



Stanowisko Rady Przejrzystości
nr 42/2024 z dnia 29 kwietnia 2024 roku
w sprawie zasadności wydawania zgód na refundację środka
spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego MCT Oil
we wskazaniach: padaczka lekooporna, deficyt transportera glukozy
GLUT-1

Rada Przejrzystości uznaje za zasadne wydawanie zgód na refundację środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego MCT Oil, płyn doustny, butelka à 500 ml, we wskazaniach: padaczka lekooporna, deficyt transportera glukozy GLUT-1.

Uzasadnienie

Problem decyzyjny

Zespół niedoboru transportera glukozy typu 1 (Glut1DS; ang. glucose transporter type 1 deficiency syndrome) jest rzadkim, genetycznie uwarunkowanym zaburzeniem metabolicznym, charakteryzującym się niedoborem proteiny, dzięki której glukoza przekracza barierę krew-mózg. Lekooporne napady padaczkowe są często pierwszym objawem deficytu transportera glukozy GLUT-1 i zwykle są głównym problemem klinicznym u niemowląt i małych dzieci z Glut1DS (Klepper 2020). Glut1DS występuje bardzo rzadko, na świecie zgłoszono kilkaset przypadków tej choroby.

Produkt MCT Oil jest środkiem spożywczym specjalnego przeznaczenia żywieniowego, który zawiera średniołańcuchowe kwasy tłuszczowe (MCT), tj. olej kokosowy i/lub olej z ziaren palmowych (95 g na 100 ml). Zgodnie ze wskazaniami stosowany jest jako źródło energii w postępowaniu dietetycznym w ramach diety ketogennej w padaczce odpornej na leczenie u niemowląt, dzieci i dorosłych.

Preparat MCT Oil w omawianych wskazaniach był już przedmiotem oceny AOTMiT i uzyskał pozytywną opinię Rady Przejrzystości w sprawie zasadności refundacji w ramach importu docelowego (Stanowisko RP nr 71/2020 z dnia 5 października 2020 roku).

Zgodnie z informacjami zawartymi w zleceniu Ministra Zdrowia, w 2023 roku pozytywnie rozpatrzono 53 wnioski na refundację 504 opakowań produktu MCT Oil (dla 22 pacjentów z padaczką lekooporną i 14 z deficytem GLUT-1).

Dowody naukowe

W wyniku aktualizacji przeglądu systematycznego dowodów naukowych odnaleziono dwa niskiej jakości badania pierwotne: 1) badanie obserwacyjne z grupą kontrolną (Lowe 2021), porównujące dietę ketogenną z udziałem MCT z klasyczną dietą ketogenną stosowaną w padaczce lekoopornej (17 vs. 28 pacjentów) oraz 2) badanie jednoramienne (Schoeler 2021), oceniające skuteczność i bezpieczeństwo MCT w leczeniu padaczki lekoopornej lub napadowych zdarzeń nie padaczkowych, m.in. wynikających z niedoboru GLUT-1 (41 pacjentów). Wcześniejsza analiza Agencji (OT.4311.10.2021) wykazała istotne statystycznie zmniejszenie liczby napadów padaczkowych w grupie stosującej MCT w diecie ketogennej w porównaniu do grupy z klasyczną dietą ketogenną. Wyniki dwóch nowych ww. badań potwierdzają wcześniejsze wnioski, że dieta MCT ma zastosowanie we wskazaniach: padaczka lekooporna, deficyt transportera glukozy GLUT-1.

Odnaleziono pięć aktualnych rekomendacji klinicznych, dotyczących leczenia padaczki lekoopornej oraz zespołów padaczkowych. Wytyczne wskazują, że u pacjentów, u których napady padaczkowe nie ustępują po zastosowaniu leków przeciwpadaczkowych należy rozważyć jako opcję leczenia dietę ketogenną (NICE 2022, Boon 2020). Dieta ketogenna stanowi leczenie pierwszego rzutu w deficycie transportera glukozy GLUT-1 (Boon 2020). Zaleca się wprowadzenie jej jak najszybciej po ustaleniu diagnozy (SIGN 2021; rekomendacja silna). Preparaty MCT mogą być stosowane we wszystkich typach diet ketogennych – powinny być wprowadzane stopniowo przez około 5-7 dni (UHL 2022). Diety ketogenne są rekomendowane w leczeniu padaczki; zalecane są m.in. produkty: KetoCal 2,5:1, MCT Oil, Liquigen, MCT procal, Betaquik (BIMDG 2020).

Problem ekonomiczny

Prognozowane całkowite roczne wydatki płatnika publicznego są trudne do oszacowania, z uwagi na różny wiek pacjentów i związane z tym różnice w dawkowaniu preparatu MCT. Ponadto, problem stanowi określenie wielkości populacji docelowej. Na podstawie danych MZ można przyjąć, że będzie to kilkadziesiąt osób w ciągu roku (w 2023 r. MCT Oil sprowadzono w analizowanych wskazaniach dla 36 pacjentów). Uwzględniając niewielkie koszty ponoszone na MCT Oil, przewidywany wpływ na wydatki płatnika publicznego będzie niewielki. Przy założeniu, że kwalifikacja do leczenia dietetycznego MCT Oil nie zmieni się, koszty ponoszone przez płatnika na rzecz MCT Oil prawdopodobnie utrzymają się na dotychczasowym poziomie, czyli ok. 135 tyś. zł netto rocznie.

Główne argumenty decyzji

- Skuteczność diety ketogennej z MCT we wnioskowanych wskazaniach;

- *Pozytywne, jednoznaczne rekomendacje towarzystw naukowych;*
- *Znikomy wpływ na wydatki płatnika publicznego.*

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 2024 r., poz. 146) 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 na potrzeby oceny zasadności dalszego wydawania zgody na refundację nr: WS.4211.8.2024 (Aneks do opracowania nr: OT.4311.10.2020) „MCT Oil we wskazaniach: padaczka lekooporna, deficyt transportera glukozy GLUT-1”, data ukończenia: 24 kwietnia 2024 r.