



Rekomendacja nr 151/2023

z dnia 29 grudnia 2023 r.

Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie oceny środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego TYR Anamix Junior, TYR Anamix Junior LQ, TYR Anamix Infant, TYR Lophlex LQ, TYR Sphere, TYR Gel, TYR Cooler we wskazaniu: tyrozynemia

Prezes Agencji rekomenduje wydawanie zgód na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego u pacjentów pediatrycznych: TYR Anamix Junior, proszek; TYR Anamix Junior LQ, płyn; TYR Anamix Infant, proszek; TYR Lophlex LQ, płyn; TYR Sphere, proszek; TYR Gel, proszek oraz u pacjentów pediatrycznych i młodzieży TYR Cooler, płyn we wskazaniu tyrozynemia.

Uzasadnienie rekomendacji

Przeprowadzono aktualizację w zakresie istnienia nowych dowodów naukowych oraz wytycznych klinicznych w odniesieniu do rekomendacji nr 50/2020 z dnia 7 września 2020 r. Prezesa Agencji Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji w sprawie zasadności wydawania zgody na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego: TYR Anamix Junior, TYR Anamix Junior LQ, TYR Anamix Infant we wskazaniach tyrozynemia typu I i tyrozynemia typu II.

Ponadto przedmiotowa rekomendacja dotyczy wskazania nieuwzględnionego w poprzedniej rekomendacji, tj. tyrozytemii typu 3 oraz śsspż tj. TYR Lophlex LQ, TYR Sphere, TYR Gel, TYR Cooler.

W wyniku wyszukiwania nie zidentyfikowano nowych doniesień naukowych dotyczących skuteczności i bezpieczeństwa ocenianych śsspż dla wskazania tyrozynemia typu 1.

Opis przypadku Gliaglias 2022 wykazał, że u 15-miesięcznego dziecka z tyrozynemią typu 2 po wprowadzeniu diety niskobiałkowej z ograniczeniem tyrozyny i fenyloalaniny ustąpiły zmiany oczne oraz objawy skórne.

Odnaleziono 13 publikacji (opisy przypadków/serii przypadków) dotyczących ogółem 15 pacjentów z tyrozynemią typu 3, u których włączono dietoterapię. Opisy przypadków wskazują na zróżnicowane wyniki w zależności od wieku i przestrzegania diety. Przy czym u większości pacjentów, u których chorobę zdiagnozowano w wieku noworodkowym obserwowano lepszą kontrolę choroby i prawidłowy rozwój psychomotoryczny.

Aktualizacja dostępnych informacji podtrzymuje przyjęte dotychczas wnioskowanie i rekomendację wskazując na zasadność finansowania wnioskowanych śsspż w ocenianych wskazaniach. Niemniej należy podkreślić, że podstawowym ograniczeniem analizy klinicznej jest brak badań dotyczących tyrozyinemii typu III, w których bezpośrednio wskazano na zastosowanie ocenianych produktów. Ponadto w większości odnalezionych badań podano jedynie informacje o zastosowaniu diety z ograniczoną zawartością tyrozyny i fenyloalaniny i/lub zastosowaniu odpowiedniego preparatu dietetycznego, bez wskazania nazwy handlowej formułacji.

Zgodnie z oszacowaniami wpływu na budżet roczny koszt importu ocenianych środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego może wynieść od ok. 1,51 mln zł (prawdopodobna populacja 17 pacjentów) do ok. 3,66 mln zł (maksymalna populacja 40 pacjentów). Należy jednak wskazać, że oceniane produkty stosowane są jako uzupełnienie diety u dzieci w różnym wieku, co bezpośrednio przekłada się na ich dawkowanie, w związku z czym przedstawione oszacowania należy traktować z ostrożnością.

Przedmiot wniosku

Zlecenie Ministra Zdrowia dotyczy oceny zasadności wydawania zgód na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego:

u pacjentów pediatrycznych:

- TYR Anamix Junior, proszek;
- TYR Anamix Junior LQ, płyn;
- TYR Anamix Infant, proszek;
- TYR Lophlex LQ, płyn;
- TYR Sphere, proszek;
- TYR Gel, proszek;

u pacjentów pediatrycznych i młodzieży:

- TYR Cooler, płyn;

we wskazaniu: tyrozynergemia, 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. 2023 poz. 826, z późn. zm.).

Problem zdrowotny

Tyrozynergemia typu 1

Tyrozynergemia typu 1 (ang. *Tyrosinemia type I, Hereditary Tyrosinemia type I (HT1), Hepatorenal tyrosinemia (HT 1)*, niedobór FAH, tyrozynergemia wątrobowo-nerkowa, defekt fumaryloacetoacetazy) to dziedziczna w sposób autosomalny recesywny wrodzona wada katabolizmu tyrozyny, wynikająca z nieprawidłowej aktywności hydrolazy fumaryloacetoocetanu (FAH). Charakteryzuje się postępującą chorobą wątroby, dysfunkcją kanalików nerkowych, przełomami podobnymi do porfirii i radykalną poprawą po wdrożeniu leczenia nityzynonem. Niskobiałkowa dieta i leczenie nityzynonem prowadzi do ponad 90% przeżycia w dobrej kondycji.

Szacuje się, że tyrozynergemia typu I występuje z częstotliwością 1:100000-1:120000 (w Polsce: <1:460000). W Polsce do roku 2008 rozpoznano 20 przypadków.

Tyrozynergemia typu 2

Tyrozynemia typu 2 (ang. *Tyrosinemia type II; Richner Hanhart syndrome; TAT deficiency; Tyrosine transaminase deficiency; Keratosis palmoplantaris with corneal dystrophy; Oregon type tyrosinemia; Tyrosinosis oculocutaneous type; Tyrosine aminotransferase deficiency; Oculocutaneous tyrosinemia*; tyrozynemia typu II; tyrozynemia spowodowana niedoborem aminotransferazy tyrozyny (TAT); tyrozynemia oczno-skórna; zespół Richnera i Hanharta; rogowiec dłoniowo-podeszwowy - dystrofia rogówki) to dziedziczna w sposób autosomalny recesywny wrodzona wada metabolizmu tyrozyny charakteryzująca się hipertyrozynemią z objawami oczno-skórnymi oraz w niektórych przypadkach niepełnosprawnością intelektualną. Objawy pojawiają się we wczesnym dzieciństwie.

Częstość występowania nie jest znana, w literaturze opisano mniej niż 150 przypadków. Szacuje się, że występuje rzadziej niż 1:250 000 przypadków. Choroba jest bardziej rozpowszechniona w populacji arabskiej i śródziemnomorskiej.

Tyrozynemia typu 3

Tyrozynemia typu 3 to wrodzona wada metabolizmu tyrozyny charakteryzująca się łagodną hipertyrozynemią oraz podwyższonym poziomem 4-hydroksyfenylopirogonianu, 4-hydroksyfenylomleczanu i 4-hydroksyfenylooctanu.

Tyrozynemia typu 3 spowodowana jest mutacjami genu HPD (12q14-qter), który koduje dioksygenazę 4 hydroksyfenylopirogonianu.

Wg danych NFZ liczba pacjentów z rozpoznaniem E70.2 – Zaburzenia przemian tyrozyny (alkaptonuria, hipertyrozynemia, ochronoza, tyrozynemia, tyrozinoza) w I połowie 2023 r. wynosiła 54.

Alternatywna technologia medyczna

Wg wytycznych dieta z ograniczoną zawartością tyrozyny i fenyloalaniny jest konieczna w leczeniu tyrozynemii. Niemniej jako standard leczenia tyrozynemii typu 1 wskazuje się stosowanie nityzynomu.

Zgodnie z obwieszczeniem Ministra Zdrowia z dnia 11 grudnia 2023 r. w sprawie wykazu refundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych na 1 stycznia 2024 r., obecnie w Polsce ze środków publicznych w ramach programu lekowego B.76. Leczenie tyrozynemii typu 1 (HT-1) ICD-10 E70.2 finansowany z środków publicznych w Polsce jest nityzynon.

Biorąc pod uwagę wytyczne kliniczne oraz technologie aktualnie finansowane ze środków publicznych za komparator przyjęto brak stosowania żywności specjalnego przeznaczenia medycznego.

Opis wnioskowanego świadczenia

Oceniane środki spożywcze specjalnego przeznaczenia medycznego przeznaczone są do stosowania postępowaniu dietetycznym w potwierdzonej tyrozynemii:

- przy prawidłowym stężeniu metioniny w osoczu, u niemowląt od urodzenia do 12 mies. oraz jako uzupełnienie diety do 3 r.ż. (TYR Anamix Infant, proszek do sporządzania roztworu, puszka 400 g);
- u dzieci od 6 miesięcy do 10 lat (TYR Gel, proszek do sporządzania żelu lub roztworu, 30 saszetek 24);
- u dzieci od 1 roku życia do 10 lat (TYR Anamix Junior Neutral, proszek do sporządzania roztworu, saszetki 36g)
- u dzieci od 1 roku życia (TYR Anamix Junior LQ Orange butelka 125 ml);
- u dzieci od 4 roku życia i dorosłych, w tym kobiet w ciąży (w połączeniu ze standardową suplementacją kwasu foliowego) (TYR Lophlex LQ10 JuicyBerries, woreczek 62,5 ml; TYR Lophlex LQ20 JuicyBerries, woreczek 125 ml);

- u dzieci od 3 roku życia (TYR Sphere, saszetki 35 g, 30 sztuk; TYR Cooler, woreczki 87 ml, 130 ml, 174 ml, 30 sztuk);

Zgodnie z danymi przekazanymi przez Ministerstwo Zdrowia, w okresie od stycznia do listopada 2023 r. wydano zgody na refundację 120 opakowań TYR Anamix Junior, 90 TYR Anamix Junior LQ, 65 TYR Anamix Infant, 84 TYR Lophlex LQ Juicy Berries, 126 TYR Cooler 20 – Red oraz 6 opakowań TYR Gel.

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 analizie klinicznej została przeprowadzona aktualizacja dostępności dowodów naukowych na potrzeby ponownej oceny skuteczności i bezpieczeństwa środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego. Aktualizacja została rozszerzona o śsspż, tj. TYR Lophlex LQ, TYR Sphere, TYR Gel, TYR Cooler oraz uwzględniała tyrozytęmię typu 3.

Do przeglądu włączono:

tyrozynemia typu 2:

- Gliaglias 2022 – opis przypadku 15-miesięcznego dziecka z potwierdzoną tyrozytęmią typu 2, u którego zastosowano dietę niskobiałkową. Okres obserwacji wynosił 1 miesiąc;

tyrozynemia typu 3:

- Barosso 2022, Najafi 2017, Heylen 2012, D’Eufemia 2008/Giardini 1983, Tahiroglu 2008, Elleway 2001, Tomoedoa 2000, Preece 1996, Standing 1998/Ruetschi 2000, Cerone 1997, Endo 1983 – opisy przypadków / serii przypadków dotyczących ogółem 15 pacjentów z tyrozytęmią typu 3, u których włączono dietoterapię. Wiek pacjentów w momencie rozpoczęcia leczenia wynosił od 1 miesiąca do 3,5 r. ż. Okres obserwacji wynosił od ok. 3,5 miesiąca do 31 lat.

Dodatkowo uwzględniono dwie publikacje Thodi 2016 oraz El Khatib 2019 dotyczące zastosowania produktu Tyr Anamix Infant u 3 pacjentów z hawkinsinurią (wrodzone zaburzenia metabolizmu tyrozyny charakteryzujące się m.in. podwyższonym poziomem tyrozyny i podobnie jak tyrozynemia typu 3 spowodowane jest mutacją genu HPD i niedoborem dioksygenazy kwasu 4-hydroksyfenylpirogronowego).

W opracowaniu Agencji przedstawiono także skróte informacje o badaniach/opisach przypadków/serii przypadków uwzględnionych w poprzednich ocenach dotyczących stosowania diety z ograniczeniem tyrozyny i fenyloalaniny, u pacjentów z rozpoznaną tyrozytęmią typu 1 i 2, a w przypadku HT1 również nityzynonu.

Skuteczność i bezpieczeństwo

Tyrozynemia typu 2

Opis przypadku Gliaglias 2022 wykazał, że u 15-miesięcznego dziecka z tyrozytęmią typu 2 po wprowadzeniu diety niskobiałkowej z ograniczeniem tyrozyny i fenyloalaniny ustąpiły zmiany oczne oraz objawy skórne.

Nie raportowano informacji o występowaniu zdarzeń niepożądanych związanych z zastosowanym leczeniem dietetycznym.

Tyrozynemia typu 3

Włączone opisy przypadków wskazują na zróżnicowane wyniki w zależności od wieku i przestrzegania diety. Przy czym u większości pacjentów, u których chorobę zdiagnozowano w wieku noworodkowym obserwowano lepszą kontrolę choroby i prawidłowy rozwój psychomotoryczny.

We włączonych opisach przypadków/seriach przypadków nie raportowano informacji o występowaniu zdarzeń niepożądanych związanych z zastosowanym leczeniem dietetycznym.

Dodatkowo informacje o skuteczności

Opis przypadku El Khatib 2019 dotyczył 2-miesięcznego dziecka, u którego wprowadzono dietę z zastosowaniem Tyr Anamix Infant. Po 30 dniach leczenia dietetycznego odnotowano spadek poziomu bilirubiny i wzrost masy ciała.

W publikacji Thodi 2016 przedstawiono 2 przypadki 1-miesięcznych pacjentów u których zastosowano dietę niskobiałkową opartą o produkt Tyr Anamix Infant. U pacjentów raportowano prawidłowy rozwój psychomotoryczny w wieku 12 miesięcy przy przestrzeganiu zaleceń dietetycznych.

Ograniczenia

Głównym ograniczeniem analizy klinicznej jest brak badań dotyczących tyrozynemii typu III, w których bezpośrednio wskazano na zastosowanie produktów objętych zleceniem.

Ponadto w większości odnalezionych badań podano jedynie informacje o zastosowaniu diety z ograniczoną zawartością tyrozyny i fenyloalaniny i/lub zastosowaniu odpowiedniego preparatu dietetycznego, bez wskazania nazwy handlowej formułacji.

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 190 380 zł (3 x 63 460 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.

Zgodnie z informacjami przekazanymi przez Ministerstwo Zdrowia, średnia cena netto produktów (na podstawie średniego kursu NBP na 5 grudnia 2023 r., tj. 1€= 4,32 PLN) wynosi:

- TYR Anamix Junior proszek, 30 saszetek á 36 g – 2 191,15 zł;
- TYR Anamix Junior LQ płyn, 36 butelek á 125 m - 2 629,37 zł;
- TYR Anamix Infant proszek, puszka á 400 g – 258,08 zł;
- TYR Lophlex LQ płyn, 30 saszetek á 125 ml - 4 349,12 zł;
- TYR Sphere 20 proszek, 30 saszetek á 35 g - 4 014,49 zł;
- TYR Cooler 10 Red płyn, 30 saszetek á 87 ml – 2 044,14 zł;
- TYR Cooler 20 Red płyn, 30 saszetek á 174 ml – 4 195,07 zł;
- TYR Gel żel, 30 saszetek á 24 g – 1 442,49 zł.

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 2023 r. poz. 826 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.

Zgodnie z danymi MZ od stycznia 2023 r. do listopada 2023 r. wydatki związane z refundacją ocenianych produktów wynosiły ok. 1,45 mln zł, w tym:

- 269 024,18 zł za 120 opakowań TYR Anamix Junior dla 5 pacjentów;
- 242 120,97 zł za 90 opakowań TYR Anamix Junior LQ dla 3 pacjentów;
- 17 163,30 zł za 65 opakowań TYR Anamix Infant dla 2 pacjentów;
- 373 782,42 zł za 84 opakowania TYR Lophlex LQ dla 3 pacjentów;
- 540 813,87 zł za 126 opakowań TYR Cooler 20 Red dla 3 pacjentów;
- 8 855,29 zł za 6 opakowań TYR Gel dla 1 pacjenta.

Wyniki uproszczonej analizy wpływu na budżet wskazują, że roczne wydatki ponoszone przez płatnika publicznego wyniosą:

- ok. 1,51 mln zł w wariancie prawdopodobnym przy zastosowaniu śsspż u 17 pacjentów (na podstawie danych MZ):
 - TYR Anamix Junior: 359 224,39 PLN;
 - TYR Anamix Junior LQ: 216 786,40 PLN;
 - TYR Anamix Infant: 22 689,65 PLN;
 - TYR Lophlex LQ: 394 247,64 PLN;
 - TYR Sphere 20: 29 124,77 PLN;
 - TYR Cooler 10 Red: 7 452,27 PLN;
 - TYR Cooler 20 Red: 475 437,62 PLN;
 - TYR Gel: 5 281,20 PLN.

- ok. 3,66 mln zł w wariancie maksymalnym przy zastosowaniu śsspż u 40 pacjentów (na podstawie danych NFZ):
 - TYR Anamix Junior: 870 847,01 PLN;
 - TYR Anamix Junior LQ: 525 542,79 PLN;
 - TYR Anamix Infant: 55 005,22 PLN;
 - TYR Lophlex LQ: 955 751,84 PLN;
 - TYR Sphere 20: 70 605,51 PLN;
 - TYR Cooler 10 Red: 18 066,12 PLN;
 - TYR Cooler 20 Red: 1 152 576,06 PLN;
 - TYR Gel: 12 802,91 PLN.

Ograniczenia

Oceniane produkty stosowane są jako uzupełnienie diety u dzieci w różnym wieku, co bezpośrednio przekłada się na ich dawkowanie, w związku z czym przedstawione oszacowania należy traktować z ostrożnością. Dodatkowo brak jest możliwości wiarygodnego oszacowania liczebności populacji docelowej.

Uwagi do proponowanego instrumentu dzielenia ryzyka

Nie dotyczy.

Uwagi do 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 innych krajach w odniesieniu do ocenianej technologii

Rekomendacje kliniczne

W ramach aktualizacji względem rekomendacji nr 50/2020 odnaleziono 4 dokumenty wytycznych klinicznych (De Laeta 2013, Chinsky 2017, NORD, NIH/GARD 2017) odnoszących się do analizowanych wskazań.

Odnalezione wytyczne po potwierdzeniu tyrozyneinami typu I rekomendują natychmiastowe wprowadzenie diety z ograniczoną zawartością tyrozyny i fenyloalaniny oraz leczenie nityzynomem. W przypadku słabej odpowiedzi na leczenie należy modyfikować dawki nityzynomu. Natomiast w sytuacji późnej diagnozy lub następującego z czasem pogorszenia stanu wątroby należy wykonać przeszczep wątroby. Wytyczne de Laet 2013 zalecają również stosowanie suplementów aminokwasowych wolnych od fenyloalaniny i tyrozyny w diecie pacjentów z podwyższonym stężeniem tyrozyny w osoczu.

Rekomendacje NIH/GARD 2017 odnoszące się do leczenia tyrozyneinami typu II wskazują jako podstawową terapię ograniczenie fenyloalaniny i tyrozyny w diecie. Zastosowanie diety prowadzi do obniżenia poziomu tyrozyny we krwi, powodując szybkie ustąpienie objawów skórnych i ocznych. Jednak jej wpływ na ośrodkowy układ nerwowy (rozwój umysłowy) pozostaje niejasny. W niektórych przypadkach zmiany skórne można leczyć doustnymi retinoidami.

Rekomendacje refundacyjne

Odnaleziono pozytywne rekomendacje PBAC dotyczących środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, tj. TYR Anamix Junior (2015), TYR Anamix Infant (2020), TYR Lophlex (2020), TYR Sphere 20 (2019), TYR Cooler (2018).

Na stronie PHARMAC odnaleziono informacje o dostępności w szpitalach środków: TYR Anamix Junior LQ, TYR Anamix Junior, TYR Anamix Infant oraz o trwających postępowaniach refundacyjnych dla środków: TYR Cooler, TYR Lophlex, TYR Sphere 20.

Podstawa przygotowania rekomendacji

Rekomendacja została przygotowana na podstawie zlecenia z dnia 10.11.2023 r. Ministra Zdrowia (znak pisma: PLD.45341.1167.2023.2.KSz), odnośnie przygotowania rekomendacji Prezesa w sprawie wydawania zgód na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego TYR Anamix Junior, proszek; TYR Anamix Junior LQ, płyn; TYR Anamix Infant, proszek; TYR Lophlex LQ, płyn; TYR Sphere, proszek; TYR Gel, proszek u pacjentów pediatrycznych oraz TYR Cooler, płyn u pacjentów pediatrycznych i młodzieży we wskazaniu tyrozyneinami, na podstawie art. 39 ust. 3 ustawy z dnia 12 maja 2011 roku o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. U. z 2023 r. poz. 826, z późn. zm.) po uzyskaniu Stanowiska Rady Przejrzystości nr 150/2023 z dnia 18 grudnia 2023 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego: TYR Anamix Junior, TYR Anamix Junior LQ, TYR Anamix Infant, TYR Lophlex LQ, TYR Sphere, TYR Gel, TYR Cooler we wskazaniu: tyrozyneinami.

ZASTĘPCA PREZESA

Daniel Rutkowski

/dokument podpisany elektronicznie/

Piśmiennictwo

1. Stanowisko Rady Przejrzystości nr 150/2023 z dnia 18 grudnia 2023 roku w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego: TYR Anamix Junior, TYR Anamix Junior LQ, TYR Anamix Infant, TYR Lophlex LQ, TYR Sphere, TYR Gel, TYR Cooler we wskazaniu: tyrozynemia;
2. Opracowanie na potrzeby oceny zasadności dalszego wydawania zgody na refundację nr OT.4211.29.2023 „TYR Anamix Junior, TYR Anamix Junior LQ, TYR Anamix Infant, TYR Lophlex LQ, TYR Sphere, TYR Gel, TYR Cooler we wskazaniu: tyrozynemia”. Data ukończenia: 13.12.2023 r.