



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: tyrozynergia

*Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie 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: tyrozynergia.*

**Uzasadnienie**

Problem decyzyjny

*Tyrozynergia typu 1, ICD-10 E70.2, to dziedziczna (dziedziczona w sposób autosomalny recesywny), wrodzona wada katabolizmu tyrozyny, wynikająca z nieprawidłowej aktywności hydrolazy fumaryloacetooctanu (FAH). Charakteryzuje się postępującą chorobą wątroby, dysfunkcją kanalików nerkowych, przetłomami podobnymi do porfirii i radykalną poprawą po wdrożeniu leczenia nityzynnem. Niskobiałkowa dieta i leczenie nityzynnem prowadzi do ponad 90% przeżycia w dobrej kondycji.*

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

*Tyrozynergia typu 2, ICD-10 E70.2, to dziedziczna (dziedziczona w sposób autosomalny recesywny) wrodzona wada metabolizmu tyrozyny charakteryzująca się hipertyrozynerią z objawami oczno-skórnymi oraz w niektórych przypadkach niepełnosprawnością intelektualną. Objawy pojawiają się we wczesnym dzieciństwie. Częstość występowania nie jest znana.*

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

#### Dowody naukowe

Nie odnaleziono nowych wytycznych poza odnalezionymi podczas prac nad raportem dla środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego TYR Anamix Junior, TYR Anamix Junior LQ, TYR Anamix Infant (raport OT.4311.8.2020). Natomiast w australijskich rekomendacjach (PBAC) nie przedstawiono dowodów naukowych, a jedynie pozytywną opinię Grupy Roboczej ds. Produktów Odżywczych (ang. Nutritional Products Working Party, NPWP).

#### Problem ekonomiczny

W okresie od stycznia 2023 roku do listopada 2023 r. wydano zgody dla 17 pacjentów na sprowadzenie łącznie 491 opakowań analizowanych śsspż w ocenianym wskazaniu, w ramach procedury importu docelowego na łączną kwotę ok. 1,5 mln PLN.

Uwzględniając średnią cenę za opakowanie śsspż przekazaną przez MZ, średnie roczne koszty leczenia dla płatnika publicznego 1 pacjenta z tyrozynemią ocenianymi śsspż z uwzględnieniem udziałów w rynku wynoszą 91 529,94 PLN.

Przy uwzględnieniu liczebności populacji i udziałów w rynku ocenianych preparatów na podstawie danych MZ w zakresie liczby pacjentów (17 pacjentów), refundacja analizowanych produktów we wskazaniu tyrozynemia będzie wiązać się z wydatkami płatnika publicznego w wysokości 1,5 mln PLN w horyzoncie rocznym.

Przy uwzględnieniu wariantu maksymalnego liczebności populacji – 40 pacjentów wydatki płatnika publicznego będą wyższe i wyniosą ok. 3,7 mln PLN; jednak jest to mało prawdopodobny scenariusz.

#### Główne argumenty decyzji:

- wytyczne odnalezione podczas prac nad raportem z roku 2020 (raport OT.4311.8.2020) - konsensus wielodyscyplinarnego zespołu specjalistów z Europy i Kanady (De Laeta 2013), Konsensus wielodyscyplinarnego zespołu specjalistów z Europy i Kanady (Chinsky 2017), Narodowej Organizacji ds. Chorób Rzadkich NORD oraz Narodowego Instytutu Zdrowia w USA (NIH/GARD 2017).
- eksperci, poproszeni o opinię, stoją na stanowisku, że zastosowanie oraz refundacja wnioskowanych produktów w analizowanej populacji pacjentów jest zasadna;
- brak jest obecnie refundowanych śsspż we wskazaniu tyrozynemia.

**Tryb wydania stanowiska**

Stanowisko wydano na podstawie art. 31h ust. 2 w zw. z art. 31s ust. 6 pkt 1 ustawy z 27 sierpnia 2004 r. o świadczeniach opieki zdrowotnej finansowanych ze środków publicznych (Dz. U. z 2022 r., poz. 2561 z późn. zm.) oraz w zw. 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 2023 r. poz. 826 z późn. zm.), z uwzględnieniem opracowania nr: OT.4211.29.2023 r.; „TYR Anamix Junior, TYR Anamix Junior LQ, TYR Anamix Infant, TYR Lophlex LQ, TYR Sphere, TYR Gel, TYR Cooler, we wskazaniu: tyrozynergemia; data ukończenia opracowania: 13 grudnia 2023 r.