**

Deficyt dehydrogenazy acylo-CoA kwasów tłuszczowych o bardzo długim łańcuchu (*ang. very long chain fatty acyl-CoA dehydrogenase deficiency, VLCAD*) należy do grupy zaburzeń żywienia wolnych kwasów tłuszczowych spowodowanych upośledzeniem ich utleniania wewnątrzmitochondrialnego (zaburzenia  $\beta$ -oksydacji kwasów tłuszczowych).

Deficyt VLCAD dziedziczny się w sposób autosomalny recesywny. Jest on spowodowany mutacją w genie ACADVL (17p13.1), która prowadzi do zaburzenia funkcji mitochondrialnej beta-oksydacji długołańcuchowych kwasów tłuszczowych

Częstość występowania deficytu VLCAD szacuje się na około 1/40 000 do 1/110 000 żywych urodzeń. Wg Orpha.net na świecie zostało zareportowanych 400 przypadków deficytu VLCAD (nie podano okresu, w jakim zbierano te dane). Częstość występowania deficytu w Niemczech wynosi 1/50 000.

Objawy kliniczne deficytu VLCAD to m.in.: hipoglikemia hipoketotyczna, dysfunkcja wątroby, kardiomiopatia, dysfunkcja wątroby bez kardiomiopatii. Objawy zaburzenia  $\beta$ -oksydacji kwasów tłuszczowych ujawniają się w okresach zwiększonego katabolizmu (infekcja, gorączka, stres) oraz niedostatecznego dopływu energii (wymioty, wysięk fizyczny, nagła operacja).

VLCAD może być śmiertelny, rokowanie jest dużo korzystniejsze w przypadku łagodniejszych fenotypów pod warunkiem, że przestrzegane są zalecenia.

Deficyt translokazy karnityny, nazywany także niedoborem translokazy karnitynoacylokarnitynowej (ang. carnitine-acylcarnitine translocase, CACT, deficiency) jest to zagrażające życiu dziedziczne zaburzenie beta-oksydacji kwasów tłuszczowych. Niedobór CACT jest spowodowany wystąpieniem mutacji w genie SLC25A20 (3p21.31). CACT jest zlokalizowany na wewnętrznej błonie mitochondrialnej i odpowiada za wymianę karnityna/acylokarnityna przez tę błonę. Enzym ten jest kluczowym elementem cyklu karnitynowego, regulującego transport długołańcuchowych kwasów tłuszczowych do wnętrza mitochondriów, gdzie następnie zachodzi beta-oksydacja tych kwasów. Deficyt CACT jest chorobą rzadką.

CACT objawia się w okresie noworodkowym ciężką hipoglikemią hipoketotyczną, hiperamonemią, kardiomiopatią i zaburzeniem rytmu serca, zaburzeniem funkcji wątroby, osłabieniem mięśni szkieletowych i encefalopatią.

Częstość występowania niedoboru CACT nie jest znana, do roku 2014 opisano mniej niż 60 przypadków wystąpienia tej choroby na świecie.

Rokowanie w przypadku ciężkiego niedoboru CACT jest niepomyślne, większość chorych umiera przed osiągnięciem wieku 3 miesięcy. Natomiast pacjenci z łagodnym fenotypem mają zazwyczaj dobre rokowanie pod warunkiem przestrzegania zasad postępowania

### **Alternatywna technologia medyczna**

Zgodnie z wytycznymi klinicznymi w leczeniu deficytów LCHAD i VLCAD zalecana jest dieta z ograniczeniem tłuszczów, przede wszystkim długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (LCT, ang. *long chain triglycerides*), z jednoczesną suplementacją średniołańcuchowych kwasów tłuszczowych (MCT, ang. *medium chain triglycerides*).

Zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 20 grudnia 2021 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 stycznia 2022 r. aktualnie ze środków publicznych w programie lekowym B. 109. Leczenie uzupełniające l-karnityną w wybranych chorobach metabolicznych finansowany jest jeden preparat (substancja czynna: L-carnitine), oraz w aptece na receptę we wskazaniu „Zespoły wrodzonych defektów metabolicznych, alergie pokarmowe i biegunki przewlekłe” dostępne są środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego (śsspz): Bebilon Pepti 1 i 2 Syneo, Bebilon pepti MCT, Humana SL i Infatrini Peptisorb.

W opinii eksperta klinicznego, aktualnie refundowane technologie medyczne (środki spożywcze specjalnego przeznaczenia żywieniowego dostępne w aptece na receptę w całym zakresie zarejestrowanych wskazań i przeznaczeń lub we wskazaniu określonym stanem klinicznym) nie stanowią alternatywy dla ocenianego preparatu, jako że mają inny skład lub profil wskazań do zastosowania.

W analizowanym wskazaniu w imporcie docelowym sprowadzano MCT Oil, MCT Peptide, Milupa Basic-F, Lipistart, Liquigen, MCT Procal, Monogen.

### **Opis wnioskowanego świadczenia**

DocOmega jest środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego. Zgodnie z ulotką producenta oceniany śsspz zawiera sproszkowaną mieszankę DHA (kwas dokozaheksaenowy) na bazie

węglowodanów. Produkt ten jest przeznaczony do postępowania dietetycznego w przypadku wrodzonych wad metabolizmu.

W ulotce DocOmega wskazano, że produkt może być podawany jedynie pacjentom z udowodnioną wrodzoną wadą metabolizmu pod ścisłym nadzorem medycznym. Ponadto produkt nie może stanowić jedyne źródła pożywienia. W ulotce wskazano również, że:

- produkt jest odpowiedni do stosowania od urodzenia,
- po sporządzeniu roztworu lub dodaniu produktu do mieszanki dla niemowląt, zużyć natychmiast i wrzucić resztki w ciągu 1 godziny,
- produkt nadaje się wyłącznie do stosowania dojelitowego,
- zawiera białka mleka.

### **Ocena skuteczności (klinicznej oraz praktycznej) i bezpieczeństwa**

*Ocena ta polega na zebraniu danych o konsekwencjach zdrowotnych (skuteczność i bezpieczeństwo) wynikających z zastosowania nowej terapii w danym problemie zdrowotnym oraz innych terapii, które w danym momencie są finansowane ze środków publicznych i stanowią alternatywne leczenie dostępne w danym problemie zdrowotnym. Następnie ocena ta wymaga określenia wiarygodności zebranych danych oraz porównania wyników dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa nowej terapii względem terapii już dostępnych w leczeniu danego problemu zdrowotnego.*

*Na podstawie powyższego ocena skuteczności i bezpieczeństwa pozwala na uzyskanie odpowiedzi na pytanie o wielkość efektu zdrowotnego (zarówno w zakresie skuteczności, jak i bezpieczeństwa), którego należy oczekiwać względem nowej terapii w porównaniu do innych rozważanych opcji terapeutycznych.*

W ramach analizy klinicznej zostało przeprowadzone wyszukiwanie dowodów naukowych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa stosowania środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego DocOmega we wskazaniu: deficyt translokazy karnitynoacylokarnitynowej (CACT) oraz deficyt dehydrogenazy bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (VLCAD).

Do analizy włączono badanie retrospektywne Norris 2021, stanowiące opis złożonego postępowania medycznego i żywieniowego u trzech pacjentów z ciężkimi zaburzeniami utleniania długołańcuchowych kwasów tłuszczowych LC-FAOD. U pacjentów stosowano, m.in. terapię polegającą na podawaniu formuły niezawierającej MCT (w celu suplementacji witamin/minerałów/węglowodanów/aminokwasów) łącznie z innymi terapiami. Populacja obejmowała trzech pacjentów (N=3), w tym dwóch z VLCADD (n=2) i jednego z CACTD (n=1), leczonych przez 5 lat lub krócej (ocena odległa wyników jest nadal w toku). Pacjenci byli ściśle obserwowani i regularnie monitorowani kardiologicznie i laboratoryjnie. W badaniu Norris 2021 nie stosowano preparatu DocOmega, jednak używano mieszek, które zawierały DHA i ARA.

#### *Skuteczność kliniczna*

W trakcie terapii obserwowano niższe wskaźniki hospitalizacji z powodu osłabienia dekompensacji metabolicznej (np. hipoglikemii, kwasicy mleczanowej, hiperamonemii). Odsetek hospitalizacji z powodu rabdomiolizy był niższy u wszystkich trzech pacjentów. Wartości diagnostyczne acylkarnityny nie uległy znaczącej poprawie u żadnego z pacjentów po rozpoczęciu terapii; pacjenci 1 i 2 nadal mieli podwyższone stężenie C14:1, a pacjent 3 nadal miał podwyższone stężenie C16 i C18:1. U pacjenta 3 występował chronicznie podwyższony poziom C10-acylokarnityny podczas suplementacji MCT, który unormował się po odstawieniu oleju MCT i rozpoczęciu stosowania terapii. Zdaniem autorów dane te sugerują, że MCT jest niekompletnie metabolizowane u pacjentów z CACTD w porównaniu z pacjentami z LC-FAODs i dlatego może nie być idealnym podstawowym źródłem energii. W ich ocenie toksyczność C10-acylokarnityny i związanych z nimi kwasów dikarboksylowych wymaga dalszych badań. W badaniu wskazuje się, że w przypadku pacjenta 1 całe zapotrzebowanie na składniki odżywcze

zostało zaspokajane poprzez częste zmiany receptury i dodawanie witamin/minerałów do czasu przejścia na pokarmy stałe. Pacjenci 2 i 3 wymagali częstych zmian receptury i suplementacji witaminami/minerałami, ponieważ niskotłuszczowa formuła bez MCT nie spełnia wszystkich ich wymagań odżywczych. W przypadku pacjenta 3 występowały pęknięcia silikonowej rurki gastrostomijnej G co rozwiązano przez zmieszanie dawek leku w stosunku 1:2 z formułą. Silikonowa rurka gastrostomijna pacjentki 2 pozostała nienaruszona, ale otrzymywał on lek również w zmieszany w stosunku 1:2.

#### Ograniczenia

W publikacji stwierdzono, że ograniczeniem badania jest wielkość populacji tj. trzech pacjentów oraz okres obserwacji, gdyż pacjentów leczono przez 5 lat lub krócej (ocena odległa wyników jest nadal w toku).

#### Propozycje instrumentów dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

#### Ocena ekonomiczna, w tym szacunek kosztów do uzyskiwanych efektów zdrowotnych

*Ocena ekonomiczna polega na oszacowaniu i zestawieniu kosztów i efektów zdrowotnych, jakie mogą wiązać się z zastosowaniem u pojedynczego pacjenta nowej terapii zamiast terapii już refundowanych.*

*Koszty terapii szacowane są w walucie naszego kraju, a efekty zdrowotne wyrażone są najczęściej w zyskanych latach życia (LYG, life years gained) lub w latach życia przeżytych w pełnym zdrowiu (QALY, quality adjusted life years) wskutek zastosowania terapii.*

*Zestawienie wartości dotyczących kosztów i efektów związanych z zastosowaniem nowej terapii i porównanie ich do kosztów i efektów terapii już refundowanych pozwala na uzyskanie odpowiedzi na pytanie, czy efekt zdrowotny uzyskany u pojedynczego pacjenta dzięki nowej terapii wiąże się z wyższym kosztem w porównaniu do terapii już refundowanych.*

*Uzyskane wyniki wskaźnika kosztów-efektów zdrowotnych porównuje się z tzw. progiem opłacalności, czyli wynikiem, który sygnalizuje, że przy zasobności naszego kraju (wyrażonej w PKB) maksymalny koszt nowej terapii, która ma wiązać się z uzyskaniem jednostkowego efektu zdrowotnego (1 LYG lub 1 QALY) w porównaniu do terapii już dostępnych, nie powinien przekraczać trzykrotności PKB per capita.*

*Aktualnie próg opłacalności wynosi 166 758 zł (3 x 55 586 zł)*

*Wskaźnik kosztów-efektów zdrowotnych nie szacuje i nie wyznacza wartości życia, pozwala jedynie ocenić i m. in. na tej podstawie dokonać wyboru terapii związanej z potencjalnie najlepszym wykorzystaniem aktualnie dostępnych zasobów.*

Zgodnie z danymi MZ dotychczas nie wpływały wnioski z prośbą o sprowadzenie środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego DocOmega, tym samym produkty nie były sprowadzane w ramach importu docelowego w analizowanym wskazaniu. Z danych otrzymanych w zleceniu MZ wynika, że cena ww. śsspz wynosi 547,81 zł i jest to szacunkowa cena brutto sprzedaży do apteki zawierająca marżę hurtową.

Ponadto, w zleceniu zawarto informację o innych śsspz sprowadzanych w ramach importu docelowego w analizowanym wskazaniu: MCT Oil, MCT Peptide, Milupa Basic-F, Lipistart, Liquigen, MCT Procal, Monogen.

**Wskazanie czy zachodzą okoliczności, o których mowa w art. 13 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523, z późn. zm.)**

*Jeżeli analiza kliniczna wnioskodawcy nie zawiera randomizowanych badań klinicznych dowodzących wyższości leku nad technologiami medycznymi dotychczas refundowanymi w danym wskazaniu, to urzędowa cena zbytu leku musi być skalkulowana w taki sposób, aby koszt stosowania leku wnioskowanego do objęcia refundacją nie był wyższy niż koszt technologii medycznej o najkorzystniejszym współczynniku uzyskiwanych efektów zdrowotnych do kosztów ich uzyskania.*

Nie dotyczy.

### **Ocena wpływu na system ochrony zdrowia, w tym wpływu na budżet płatnika publicznego**

*Ocena wpływu na system ochrony zdrowia składa się z dwóch istotnych części.*

*Po pierwsze, w analizie wpływu na budżet płatnika, pozwala na oszacowanie potencjalnych wydatków związanych z finansowaniem nowej terapii ze środków publicznych.*

*Szacunki dotyczące wydatków związanych z nową terapią (scenariusz „jutro”) są porównywane z tym, ile aktualnie wydajemy na leczenie danego problemu zdrowotnego (scenariusz „dziś”). Na tej podstawie możliwa jest ocena, czy nowa terapia będzie wiązać się z koniecznością przeznaczenia wyższych środków na leczenie danego problemu zdrowotnego, czy też wiąże się z uzyskaniem oszczędności w budżecie płatnika.*

*Ocena wpływu na budżet pozwala na stwierdzenie czy płatnik posiada odpowiednie zasoby na finansowanie danej technologii.*

*Ocena wpływu na system ochrony zdrowia w drugiej części odpowiada na pytanie jak decyzja o finansowaniu nowej terapii może wpłynąć na organizację udzielania świadczeń (szczególnie w kontekście dostosowania do wymogów realizacji nowej terapii) oraz na dostępność innych świadczeń opieki zdrowotnej.*

W celu oszacowania wpływu refundacji produktu DocOmega na wydatki podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych, przyjęto że:

- Cena za opakowanie produktu śsspż DocOmega 120 g zawiera 30 saszetek, każda saszетка zawiera 250 mg - 547,81 zł (dane ze zlecenia MZ);
- Całkowitą dzienną dawkę śsspż na dobę: z saszетка; (informacja przekazana przez Konsultanta Krajowego w dziedzinie pediatrii metabolicznej będącego jednocześnie lekarzem prowadzącym pacjenta dla którego wnioskowany jest import docelowy);
- Czas podawania śsspż przewidziano na 6-miesiący. Zdaniem eksperta klinicznego, obecnie nie jest możliwe określenie całkowitego czasu leczenia pacjenta. W jego ocenie jeśli zaprojektowana dieta okaże się skuteczna, leczenie to powinno być kontynuowane.

Zgodnie z powyższymi założeniami oszacowany średni koszt refundacji DocOmega dla jednego pacjenta na jeden dzień wyniósłby 18,26 zł., natomiast w skali pół roku przy oszacowanym zużyciu 6 opakowań, koszt ten to 3 286,86 zł. Z uwagi na fakt, że zlecenie dotyczy dwóch pacjentów półroczny koszt terapii wyniesie 6 573,72 zł.

### **Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka**

Nie dotyczy.

### **Uwagi do zapisów programu lekowego**

Nie dotyczy.

### **Omówienie rozwiązań proponowanych w analizie racjonalizacyjnej**

*Przedmiotem analizy racjonalizacyjnej jest identyfikacja mechanizmu, którego wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wysokości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z podjęcia pozytywnej decyzji o refundacji wnioskowanej technologii medycznej.*

*Analiza racjonalizacyjna jest przedkładana jeżeli analiza wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wykazuje wzrost kosztów refundacji.*

Nie dotyczy.

## **Omówienie rekomendacji wydawanych w odniesieniu do ocenianej technologii**

### *Rekomendacje kliniczne*

Odnaleziono 3 publikacje odnoszące się do zaburzeń metabolizmu kwasów tłuszczowych (polskie Zalecenia dietetyczne z 2020 r., brytyjskie BIMDG 2020, światowe SERN I GMDI 2019).

Wytyczne zalecają, aby w deficycie VLCAD u niemowląt stosować specjalne mieszanki niskotłuszczowe wzbogacone MCT. Natomiast u starszych dzieci rekomenduje się dietę z ograniczeniem długołańcuchowych tłuszczów, zmodyfikowaną o MCT (mieszanki lub olej). W przypadku deficytu CACT, konieczne jest przestrzeganie zakazu dłuższego przebywania na czczo (głodówki) oraz wprowadzenie diety o niskiej zawartości długołańcuchowych kwasów tłuszczowych, uzupełnionej średniołańcuchowymi kwasami tłuszczowymi (ang. medium-chain triglycerides, MCT). W wytycznych, wskazano, iż aby uniknąć deficytów niezbędnych kwasów tłuszczowych u dzieci ograniczających spożycie LCT i suplementujących MCT wskazane jest przyjmowanie środków spożywczych zawierających kwas arachidonowy (ARA) i kwas dokozaheksaenowy (DHA). W przypadku gdy suplementacja DHA jest niezbędna, zalecane dawki dla dzieci wynoszą 60 mg/dzień lub 100 mg/dzień w zależności od wieku.

### *Rekomendacje refundacyjne*

Nie odnaleziono rekomendacji dotyczących finansowania ze środków publicznych śsspż DocOmega we wskazaniach: deficyt translokazy karnitynoacylokarnitynowej (CACT) oraz deficyt dehydrogenazy bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (VLCAD).

## **Podstawa przygotowania rekomendacji**

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia Ministra Zdrowia (znak pisma: PLD.45341.1112.2021.1.AB), odnośnie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego DocOmega we wskazaniach: zaburzenia przemian kwasów tłuszczowych., na podstawie art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2021 r., poz. 523, z późn. zm.), po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości nr 5/2022 z dnia 3 stycznia 2022 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego DocOmega.

## **Piśmiennictwo**

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 5/2022 z dnia 3 stycznia 2022 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego DocOmega

2. Raport na potrzeby oceny zasadności wydawania zgody na import docelowy nr: WS.4211.1.2021 WS.4211.2.2021 WS.4211.3.2021 „DocOmega, Complete Amino Acid Mix oraz Paediatric Seravit we wskazaniu: deficyt dehydrogenazy bardzo długołańcuchowych kwasów tłuszczowych (VLCAD) oraz deficyt translokazy karnitynoacylokarnitynowej (CACT)”. Data ukończenia: 31 grudnia 2021 r.