

SOUHRN K 2. HODNOTÍCÍ ZPRÁVĚ

sp. zn. SUKLS88117/2020, datum: 21. 4. 2023

Hodnocený přípravek a pro jaké použití byl hodnocen

Potravina pro zvláštní lékařské účely (PZLÚ) PKU GMPRO (obsahující definovanou směs aminokyselin a glykomakropeptid (GMP)) je určena k dietní léčbě pacientů s fenylketonurií (PKU). S ohledem na zastoupení peptidu GMP posuzované PZLÚ obsahují určité definované množství fenylalaninu. Standardní PZLÚ určené k dietní terapii PKU fenylalanin (PE) neobsahují, pouze jednotlivé aminokyseliny, které však zhoršují chuť těchto PZLÚ, biologickou využitelnost a zhoršují spolupráci pacientů s dietní léčbou. GMP tím, že část aminokyselin nahrazuje polypeptidem zlepšuje chuťové vlastnosti předmětných PZLÚ a biologickou využitelnost PZLÚ.

GMP představuje nový alternativní přístup k tradiční dietní léčbě pacientů s fenylketonurií a hyperfenylalaninemií, kdy může zlepšit dodržování léčby pacientem.

Vyjádření SÚKL k hodnocené PZLÚ v dané indikaci

PZLÚ PKU GMPRO má obdobný terapeutický přínos (účinnost a bezpečnost) jako již hrazené PZLÚ s obsahem definované směsi aminokyselin bez fenylalaninu, náležející do referenční skupiny č. 107/1 a č. 107/4 (např. PZLÚ MILUPA PKU 2 PRIMA, PKU EASY 3, ANAMIX, LOPHLEX, PKU EXPRESS 15) v léčbě prokázané fenylketonurie a hyperfenylalaninémie u pacientů ve věku 11 let a starších v případě, že ve vypočteném denním množství PE nahradí zatím podávané PZLÚ z referenčních skupin 107/1 nebo 107/4 z 50 % PE. Vždy musí být lékařem důkladně zhodnocena individuální tolerance k fenylalaninu.

Žadatelem nebyly předloženy podklady pro farmakoekonomické zhodnocení posuzované PZLÚ a nebylo tak možné prokázat, zda léčebná intervence je v porovnání s dostupnou dietní terapií (PZLÚ z referenční skupiny č. 107/1 nebo 107/4) nákladově efektivní s akceptovatelným dopadem na rozpočet veřejného zdravotního pojištění.

Ústav proto vydává negativní zhodnocení a navrhuje úhradu nepřiznat, protože u hodnocené intervence nebylo prokázáno splnění podmínky účelné terapeutické intervence dle § 15 odst. 6 písm. d) zákona o veřejném zdravotním pojištění.

Na základě jakých podkladů SÚKL uvedené stanovisko vydává

SÚKL posoudil klinické i ekonomické aspekty zařazení PZLÚ PKU GMPRO do systému úhrad. Dále vzal SÚKL v potaz vyjádření České pediatrické společnosti.

Co to znamená pro pacienty a lékaře?

PZLÚ PKU GMPRO nebude v další fázi správního řízení přiznána úhrada, pokud žádný z účastníků řízení (dovozce PZLÚ nebo zdravotní pojišťovny) nepředloží zásadní nový důkaz, který by stanovisko SÚKL změnil.

Správní řízení

Spisová značka: SUKLS88117/2020

PZLÚ a žadatel:

Žadatel: Danone a. s.

Léčivá látka a cesta podání: definovaná směs aminokyselin s obsahem glykomakropeptidu a nízkým obsahem fenylalaninu

ATC: V06XX

PZLÚ:

Kód SÚKL	Název PZLÚ	Doplňk názvu
0217453	PKU GMPRO S VANILKOVOU PŘÍCHUTÍ	POR PLV SOL 16X33,3G

Dovozce: Danone a. s.

Posuzovaná indikace

Dietní léčba fenylketonurie

Stanovisko k žádosti

Ústav neshledal zásadní limitace předložených klinických podkladů a klinický přínos PZLÚ PKU GMPRO s obsahem GMP, v kontrole hladin fenylalaninu, u populace pacientů definované v Ústavem navržených podmínkách úhrady, považuje za prokázány. Jedná se o pacienty s PKU starší 11 let věku, kteří mohou užívat posuzované PZLÚ v takovém denním množství, že pokryje maximálně 50 % proteinového ekvivalentu původně vypočítaného pro příjem PZLÚ z referenčních skupin 107/1 (definované směsi aminokyselin bez fenylalaninu, práškové formy na obsah aminokyselin) nebo 107/4 (definované směsi aminokyselin bez fenylalaninu, dávkované formy na obsah aminokyselin). Zbýlých 50 % proteinového ekvivalentu bude nadále kryto PZLÚ z referenčních skupin 107/1 nebo 107/4.

Dle stanoviska odborné společnosti i aktuálních evropských doporučených postupů pro léčbu fenylketonurie nebyl dostatečně prokázán klinický přínos a bezpečnost GMP u dětí mladších 11 let věku ani u těhotných žen. Ústav proto uzavírá, že důkazy o účinnosti a bezpečnosti PZLÚ VITAFLO PKU SPHERE u těchto skupin pacientů jsou nedostatečné pro stanovení úhrady z prostředků veřejného zdravotního pojištění.

Ústav v předmětném řízení nemohl posoudit nákladovou efektivitu hodnocené PZLÚ a dopad na rozpočet stanovení výše a podmínek úhrady předmětné PZLÚ, jelikož ze strany účastníka řízení Danone nebyly předloženy farmakoekonomické podklady. Nákladovou efektivitu předmětné PZLÚ proto nelze považovat za prokázanou.

Zařazení do skupiny v zásadě terapeuticky zaměnitelných PZLÚ

Posuzované PZLÚ byly posouzeny jako nezaměnitelné s žádnou referenční skupinou.

K posuzovaným PZLÚ nebyla identifikována žádná srovnatelně účinná a nákladově efektivní terapie.

Maximální cena

Maximální cena PZLÚ PKU GMPRO již byla pravomocně stanovena v předchozím průběhu tohoto správního řízení.

Obvyklá denní terapeutická dávka (ODTD)

25 g

Úhrada ze zdravotního pojištění

Úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění není stanovena.

Podmínky úhrady

Nejsou stanoveny.