

GTO-oil pre pacientov s adrenoleukodystrofiou

Hodnotenie zdravotníckej technológie

Zrýchlené hodnotenie dietetickej potraviny

Číslo žiadosti:

1767

Podskupina:

V06CCDy Doplnky výživy – GTO olej (nová podskupina)

Čiarový kód:

8716900591891

Publikované dňa:

24.04.2026

Link:

<https://niho.sk/publikovane-projekty/>



Záver odborného hodnotenia

Odporúčanie

Podľa § 3 zákona 358/2021 Z. z. Národný inštitút pre hodnotu a technológie v zdravotníctve (NIHO) odporúča **vyhovieť** žiadosti o zaradenie technológie GTO-oil do Zoznamu kategorizovaných dietetických potravín v indikácii pre pacientov s adrenoleukodystrofiou.

Výsledky analýzy nákladovej efektívnosti sú spojené s neistotou, ktorú adresujeme v alternatívnom scenári. Hlavným zdrojom neistoty je diskrepancia v špecifikácii veľkosti balenia. V alternatívnom scenári uvažujeme s výškou úhrady komparátora za 1 000 ml balenie (na rozdiel od 500 ml v základnom scenári), v súlade so spôsobom vykazovania predmetnej DP v NCZI dátach.

Odôvodnenie

Zdravotný problém a vzniknutá záťaž pre pacienta

- Adrenoleukodystrofia (ALD) je zriedkavé genetické ochorenie spôsobené mutáciou génu *ABCD1*, ktorá vedie k hromadeniu mastných kyselín s veľmi dlhým reťazcom (VLCFA) a následnému poškodeniu mozgu, miechy a nadobličiek. Symptómy ALD sa výrazne líšia v závislosti od konkrétnej formy ochorenia a veku pacienta. Keďže ide o progresívne ochorenie, zvyčajne sa časom zhoršujú. V súčasnosti neexistuje kauzálna liečba ALD. Niektoré formy ochorenia je možné stabilizovať hormonálnou substitúciou alebo transplantáciou hematopoetických kmeňových buniek (HSCT). Nutričný manažment je súčasťou komplexnej starostlivosti o pacientov s ALD a zameriava sa predovšetkým na kontrolu hladín VLCFA.
- Hodnotená dietetická potravina:
 - **GTO-oil** p.o., 1x500 ml
- Komparátorom je:
 - **GTO oil** SOL 1000 ML v režime na výnimku podľa §88 zákona 363/2011 Z. z.

Klinický dôkaz a jeho limitácie

- **Klinickú účinnosť hodnotenej DP predpokladáme na základe:**
 - jej zloženia,
 - patofyziologického mechanizmu ochorenia, ktoré vyžaduje kontrolu hladín VLCFA .
- **Výrobca nepredložil dôkaz o komparatívnej účinnosti a bezpečnosti hodnotenej technológie. Komparatívnu účinnosť hodnotenej DP nie je možné hodnotiť, keďže intervencia a komparátor predstavujú rovnakú DP (v súčasnosti hradená na základe výnimkového režimu podľa § 88 zákona 363/2011 Z. z.).**

Analýza nákladovej efektívnosti a jej limitácie

- **Intervencia GTO-oil pri požadovanej úhrade 38,44 € spĺňa podmienky nákladovej efektívnosti v porovnaní s relevantným komparátorom.**
- V pôvodnom nastavení výrobcu preukazuje DP GTO-oil nákladovú efektívnosť v porovnaní s komparátorom DP GTO-oil hradenou vo výnimkovom režime v rámci analýzy minimalizácie nákladov. Výrobca uvádza, že hodnotená DP bude mať nižšie náklady ako komparátor.
- **Výsledok nákladovej efektívnosti predmetnej DP je spojený s neistotou**, ktorá plynie najmä z absencie klinického dôkazu, z absencie informácie o výške úhrady vo výnimkovom režime zo všetkých poisťovní a z nesúladu v špecifikácii veľkosti balenia.
- Vzhľadom na neistotu spojenú s nesúladom veľkosti balenia DP v súčasnosti hradenej vo výnimkovom režime, ktoré uvádza výrobca (500 ml) a NCZI (1 000 ml) predkladáme alternatívny scenár, v ktorom uvádzame náklady na komparátor vo výške 55,28 € / 1 000 ml balenie, teda 27,64 € / 500 ml balenie. V alternatívnom scenári dosahuje intervencia GTO-oil pri požadovanej úhrade zdravotnej poisťovne vo výške 38,44 € v rámci CMA voči komparátoru vyššie náklady o 10,80 €. Aby bol GTO-oil nákladovo efektívny, maximálna výška úhrady zdravotnej poisťovne môže byť 27,64 €, čo predstavuje zľavu vo výške 28,10 % voči požadovanej úhrade vo výške 38,44 €.

Dopad na rozpočet

- **Výrobca odhaduje sumárnu úhradu verejného zdravotného poistenia (VZP)** za DP GTO-oil v tretí rok od zaradenia vo výške 1,2 tisíc €. Predpokladá, že hodnotená DP bude mať šetriaci vplyv na rozpočet VZP.
- **Analýzu vplyvu kategorizácie intervencie na rozpočet považujeme z pohľadu spotreby za podhodnotenú a spojenú s neistotou.** Neistota vyplýva z odhadu počtu pacientov, individualizovanej spotreby DP, nepreukázanej úhrady za intervenciu vo výnimkovom režime zo strany výrobcu a neistoty veľkosti balenia komparátora. Vzhľadom k vyššie uvedenému NIHO nepredkladá vlastný scenár dopadu na rozpočet.
- V prípade úhrady podľa alternatívneho scenára by hodnotená DP mala negatívny dopad na rozpočet VZP rádovo v stovkách eur.

Obsah

Záver odborného hodnotenia	2
Obsah	4
Použité skratky	5
Časový prehľad priebehu hodnotenia	6
Informácie o dokumente	7
1. Predmet hodnotenia	8
1.1. Výskumné otázky	8
1.2. Inklúzne kritériá	8
2. Metóda	10
2.1. Výskumné podotázky	10
2.2. Zdroje použité pri tvorbe hodnotenia	10
3. Zdravotný problém a postavenie v klinickej praxi	11
3.1. Základná charakteristika ochorenia	11
3.2. Manažment a liečba pacienta	12
3.3. Opis technológie	12
3.4. Účel určenia	13
3.5. Požadované podmienky úhrady	14
3.6. Relevantné komparátory	14
4. Hodnotenie klinickej účinnosti a bezpečnosti	15
4.1. Klinické dôkazy o účinnosti	15
4.2. Klinické dôkazy o bezpečnosti	15
4.3. Diskusia k hodnoteniu klinického prínosu	15
5. Hodnotenie nákladovej efektívnosti	16
5.1. Opis a hodnotenie predloženej medicínskoekonomickej analýzy	16
5.2. Hodnotenie výsledkov medicínskoekonomickej analýzy	17
6. Hodnotenie dopadu na rozpočet	18
6.1. Základný scenár analýzy dopadu na rozpočet predložený výrobcom	18
6.2. Vyjadrenie NIHO k analýze dopadu na rozpočet a miera neistoty	18
7. Etické, organizačné, sociálno-pacientske a právne aspekty	19
7.1. Etická analýza	19
7.2. Organizačné aspekty	19
7.3. Sociálno-pacientske aspekty	19
7.4. Právne aspekty	19
8. Zdroje	20
9. Apendix	21
9.1. Komunikácia s klinickými odborníkmi a pacientskymi organizáciami	21
9.2. Komunikácia s výrobcom	22
9.3. Komunikácia so zdravotnou poisťovňou	23

Tabuľky

Tabuľka 1: PICO – Inklúzne kritériá	8
Tabuľka 2: Výsledky základného scenára CMA predloženého výrobcom	17
Tabuľka 3: Výsledky alternatívneho scenára CMA	17
Tabuľka 4: Počet pacientov a dopad na rozpočet v rokoch 2026 - 2031	18

Obrázky

Obrázok 1: Typy ALD a ich symptómy	11
Obrázok 3: Výživové údaje DP GTO-oil uvedené na obale	13
Obrázok 2: Zobrazenie DP GTO-oil	13

Použité skratky

ALD	Adrenoleukodystrofia
ALDP	Adrenoleukodystrofický proteín
AMN	Adrenomyeloneuropatia
AOTMIT	Polská Agentúra pre hodnotenie zdravotníckych technológií, z pl. Agencja Oceny Technologii Medycznych i Taryfikacji
CCALD	Detská cerebrálna adrenoleukodystrofia, z angl. Childhood Cerebral Adrenoleukodystrophy
CMA	Analýza minimalizácie nákladov, z angl. Cost-Minimization Analysis
DIA	Diabetológ
DP	Dietetická potravina
END	Endokrinológ
ENP	Pediatrický endokrinológ
FDA	Americký Úrad pre kontrolu potravín a liečiv, z angl. Food and Drug Administration
GRT	Glukokortikoidná substitučná terapia, z angl. Glucocorticoid Replacement Therapy
GTE	Glycerol-trierukát
GTO	Glycerol-troleát
HSCT	Transplantácia hematopoetických kmeňových buniek, z angl. Hematopoietic Stem Cell Transplantation
MER	Medicínskoekonomický rozbor
MKCH-10	Medzinárodná klasifikácia chorôb - 10. revízia
MR	Magnetická rezonancia
NCZI	Národné centrum zdravotníckych informácií
NEU	Neurológ
OS	Celkové prežívanie
PED	Pediater
RCT	Randomizovaná kontrolovaná štúdia
RD	Referenčná dávka
VLCFA	Mastné kyseliny s veľmi dlhým reťazcom, z angl. Very Long-Chain Fatty Acids
VZP	Verejné zdravotné poistenie
X-ALD	X-viazaná adrenoleukodystrofia
ZKDP	Zoznam kategorizovaných dietetických potravín

Časový prehľad priebehu hodnotenia

Podanie žiadosti o kategorizáciu	18.12.2025
Rozhodujúce začatie plynutia lehoty na vydanie rozhodnutia vo veci kategorizácie	19.12.2025
Vydanie NIHO hodnotenia	24.04.2026
Celkové trvanie hodnotenia (zohľadňuje prerušenia)	127 dní

Informácie o dokumente

Autori

Ing. Miroslava Dunárová
Mgr. Veronika Medová, PhD.
Mgr. Katarína Colotková

Rola autorov: MD je prvou autorkou hodnotenia; VM je druhou autorkou hodnotenia; KK supervizovala klinické a ekonomické aspekty hodnotenia.

Podpora

Klinickí odborníci: Odborník A: Doc. MUDr. Kolníková Miriam, PhD.

Vydavateľ a zodpovedný za obsah

Národný inštitút pre hodnotu a technológie v zdravotníctve
Zámocké schody 2/A, 811 01, Bratislava
kancelaria@niho.sk

Toto hodnotenie má byť citované nasledovne

Dunárová M., Medová V., Colotková K.: GTO-oil pre pacientov s adrenoleukodystrofiou. Zrýchlené hodnotenie dietetickej potraviny ZHDP10; 2026; Bratislava: NIHO.

Konflikt záujmov

Všetci autori, ktorí sa podieľali na tvorbe tohto hodnotenia, vyhlásili, že nemajú žiadny konflikt záujmov vo vzťahu k predmetnej technológii v súlade s formulárom konfliktu záujmov od EUnetHTA (<https://www.eunetha.eu/wp-content/uploads/2019/11/Declaration-of-Interest-DOI-Form.pdf?x37933>). To napríklad značí, že na chod svojej inštitúcie nepoberajú finančné príspevky na úrovni 40 % a viac zo zdrojov farmaceutických firiem, ktoré by ich mohli dať do konfliktu záujmov k predmetnému hodnoteniu. Konflikty záujmov klinických odborníkov a zástupcov patientskych združení v prípade ich zapojenia boli vyhodnotené na základe odpovedí vo formulári a sú pomenované v Apendixe.

Vyhlásenie

Osoby uvedené v časti Podpora nie sú spoluautormi hodnotenia a s jeho obsahom nemusia všetci súhlasiť. NIHO je zodpovedné za chyby, ktoré mohli v hodnotení nastať. Za konečnú verziu a odporúčanie plne zodpovedá NIHO.

Zadanie hodnotenia prebehlo na základe zákonných povinností NIHO vyplývajúcich zo zákona 358/2021 Z. z.

1. Predmet hodnotenia

1.1. Výskumné otázky

1. Aká je účinnosť a bezpečnosť technológie GTO-oil v porovnaní s relevantnými komparátormi v indikácii na diétny režim pri adrenoleukodystrofii v slovenskom kontexte na úrovni ukazovateľov relevantných pre mortalitu, morbiditu, kvalitu života a závažné nežiaduce udalosti?
2. Aká je nákladová efektívnosť technológie GTO-oil?
3. Aké sú ďalšie relevantné etické, organizačné, sociálno-pacientske a právne aspekty týkajúce sa potenciálnej úhrady technológie GTO-oil?

1.2. Inklúzne kritériá

Inklúzne kritériá relevantných klinických štúdií sú sumarizované v tabuľke nižšie.

Tabuľka 1: PICO – Inklúzne kritériá

Populácia (z angl. P opulation)	
	<p>Diagnóza</p> <ul style="list-style-type: none"> • Adrenoleukodystrofia • MKCH-10¹: E71.3 <p>Populácia podľa účelu určenia dietetickej potraviny:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Na diétny režim pri adrenoleukodystrofii (ALD) spojenej s diétou obmedzujúcou príjem tukov a kyseliny cerotovej (C26:0). Tekutý prípravok tvorený glycerol-trioleát (GTO) olejom, obsahujúci približne 90 % kyseliny olejovej a iba stopové množstvá nasýtených mastných kyselín s veľmi dlhým reťazcom. Nevhodné ako jediný zdroj výživy. Určené pre deti a dospelých. <p>Populácia, pre ktorú výrobca požaduje úhradu:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Návrh indikačného obmedzenia: Hradenú liečbu môže indikovať lekár u pacientov pri adrenoleukodystrofii (ALD) spojenej s diétou obmedzujúcou príjem tukov a kyseliny cerotovej (C26:0) na pracovisku Detskej kliniky Lekárskej fakulty Univerzity Komenského a Národného ústavu detských chorôb v Bratislave, Kliniky pre deti a dorast A. Getlíka Univerzitnej nemocnice Bratislava Nemocnica sv. Cyrila a Metoda, Kliniky detí a dorastu Univerzitnej nemocnice Martin, v metabolickej ambulancii Detskej fakultnej nemocnice s poliklinikou Banská Bystrica a v metabolickej ambulancii Detskej fakultnej nemocnice Košice. • Návrh preskripčného obmedzenia: DIA, END, ENP, NEU, PED • Návrh množstvového a finančného limitu: nie • Obmedzenie úhrady zdravotnej poisťovne na jej predchádzajúci súhlas: nie
Intervencia (z angl. I ntervention)	
	GTO-oil p.o., 1x500 ml
Komparátor (z angl. C ontrol)	
	GTO oil SOL 1000 ML v režime na výnimku podľa §88 zákona 363/2011 Z. z. (D2K02)
Ukazovatele (z angl. O utcomes)	
Klinická účinnosť	<p>Mortalita</p> <ul style="list-style-type: none"> • OS (z angl. overall survival; celkové prežívanie) <p>Morbidita</p> <ul style="list-style-type: none"> • Zníženie hladiny VLCFA • Progresia neurologického poškodenia

¹ Medzinárodná klasifikácia chorôb - 10. revízia

	Kvalita života <ul style="list-style-type: none"> • HRQoL (z angl. health-related quality of life) meraná cez dotazník EQ-5D² a dotazníky špecifické pre ochorenie
Bezpečnosť	Frekvencia výskytu nežiaducich udalostí
Dizajn štúdií (z angl. Study design)	
Klinická účinnosť	Randomizované kontrolované štúdie (RCTs) a metaanalýzy z nich ak nie sú dostupné, tak: Prospektívne nerandomizované kontrolované štúdie Nepriame porovnania zachovávajúce kauzalitu Ak nie sú dostupné, tak ďalšie dáta podľa hierarchie dôkazov EBM
Bezpečnosť	RCTs a metaanalýzy z nich ak nie sú dostupné, tak: Prospektívne nerandomizované kontrolované štúdie Nepriame porovnania zachovávajúce kauzalitu Prospektívne observačné štúdie Jednoramenné štúdie Ak nie sú dostupné, tak ďalšie dáta podľa hierarchie dôkazov EBM
Ekonomické hodnotenie	Podklady výrobcu k ekonomickému hodnoteniu (medicínskoekonomický rozbor) a ďalšie zdroje
Etické, organizačné, sociálno-pacientske a právne aspekty	Vstupy od zástupcov pacientov a odborníkov a z výsledkov hodnotenia.

² [EQ-5D](#) je dotazník kvality života v súvislosti so zdravím vytvorený skupinou EuroQol (z angl. Euro Quality of Life). Dotazník obsahuje 5 zdravotných domén (mobilita, sebestačnosť, bežné aktivity, bolesť/diskomfort a úzkosť/depresia). Pacient hodnotí číselne stupeň závažnosti príznakov pomocou trojstupňovej (3L) alebo päťstupňovej (5L) škály odpovedí, výsledkom je päťciferný kód.

2. Metóda

Vysvetlenie k zrýchlenému hodnoteniu:

Toto hodnotenie nie je štandardným hodnotením NIHO. Ide o zrýchlené hodnotenie zdravotníckej technológie v indikácii, v ktorej je na základe žiadosti predpokladaný relatívne nižší čistý dopad na rozpočet VZP. Aplikovanie rozdielneho prístupu k rozsahu hodnotení (teda používanie tzv. „adaptívneho hodnotenia zdravotníckych technológií“) z dôvodu dopadu na rozpočet je používané aj v zahraničí. Cieľom je efektívne zameranie analytických kapacít najmä na technológie s najväčším dopadom na rozpočet a rýchlejšia dostupnosť nových technológií pre pacientov. Rozdiel oproti štandardnému hodnoteniu spočíva v rozsahu relevantných zdrojov, ktoré NIHO preveruje, v hĺbke ich preverovania a v rozsahu písaného textu v hodnotení.

Rovnako ako pri štandardnom hodnotení, aj pri zrýchlenom hodnotení NIHO dbá na dodržanie všetkých platných právnych predpisov. Formálne náležitosti žiadostí (napr. úradne určená cena v iných členských štátoch, platnosť certifikácie, úhrada správneho poplatku a pod.) kontroluje MZ SR.

2.1. Výskumné podotázky

Výskumné otázky z časti 1.1 boli zodpovedané prevažne metodikou, ktorú NIHO používa pri štandardnom hodnotení liekov a ktorá sa opiera o EUnetHTA Core Model 3.0. Nakoľko je tento model určený iba pre vybranú skupinu zdravotníckych technológií, ktoré nie sú liekmi, nie je možné ho naplno využiť pri hodnotení všetkých zdravotníckych pomôcok (ZP), špeciálneho zdravotníckeho materiálu (ŠZM) a dietetických potravín (DP).

2.2. Zdroje použité pri tvorbe hodnotenia

- Dokumenty poskytnuté výrobcom ako súčasť žiadosti (medicínskoekonomický rozbor, publikácie a ďalšie zdroje).
- Ručné vyhľadávanie klinických štúdií a meta-analýz v medicínskych databázach (ClinicalTrials.gov a PubMed).
- Ručné vyhľadávanie na webových stránkach relevantných zahraničných inštitúcií, nemocníc a patientskych organizácií.

Pre účely zapojenia odborníkov a patientskych organizácií bolo dňa 16.03.2026 zverejnené oznámenie o hodnotení na webovej stránke NIHO. Termín pre zaslanie vstupu do hodnotenia bol 30.03.2026. Do hodnotenia sa zapojil jeden odborník a žiadna patientska organizácia. Zároveň prebehla komunikácia ohľadom konkrétnych otázok s členmi Kategorizačnej komisie pre dietetické potraviny zo všetkých slovenských zdravotných poisťovní.

Vysvetlenie k používaniu začierňenia niektorých údajov vo verejnej verzii hodnotenia NIHO:

Vyčierňovanie vo verejnej verzii hodnotenia používame v prípade, že výrobca označil niektorú z informácií za neverejnú, t.j. za obchodné tajomstvo, dôvernú informáciu, alebo iný typ neverejnej informácie a vyčierňoval ju v MER, resp. ju dodal v rámci neverejnej prílohy. Môže ísť napríklad o neverejnú výšku úhrady, neverejné podmienky úhrady alebo niektoré klinické dáta. Začierňujeme tiež informácie, ktoré by mohli viesť k prezradeniu vyššie uvedených informácií. Začierňovanie údajov v hodnotení podlieha individuálnemu posúdeniu autorov, v hodnoteniach sa pokúšame o čo najväčšiu možnú mieru transparentnosti. Plnú verziu hodnotenia poskytujeme MZ SR, a prostredníctvom MZ SR aj výrobcovi.

3. Zdravotný problém a postavenie v klinickej praxi

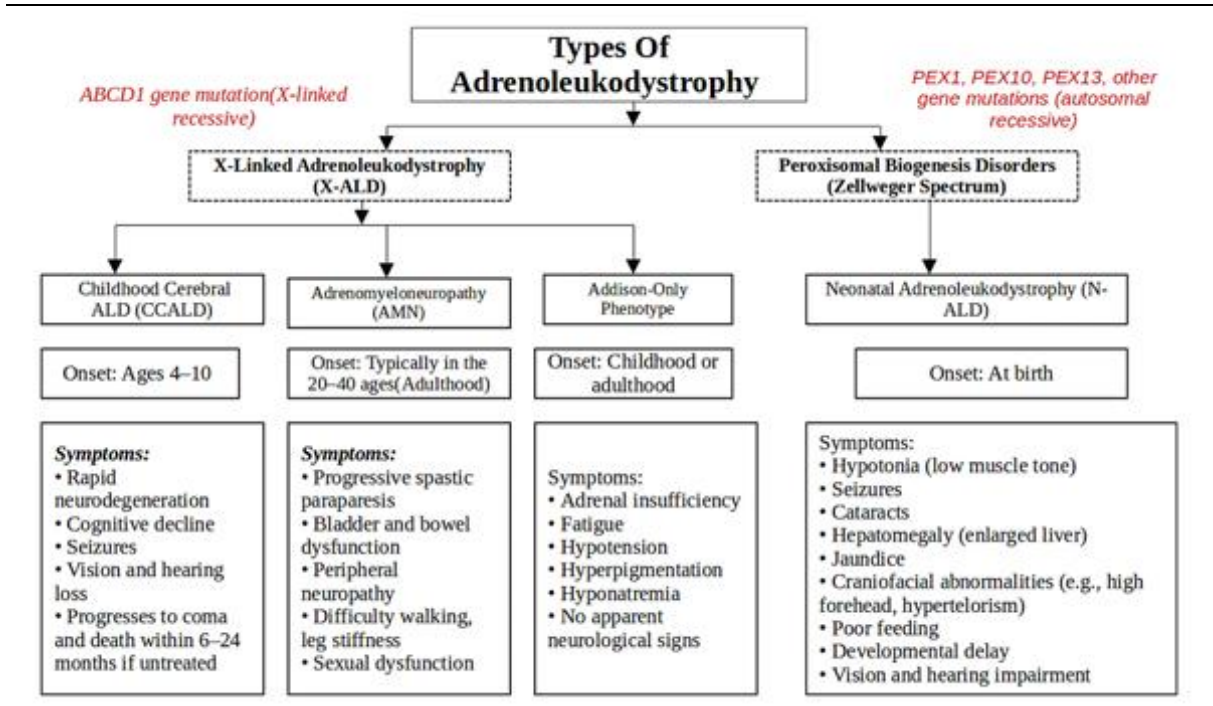
3.1. Základná charakteristika ochorenia

Adrenoleukodystrofia (ALD) je zriedkavá, komplexná genetická porucha, ktorá narúša schopnosť tela odbúravať mastné kyseliny. Je primárne spôsobená variantami v géne *ABCD1* (ATP-binding cassette subfamily D member 1), ktorý sa nachádza na chromozóme X. Tieto varianty vedú k deficitu adrenoleukodystrofického proteínu (ALDP), ktorý je nevyhnutný na transport mastných kyselín s veľmi dlhým reťazcom (VLCFA, z angl. Very Long-Chain Fatty Acids) do peroxizómov na ich následnú degradáciu. Zlyhanie procesu odbúravania VLCFA vedie k ich hromadeniu v kôre nadobličiek a mozgu, čo spôsobuje dysfunkciu nadobličiek a demyelinizáciu bielej hmoty mozgu [1].

ALD postihuje približne 1 z 20 000 až 1 z 50 000 jedincov celosvetovo. Postihuje primárne mužov vzhľadom na jej X-viazanú recesívnu dedičnosť. Ženy sú zvyčajne prenášačky a môžu vykazovať mierne symptómy alebo byť asymptomatické. Hlavným rizikovým faktorom je zdedený variant v géne *ABCD1*. Riziko zvyšuje aj pozitívna rodinná anamnéza ALD [2].

Klinické subtypy ALD sa odlišujú podľa postihnutých orgánov a veku nástupu (Obrázok 1) [1]. Hlavnými sú detská cerebrálna adrenoleukodystrofia (CCALD, z angl. Childhood Cerebral Adrenoleukodystrophy), adrenomyeloneuropatia (AMN), a primárna adrenálna insuficiencia (alebo Addisonova choroba) [3].

Obrázok 1: Typy ALD a ich symptómy



Zdroj: [1]

CCALD je najrozšírenejšou formou ALD, tvorí 31 – 35 % prípadov X-viazanej ALD (X-ALD) [4]. Postihuje deti vo veku 3 – 10 rokov a je charakterizovaná vývinovou regresiou v dôsledku demyelinizácie bielej hmoty mozgu [1]. Ochorenie postupuje rýchlo, vzniká kortikálna slepota, strata sluchu, spastická kvadruparéza so stratou motorických schopností a prehĺtania [4]. Prognóza je nepriaznivá, väčšina pacientov zomiera do 6 – 24 mesiacov od diagnózy [1].

Addisonova choroba vzniká v dôsledku dysfunkcie nadobličiek, čo vedie k zníženej produkcii aldosterónu a kortizolu [1]. Podiel pacientov s formou primárnej adrenálnej insuficiencie je odhadovaný na 35 % prípadov s X-ALD. Addisonova choroba môže vznikáť v každom veku a nesúvisí s objavením sa neurologických príznakov [4].

Často progreduje do adrenomyeloneuropatie (AMN). Medzi klinické príznaky patrí hyponatriémia (nízka hladina sodíka), dehydratácia, hypotenzia, hypoglykémia, svalová slabosť [1].

AMN predstavuje miernejší variant X-ALD s výskytom u 40 - 46 % prípadov. Prejavy ochorenia začínajú medzi 14. a 60. rokom života ako pomaly postupujúca progresívna spastická paraparéza [4]. Typickými príznakmi sú aj problémy s chôdzou, znížená stabilita, dysfunkcia čriev, močového mechúra a predčasné vypadávanie vlasov [1].

3.2. Manažment a liečba pacienta

Súčasná terapeutická stratégia pre ALD sa primárne zameriava na spomalenie progresie ochorenia a manažment symptómov. Do dnešného dňa nie je dostupná žiadna kauzálna liečba. Dietetické opatrenia môžu byť kombinované s dvoma hlavnými súčasnými spôsobmi liečby, ktorými sú glukokortikoidná substitučná terapia (GRT, z angl. Glucocorticoid Replacement Therapy) a transplantácia hematopoetických kmeňových buniek (HSCT, z angl. Hematopoietic Stem Cell Transplantation). GRT je potenciálne život zachraňujúca pre všetkých pacientov s ALD, ktorí trpia adrenálnou insuficienciou. HSCT môže zastaviť progresiu cerebrálnej demyelinizácie, ak sa vykoná v skorom štádiu ochorenia. Je však účinná len vo veľmi úzkom terapeutickom okne. Génová terapia je jedným z najslubnejších prístupov k liečbe ALD, avšak doposiaľ neexistuje dostatok dôkazov jej účinnosti a bezpečnosti [3, 5].

Nutričný manažment je súčasťou komplexnej starostlivosti o pacientov s ALD. Zameriava sa predovšetkým na kontrolu hladín VLCFA, najmä kyseliny cerotovej (C26:0). Cieľom diétnych reštrikcií je zníženie príjmu C26:0 na minimum (pod 3 mg denne, bežná strava obsahuje 12-40 mg denne). Lorenzov olej a analogické výživové doplnky predstavujú lipidové prípravky vyvinuté na báze konkurenčnej inhibície mikrozomálnej elongázy, čím obmedzujú endogénnu syntézu VLCFA. Lorenzov olej sa podáva spolu s diétou s nízkym obsahom lipidov a odporúča sa najmä pre asymptomatických pacientov [3, 5]. GTO olej nebol zmieneny v žiadnom z uvedených odporúčaní. Podľa oslovej odborníčky sa v klinickej praxi na Slovensku využíva GTO olej na prípravu stravy, keďže iné typy tukov sú nevhodné a zvyšujú obsah VLCFA, ktorá je primárnou príčinou ochorenia.

3.3. Opis technológie

Dietetická potravina GTO-oil p.o. 1x500 ml je tvorená olejom glycerol-trioleát (GTO), ktorý obsahuje približne 90 % kyseliny olejovej a iba stopové množstvá nasýtených mastných kyselín s veľmi dlhým reťazcom (Obrázok 2). Je určená na enterálne použitie pre deti a dospelých s ALD spojenou s diétou obmedzujúcou príjem tukov a kyseliny cerotovej (C26:0). GTO-oil obsahuje 91 g tuku/100 ml. Výživové údaje na 100 ml DP sú uvedené na obrázku nižšie (Obrázok 3). Predmetná DP nie je vhodná ako jediný zdroj výživy. Aby sa splnili nutričné potreby pacienta, je nutné dopĺňať diétu o esenciálne mastné kyseliny a iné nutrienty.

Dávkovanie: Potrebné množstvo prípravku určí lekár alebo pracovník kvalifikovaný v oblasti klinickej výživy v závislosti od veku, telesnej hmotnosti a zdravotného stavu pacienta.

Použitie: DP sa používa pri varení, pečení alebo do šalátových dresingov ako náhrada iných druhov tukov a olejov, ako sú maslo, margarín a bežné oleje. DP je nutné spotrebovať do 1 mesiaca po otvorení.

Obrázok 3: Zobrazenie DP GTO-oil



Zdroj: [6]

Obrázok 2: Výživové údaje DP GTO-oil uvedené na obale

Výživové údaje na	100 ml	100 g mastných kyselín
Energia	3367 kJ/819 kcal	
Tuky (100 En%)	91,0 g	
z toho		
- Nasýtené mastné kyseliny	4,4 g	
-- C16:0	1,05 g	1,21 g
-- C18:0	2,49 g	2,87 g
-- C20:0	0,06 g	0,07 g
-- C26:0	0 g	0 g
- Mononenasýtené mastné kyseliny	81,7 g	
-- C18:1	76,7 g	88,4 g
- Polynenasýtené mastné kyseliny	4,9 g	
-- C18:2	2,83 g	3,26 g
Sacharidy	0 g	
z toho cukry	0 g	
Vláknina	0 g	
Bielkoviny	0 g	
Sol'	0 g	

Zdroj: [6]

3.4. Účel určenia

Účel určenia:

Na diétny režim pri adrenoleukodystrofii (ALD) spojenej s diétou obmedzujúcou príjem tukov a kyseliny cerotovej (C26:0). Tekutý prípravok tvorený glycerol-trioleát (GTO) olejom, obsahujúci približne 90 % kyseliny olejovej a iba

stopové množstvá nasýtených mastných kyselín s veľmi dlhým reťazcom. Nevhodné ako jediný zdroj výživy. Určené pre deti a dospelých.

Úrad verejného zdravotníctva Slovenskej republiky (ÚVZSR) prijal dňa 04.03.2025 oznámenie o umiestnení potraviny na osobitné lekárske účely GTO-oil, 1x500 ml, od výrobcu SHS International Ltd., na trh v Slovenskej republike.

3.5. Požadované podmienky úhrady

Výrobca žiada o zaradenie DP GTO-oil do novej podskupiny V06CCDy Doplnky výživy - GTO olej.

Výrobca navrhuje maximálnu cenu DP vo verejnej lekárni vo výške 38,44 € za balenie 500 ml, pričom počítal s 19 % DPH. Výrobca udáva ako jednotku referenčnej dávky (RD) DP 100 ml. V jednom balení je podľa žiadosti spolu 5,000 RD. Maximálnu výšku úhrady zdravotnej poisťovne výrobca navrhuje vo výške 7,688 €/ RD, čo po prepočte na balenie predstavuje úhradu vo výške 38,44 € za balenie 1x500 ml.

Navrhované indikačné obmedzenie:

Hradenú liečbu môže indikovať lekár u pacientov pri adrenoleukodystrofii (ALD) spojenej s diétou obmedzujúcou príjem tukov a kyseliny cerotovej (C26:0) na pracovisku Detskej kliniky Lekárskej fakulty Univerzity Komenského a Národného ústavu detských chorôb v Bratislave, Kliniky pre deti a dorast A. Getlíka Univerzitnej nemocnice Bratislava Nemocnica sv. Cyrila a Metoda, Kliniky detí a dorastu Univerzitnej nemocnice Martin, v metabolickej ambulancii Detskej fakultnej nemocnice s poliklinikou Banská Bystrica a v metabolickej ambulancii Detskej fakultnej nemocnice Košice.

Navrhované preskripčné obmedzenie: DIA (diabetológ), END (endokrinológ), ENP (pediatrický endokrinológ), NEU (neuroológ), PED (pediater).

Navrhovaný množstvový a finančný limit: výrobca nenavrhuje

Diskusia k navrhovaným podmienkam úhrady:

- Výrobcom navrhovaná maximálna cena DP vo verejnej lekárni a maximálna úhrada zdravotnej poisťovne nie je rovnaká ako v prípade úhrady podľa §88 zákona 363/2011 Z. z. poisťovňou [REDACTED]. Poisťovňa [REDACTED] hradí DP vo výnimkovom režime vo výške [REDACTED] €/1 balenie. Poisťovňa [REDACTED] za posledný rok neevidovala žiadnu úhradu predmetnej DP a údaje z poisťovne [REDACTED] neboli dostupné.

3.6. Relevantné komparátory

Za relevantný komparátor pre hodnotenú DP GTO-oil p.o. 1x500 ml považujeme GTO-oil p.o. 1x500 ml, ktorý je aktuálne hradený z verejného zdravotného poistenia podľa §88 zákona 363/2011 Z. z.

Uvedenú DP považuje aj výrobca za relevantný komparátor.

Diskusia k relevantným komparátorm:

Akceptujeme výrobcom zvolený komparátor.

- V aktuálne platnom zozname kategorizovaných dietetických potravín (ZKDP) sa v súčasnosti nenachádza iná DP pre pacientov s hodnotenou indikáciou.
- Predmetná DP je aktuálne hradená z verejného zdravotného poistenia na výnimku a jej spotreba podľa dát Národného centra zdravotníckych informácií (NCZI) o spotrebe hradených DP za 1Q 2025 – 4Q 2025 [7] predstavuje 22 balení.

4. Hodnotenie klinickej účinnosti a bezpečnosti

4.1. Klinické dôkazy o účinnosti

Výrobca v časti C4 v MER nepredložil komparatívne dôkazy o klinickej účinnosti a bezpečnosti intervencie GTO-oil voči komparátoru.

4.2. Klinické dôkazy o bezpečnosti

Dôkaz o klinickej účinnosti a bezpečnosti hodnotenej DP nebol predložený.

4.3. Diskusia k hodnoteniu klinického prínosu

Keďže výrobca nepredložil klinickú štúdiu o účinnosti a bezpečnosti hodnotenej DP, nie je možné zhodnotiť jej internú a externú validitu.

Klinickú účinnosť predmetnej DP možno predpokladať na základe jej zloženia (bližšie popísané v časti 3.3), ktoré je identické s DP v súčasnosti hradenou vo výnimkovom režime, a patofyziologického mechanizmu ochorenia, ktoré vyžaduje kontrolu hladín VLCFA. Tento predpoklad však nie je podložený priamymi klinickými dôkazmi o účinnosti a bezpečnosti hodnotenej DP.

5. Hodnotenie nákladovej efektívnosti

5.1. Opis a hodnotenie predloženej medicínskoekonomickej analýzy

Za základný scenár považujeme analýzu v MER dodanom výrobcom dňa 18.12.2025.

5.1.1 Opis a základné nastavenie analýzy

Výrobca DP predložil analýzu vo forme jednoduchého výpočtu v rámci MER bez predloženia samostatného modelu. V rámci MER výrobca vykonal analýzu minimalizácie nákladov (CMA, z angl. Cost-Minimization Analysis) voči komparátoru DP GTO-oil p.o. 1x500 ml, hradenej z verejného zdravotného poistenia podľa §88 zákona 363/2011 Z.z.

Stanovisko k adekvátnosti predloženého nastavenia:

Akceptujeme výrobcom predložené nastavenie. Nezistili sme v ňom nedostatky, ktoré by mali relevantný vplyv na výsledok.

5.1.2 Údaje o účinnosti

Výrobca DP v analýze nákladovej efektívnosti predpokladá rovnakú klinickú účinnosť intervencie a komparátora. Výrobca nepredložil klinickú štúdiu, ktorá by preukazovala účinnosť hodnotenej intervencie..

Stanovisko k adekvátnosti predloženého nastavenia:

Akceptujeme s neistotou predpoklad klinickej účinnosti hodnotenej DP. Klinická účinnosť hodnotenej DP nebola preukázaná klinickou štúdiou (podrobná diskusia je uvedená v časti 4).

5.1.3 Náklady

Výrobca v rámci nákladov v CMA počíta s úhradou zdravotnej poisťovne za DP GTO-oil vo výške 7,688 € / 100 ml (1 RD). Počet RD v jednom balení je 5,000 a navrhovaná úhrada DP tak predstavuje 38,44 € za balenie 1x500 ml. Navrhovaná maximálna cena DP vo verejnej lekárni je 38,44 €.

Náklady na komparátor GTO-oil výrobca uvádza vo výške aktuálnej úhrady zdravotnej poisťovne za DP uhrádzanú podľa §88 zákona 363/2011 Z. z. vo výške 55,28 €.

Presnú dennú dávku u predmetnej DP nie je možné stanoviť vzhľadom k odlišným potrebám každého pacienta.

Stanovisko k adekvátnosti predloženého nastavenia:

Akceptujeme s neistotou nastavenie výrobcu. Podrobnú diskusiu uvádzame v bodoch nižšie:

- **Akceptujeme** uvedené náklady na intervenciu.
- **Akceptujeme s neistotou** náklady na komparátor vo výnimkovom režime.
 - Výrobca hodnotenej DP nedoložil žiadny zdroj údajov, na základe ktorého by bolo možné verifikovať uvedené náklady na komparátor.
 - Uvedenú sumu nebolo možné verifikovať u zástupcov všetkých zdravotných poisťovní. Údaje o priemernej úhrade hodnotenej DP vo výnimkovom režime nie sú k dispozícii.
 - Poisťovňa ■■■ uvádza, že predmetná DP (komparátor) bola poistencom uhrádzaná vo výške ■■■ € za 1 balenie. Poisťovňa ■■■ v poslednom roku neevidovala úhradu predmetnej DP.
 - Výrobca žiada o úhradu zo zdravotného poistenia za balenie vo veľkosti 1x500 ml. V dátach o spotrebe DP zverejnených NCZI za posledný plávajúci rok je hodnotená intervencia uvedená ako „GTO oil SOL 1000 ML“ pod kódom D2K02 [7], rovnako je DP vykazovaná aj v údajoch z účtu poistenca [8]. Napriek tomu, že forma balenia 1 000 ml môže predstavovať „len“ administratívnu chybu zo strany NCZI alebo zo strany lekární, máme za to, že tento nesúlad predstavuje neistotu v nákladoch na komparátor. Na základe uvedeného predkladáme v kapitole 5.2.2 alternatívny scenár.

5.2. Hodnotenie výsledkov medicínskoekonomickej analýzy

5.2.1 Výsledok základného scenára predloženého výrobcom

Výsledky základného scenára podľa výrobcu sú uvedené v tabuľke nižšie (Tabuľka 2). V základnom scenári v rámci CMA dosahuje intervencia GTO-oil pri požadovanej úhrade zdravotnej poisťovne vo výške 7,688 € / 100 ml voči komparátoru GTO-oil v režime výnimky nižšie náklady.

Tabuľka 2: Výsledky základného scenára CMA predloženého výrobcom

Výsledky	Intervencia GTO-oil	Komparátor GTO-oil v režime výnimky
Náklady (€)	38,44	55,28
Inkrementálne náklady (€)		-16,84

Zdroj: [NIHO spracovanie na základe MER, ktorý bol dodaný výrobcom]

5.2.2 Výsledok nákladovej efektívnosti podľa NIHO a zdroje neistoty

V NIHO nastavení sme v rámci medicínskoekonomickej analýzy neaplikovali voči nastaveniu výrobcu žiadne zmeny.

Alternatívny scenár

Vzhľadom na neistotu vyplývajúcu z nesúladu veľkosti balenia DP v súčasnosti hradenej vo výnimkovom režime, ktorý uvádza výrobca (500 ml) a NCZI (1 000 ml) predkladáme alternatívny scenár, v ktorom uvádzame náklady na komparátor vo výške 55,28 € / 1 000 ml balenie, teda 27,64 € / 500 ml balenie.

Ako vyplýva z tabuľky nižšie (Tabuľka 3), v alternatívnom scenári (ak by sa uvedená výška úhrady vo výnimkovom režime vzťahovala na dvojbalenie DP) dosahuje intervencia GTO-oil pri požadovanej úhrade zdravotnej poisťovne vo výške 38,44 € v rámci CMA voči komparátoru vyššie náklady o 10,80 €. Aby bol GTO-oil v alternatívnom scenári nákladovo efektívny, maximálna výška úhrady zdravotnej poisťovne by mohla byť maximálne 27,64 €, čo predstavuje zľavu vo výške 28,10 % voči požadovanej úhrade vo výške 38,44 €.

Tabuľka 3: Výsledky alternatívneho scenára CMA

Výsledky	Intervencia GTO-oil	Komparátor GTO-oil v režime výnimky
Náklady (€)	38,44	27,64
Inkrementálne náklady (€)		10,80

Zdroj: [NIHO spracovanie]

Výsledok nákladovej efektívnosti je spojený s neistotou. Jej dôvody podrobne diskutujeme vyššie a sumarizujeme v nasledujúcich bodoch:

- **Absencia dôkazov o klinickej účinnosti.** Účinnosť hodnotenej DP nebola výrobcom preukázaná. Nebol predložený dôkaz o klinickej účinnosti (4.3).
- **Neúplnosť údajov o úhradách vo výnimkovom režime.** Vzhľadom na to, že údaje o skutočných úhradách zo strany zdravotných poisťovní nebolo možné overiť u všetkých poisťovní, analýza nákladovej efektívnosti je odkázaná na získané údaje deklarované jednou poisťovňou, čo predstavuje významný zdroj neistoty (5.1.3).
- **Diskrepancia v špecifikácii veľkosti balenia.** Podrobná diskusia k nesúladu veľkosti balenia hodnotenej DP a veľkosti balenia DP aktuálne hradenej vo výnimkovom režime je uvedená v časti 5.1.3.

6. Hodnotenie dopadu na rozpočet

6.1. Základný scenár analýzy dopadu na rozpočet predložený výrobcom

Za základný scenár považujeme analýzu dopadu na rozpočet dodanú v rámci MER zo dňa 18.12.2025.

Predpokladaný počet pacientov a dopad na rozpočet podľa výrobcu je uvedený v tabuľke nižšie (Tabuľka 4). Výrobca v MER neuvádza odôvodnenie stanovenia počtu pacientov. Výrobca predpokladá použitie 30 balení / pacienta / rok.

Výrobca predpokladá zaradenie do zoznamu kategorizovaných diietických potravín k 1.7.2026.

Návrh maximálnej sumy úhrad zdravotných poisťovní za DP v 3. plávajúci rok od zaradenia DP do ZKDP je 1,2-tis. €. Výrobca konštatuje, že zaradenie predmetnej DP do ZKDP nebude predstavovať zvýšenie nákladov na úhradu z prostriedkov verejného zdravotného poistenia ale úsporu verejných zdrojov.

Tabuľka 4: Počet pacientov a dopad na rozpočet v rokoch 2026 - 2031

rok	počet pacientov	Komparátor		Zaraďovaná DP		Dopad na rozpočet vs komparátor
		náklady na 1 pacienta/rok (eur)	náklady na pacientov/rok (eur)	náklady na 1 pacienta/rok (eur)	náklady na pacientov/rok (eur)	
2026	1	1658,00	1658,00	1153,00	1153,00	-505,00 €
2027	1	1658,00	1658,00	1153,00	1153,00	-505,00 €
2028	1	1658,00	1658,00	1153,00	1153,00	-505,00 €
2029	1	1658,00	1658,00	1153,00	1153,00	-505,00 €
2030	1	1658,00	1658,00	1153,00	1153,00	-505,00 €
2031	1	1658,00	1658,00	1153,00	1153,00	-505,00 €

Zdroj: [6]

6.2. Vyjadrenie NIHO k analýze dopadu na rozpočet a miera neistoty

Vzhľadom na vysokú mieru neistoty v odhade cieľovej populácie a spotreby DP NIHO nepredkladá vlastný scenár dopadu na rozpočet. Pri kategorizovaní DP GTO-oil s výrobcom navrhovanou úhradou bude vznikať šetriaci dopad na rozpočet rádovo v stovkách eur. Neistota vyplýva z odhadu počtu pacientov, individualizovanej spotreby DP a nepreukázanej úhrady za intervenciu vo výnimkovom režime zo strany výrobcu.

Zároveň upozorňujeme na nejasnosti ohľadom veľkosti balenia diskutovanej v častiach 5.1.3 a.5.2.2 V prípade úhrady podľa alternatívneho scenára by hodnotená DP mala negatívny dopad na rozpočet VZP rádovo v stovkách eur. Neutrálny dopad na rozpočet by vznikol iba po dohodnutí zľavy v súlade s časťou 5.2.2.

7. Etické, organizačné, sociálno-pacientske a právne aspekty

7.1. Etická analýza

Vzhľadom na to, že ide o závažné a ojedinelé ochorenia, predstavuje realizácia randomizovaných kontrolovaných štúdií s kontrolným ramenom etický problém (najmä z dôvodu neposkytnutia intervencie pediatrickým pacientom v placebo skupine). Dostupnosť robustných klinických dát vysokej kvality je preto významne limitovaná.

7.2. Organizačné aspekty

Potrebné množstvo prípravku určuje lekár alebo pracovník kvalifikovaný v oblasti klinickej výživy v závislosti od veku, telesnej hmotnosti a zdravotného stavu pacienta.

7.3. Sociálno-pacientske aspekty

V priebehu hodnotenia neboli identifikované žiadne relevantné sociálno-pacientske aspekty.

7.4. Právne aspekty

V priebehu hodnotenia neboli identifikované žiadne relevantné aspekty.

8. Zdroje

[1] Jain, C.K., Maurya, S. and Tripathi, P.K., 2025. Adrenoleukodystrophy: Current understanding of disease mechanisms, diagnosis, and therapeutic advances—a recent review. *Brain and Development*, 47(6), p.104476.

[2] Alsaleem M., Haq N., 2024. Adrenoleukodystrophy. Dostupné online dňa 23.03.2026 na odkaze: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK562328/>

[3] Di Stefano, A., Ricci, L. et al., 2025. Dietary Approaches in the Management of Adrenoleukodystrophy: Evidence Summary for Nutritional Tips. *Nutrients*, 17(19), p.3130.

[4] Kolníková M., Sýkora P. et al., 2012. X-viazaná adrenoleukodystrofia. Dostupné online dňa 23.03.2026 na odkaze: <https://www.csnn.eu/pdf?id=40074>

[5] Chandoga J., Petrovič R. et al., 2006. X-viazaná adrenoleukodystrofia – najčastejšia dedičná metabolická porucha peroxizómov. Dostupné online dňa 23.03.2026 na odkaze: <https://www.neurologiepropraxi.cz/pdfs/neu/2006/02/07.pdf>

[6] Výrobca, Žiadosť o zaradenie dietetickej potraviny GTO-oil a jej prílohy (ID konania: 1767). Dostupné online dňa 23.03.2026 na odkaze: <https://kategorizacia.mzsr.sk/Dietetika/Common/Details/1767>

[7] Národné centrum zdravotníckych informácií. Datasetsy spotreby zdravotníckych pomôcok a dietetických potravín v Slovenskej republike. Dostupné online dňa 20.04.2026 na odkazoch:
https://data.nczisk.sk/statisticke_vystupy/top_100_liekov/Spotreba_pomocok/Dieteticke_potraviny_L01_L02_DP_1_Q_2025.xlsx
https://data.nczisk.sk/statisticke_vystupy/top_100_liekov/Spotreba_pomocok/Dieteticke_potraviny_L01_L02_DP_2_Q_2025.xlsx
https://data.nczisk.sk/statisticke_vystupy/top_100_liekov/Spotreba_pomocok/Dieteticke_potraviny_L01_L02_DP_3_Q_2025.xlsx
https://data.nczisk.sk/statisticke_vystupy/top_100_liekov/Spotreba_pomocok/Dieteticke_potraviny_L01_L02_DP_4_Q_2025.xlsx

[8] Národné centrum zdravotníckych informácií. Datasetsy spotreby zdravotníckych pomôcok a dietetických potravín v Slovenskej republike. Dostupné online dňa 01.04.2026 na odkaze:
https://data.nczisk.sk/statisticke_vystupy/top_100_liekov/Ucet_poistenca/ucet_poistenca_DP_2024_MKCH5.ods

9. Apendix

9.1. Komunikácia s klinickými odborníkmi a patientskymi organizáciami

Do hodnotenia sa formou vstupu pomocou dotazníka nezapojil žiadny odborník ani patientska organizácia. S vybranými otázkami ohľadom hodnotenej DP sme emailom oslovili hlavnú odborníčku MZSR pre pediatrickú neurológiu z Kliniky Detskej Neurológie Národného ústavu detských chorôb, Doc. MUDr. Miriam Kolníkovú, PhD. Odborníčka deklarovala, že nemá konflikt záujmov.

Otázka	Odpoveď
<p>Výrobca v žiadosti o kategorizáciu Lorenzovho oleja navrhuje nasledovné indikačné obmedzenie: „Hradenú liečbu môže indikovať lekár u pacientov pri adrenoleukodystrofii (ALD) a adrenomyeloneuropatii (AMN) na pracovisku Detskej kliniky Lekárskej fakulty Univerzity Komenského a Národného ústavu detských chorôb v Bratislave, Kliniky pre deti a dorast A. Getlíka Univerzitnej nemocnice Bratislava Nemocnica sv. Cyrila a Metoda, Kliniky detí a dorastu Univerzitnej nemocnice Martin, v metabolickej ambulancii Detskej fakultnej nemocnice s poliklinikou Banská Bystrica a v metabolickej ambulancii Detskej fakultnej nemocnice Košice.“</p> <p>V súčasnosti je však Lorenzov olej podľa mnohých odporúčaní indikovaný najmä u asymptomatických pacientov.</p> <p>Odporúčanie poľskej Agentúry pre hodnotenie zdravotníckych technológií (AOTMIT) z roku 2024 sa opiera o systematický prehľad Fatouh M., 2022, ktorý analyzuje účinnosť Lorenzovho oleja. Z prehľadu vyplýva, že liečba preukázateľne znižuje hladiny plazmatického C26:0 a jej včasné nasadenie u asymptomatických chlapcov vedie k lepším neurologickým výsledkom a nižšiemu výskytu zmien na MR. U pacientov s neurologickými príznakmi a zmenami na MR nemá DP vplyv na klinický priebeh ochorenia.</p> <p>V USA má Lorenzov olej status experimentálnej liečby, nie je oficiálne schválený americkým Úradom pre kontrolu potravín a liečiv (FDA). Zároveň odporúčania mnohých odborníkov potvrdzujú potenciálnu účinnosť Lorenzovho oleja pri prevencii neurologických problémov u detí s ALD, ktoré ešte nevykazujú žiadne symptómy a poukazujú na absenciu spoľahlivých dát o účinnosti Lorenzovho oleja pri rozvinutej forme ALD/AMN.</p> <p>Slovenskí odborníci v článku o X-ALD z roku 2006 rovnako označili terapiu Lorenzovým olejom za odporúčanú u asymptomatických pacientov s X-ALD. Vzhľadom na uvedené odporúčania, súhlasili by ste s nižšie upraveným znením indikačného obmedzenia pre DP Lorenzov olej?</p> <p>„Hradenú liečbu môže indikovať lekár u asymptomatických detských pacientov s diagnostikovanou adrenoleukodystrofiou (ALD), ktorí majú normálny nález na MRI (bez známk demyelinizácie) a u pacientov s</p>	<p>Náš návrh:</p> <p>„Hradenú liečbu môže indikovať lekár <u>u detských pacientov s geneticky potvrdenou adrenoleukodystrofiou (ALD), a u pacientov s adrenomyeloneuropatiou (AMN)</u> na pracovisku Kliniky detskej neurológie a Detskej kliniky Lekárskej fakulty Univerzity Komenského a Národného ústavu detských chorôb v Bratislave, Kliniky pre deti a dorast A. Getlíka Univerzitnej nemocnice Bratislava Nemocnica sv. Cyrila a Metoda, Kliniky detí a dorastu Univerzitnej nemocnice Martin, v metabolickej ambulancii Detskej fakultnej nemocnice s poliklinikou Banská Bystrica a v metabolickej ambulancii Detskej fakultnej nemocnice Košice.“</p> <p>Dôvodom pre podávanie je spomalenie progresie ochorenia, ktoré je inak devastačné a bez akejkoľvek liečby dieťa umiera do 2 rokov od objavenia ťažkostí .</p> <p>Liečba je jedná možná u symptomatických pacientov. U asymptomatických teda tých, ktorí sa diagnostikujú v rodine pozitívneho pacienta, inak sa na ochorenie nedá prísť len aktívnym vyhľadávaním všetkým príbuzných, sa zjavne odďaľuje nástup ochorenia - tu je možná transplantácia kostnej drene, ktorú u pacientov indikujeme.</p> <p>Publikovali sme prácu kde uvádzame: Úspech sa dosiahol znížením endogénnej syntézy VLCFA zmesou glycerol trioleatu a glycerol trierukátu v pomere 4 : 1 nazvanou Lorenzov olej. Podávanie zmesi normalizuje hladinu VLCFA, avšak zásadne nemení klinický obraz rozvinutého ochorenia, keďže nereparuje už vzniknuté poškodenie. Kolnikova M. - Cesk Slov Neurol N 2013; 76/109(2): 197-202</p>

<p>adrenomyeloneuropatiou (AMN) s absenciou klinických neurologických symptómov na pracovisku Detskej kliniky Lekárskej fakulty Univerzity Komenského a Národného ústavu detských chorôb v Bratislave, Kliniky pre deti a dorast A. Getlíka Univerzitnej nemocnice Bratislava Nemocnica sv. Cyrila a Metoda, Kliniky detí a dorastu Univerzitnej nemocnice Martin, v metabolickej ambulancii Detskej fakultnej nemocnice s poliklinikou Banská Bystrica a v metabolickej ambulancii Detskej fakultnej nemocnice Košice.“</p>	
<p>V druhom rade by sme Vás chceli požiadať o odborné stanovisko k opodstatnenosti zaradenia samostatného GTO oleja do dietetického režimu pacientov s ALD. Hoci historické štúdie (napr. Rizzo et al., 1986) naznačovali, že zvýšený príjem kyseliny olejovej vo forme GTO v kombinácii s nízkotučnou diétou dokáže znížiť rýchlosť endogénnej syntézy C26:0 približne o 50 %, súčasné medzinárodné odporúčania a systematické prehľady (napr. Fatouh M., 2022 či poľský AOTMIT, 2024) sa sústreďujú takmer výhradne na terapiu vo forme Lorenzovho oleja (GTO/GTE v pomere 4:1). Samotný výrobca v aktuálnej dokumentácii k produktu GTO olej definuje jeho prínos primárne v rovine senzorickeho zatriktívnenia a zvýšenia energetickej hodnoty reštriktívnej diéty (použitie v zálievkach či pri vyprášaní). Klinické dáta, ktoré by potvrdzovali jeho samostatnú terapeutickú účinnosť pri kontrole hladín VLCFA v dokumentácii absentujú. Zaujímalo by nás preto, či na základe Vašich skúseností považujete za medicínsky odôvodnené, aby bol GTO olej kategorizovaný ako samostatná dietetická potravina s nárokom na úhradu z verejného zdravotného poistenia.</p>	<p>Považujem za medicínsky odôvodnené, aby bol GTO olej kategorizovaný ako samostatná dietetická potravina s nárokom na úhradu z verejného zdravotného poistenia. Podávanie len samotného Lorenzovho oleja sa v klinickej praxi netestovalo, GTO olej sa používa na prípravu stravy, keďže iné typy tukov sú nevhodné a zvyšujú obsah VLCFA, ktorá je primárnou príčinou ochorenia.</p>
<p>Zároveň by nás zaujímalo prepojenie týchto dvoch produktov v reálnej klinickej praxi. Keďže údaje o spotrebe za posledný rok vykazujú preskripciu oboch typov olejov, radi by sme porozumeli mechanizmu ich indikácie u konkrétnych pacientov. Sú Lorenzov olej a GTO olej predpisované súbežne tomu istému pacientovi ako kombinovaná terapia, alebo sa v praxi využívajú v iných indikáciách, t.j. u odlišných pacientov? Pokiaľ sú oba produkty určené pre toho istého pacienta, navrhovali by ste zosúladiť aj indikačné obmedzenie podľa návrhu uvedeného v otázke 1?</p>	<p>Liečba sa podávala vždy súbežne u nás liečime pacientov zistených aktívnym vyhľadávaním od pozitívneho pacienta – teda pred rozvojom klinických ťažkostí.</p> <p>Liečime symptomatických chlapcov aj mužov od miernych príznakov , aj s plne vyjadreným ochorením prakticky celoživotne. Je to prax aj iných zahraničných centier, ktoré liečia pacientov s x-ALD a AMN, kde popri diéte je kombinácia Lorenzovho oleja a GTO oleja pri príprave stravy liečebnou metódou.</p>
<p>Zaznamenali ste v predloženej žiadosti akékoľvek ďalšie potenciálne problematické aspekty týkajúce sa komparátora, navrhovanej podskupiny, indikačného obmedzenia alebo iných súvisiacich skutočností, na ktoré by ste nás chceli upozorniť alebo sa k nim vyjadriť?</p>	<p>Pripomienky k možnosti indikácie:</p> <p>Ochorenie je neurometabolické, deti aj dospelí chlapci sa na klinike diagnostikujú, liečba a sledujú 3 desaťročia, máme za to, že by bolo vhodné pokračovať kontinuálne v liečbe aj na našom pracovisku a zaradiť Kliniku detskej neurológie do indikujúcich pracovísk.</p>

9.2. Komunikácia s výrobcom

S výrobcom sme v procese hodnotenia DP GTO-oil v predmetnej indikácii nekomunikovali.

9.3. Komunikácia so zdravotnou poisťovňou

V procese hodnotenia sme emailom oslovili s vybranými otázkami ohľadom výšky úhrad DP a ich schvaľovania zdravotné poisťovne Dôvera, Union a Všeobecná zdravotná poisťovňa. Priebeh komunikácie je popísaný v tabuľke nižšie. Kompletné dokumenty je možné poskytnúť účastníkom konania a relevantným poradným orgánom na vyžiadanie.

Otázka	Odpoveď poisťovne
<p>Výrobcovia v predložených MER uvádzajú, že predmetné DP sú hradené všetkým indikovaným pacientom vo výnimkovom režime. Radi by sme Vás požiadali o overenie údajov, ktoré výrobcovia výrobca uvádzajú v MER, konkrétne údajov o:</p> <ul style="list-style-type: none"> • počte pacientov s danou diagnózou • počte pacientov so schválenou výnimkou a počte spotrebovaných balení, • výške úhrady na výnimku a • v niektorých prípadoch aj veľkosti hradeného balenia. 	<p>Poisťovne [] a [] poskytli informácie o výške úhrady vo výnimkovom režime a počte liečených pacientov. Poisťovňa [] tiež poskytla informácie o počte spotrebovaných balení. [] údaje neposkytla.</p>