

## Milupa BASIC-F na diétny režim pri poruchách metabolizmu tukov

### Hodnotenie zdravotníckej technológie

Zrýchlené hodnotenie dietetickej potraviny

Číslo žiadosti:

1772

Podskupina:

V06Cxxx Doplnková výživa pri poruchách metabolizmu tukov pre dojčatá a  
deti p.o.plv. (nová podskupina)

Čiarový kód DP:

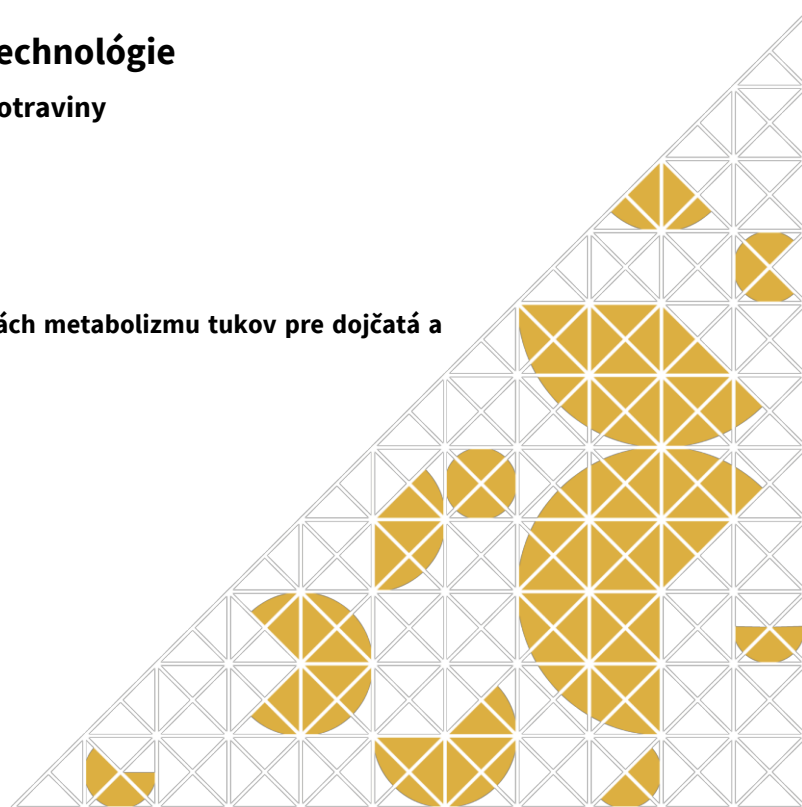
4008976593362

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 Milupa BASIC-F do Zoznamu kategorizovaných dietetických potravín v indikácii na diétny režim pri poruchách metabolizmu tukov.

Upozorňujeme, že **odporúčanie je spojené s vysokou neistotou**, ktorej zdrojom je nejasnosť medzi veľkosťou balenia, ktoré uvádza výrobca DP a veľkosťou balenia DP hradenej vo výnimkovom režime, ktorá je uvedená v dátach o spotrebe.

### Odôvodnenie

#### Zdravotný problém a vzniknutá záťaž pre pacienta

- Lipidy zohrávajú v organizme dôležitú úlohu ako zdroj energie, stavebná zložka bunkových membrán a prekursori rôznych biologicky aktívnych molekúl. Ich metabolizmus zahŕňa komplexný súbor procesov. Poruchy metabolizmu tukov majú rôznorodú etiológiu (vrodené poruchy, vznikajúce v dôsledku iných ochorení alebo vplyvom environmentálnych faktorov). Súčasťou manažmentu ochorení, pri ktorých dochádza ku hromadeniu tukov v plazme, je úprava stravy. Pacientom je odporúčané obmedziť prijímanie tukov s dlhým reťazcom a nahradiť ich tukmi s krátkym, alebo stredne dlhým reťazcom.
- Hodnotená dietetická potravina:
  - **Milupa BASIC-F** p.o. plv. 1x300 g
- Komparátorom je:
  - **Milupa Basic-F** por. sol 600 g (2x300 g) v režime na výnimku podľa §88 zákona 363/2011 Z.z.

#### Klinický dôkaz a jeho limitácie

- **Klinickú účinnosť hodnotenej DP predpokladáme na základe:**
  - zloženia a patofyziologického mechanizmu ochorení,
  - odporúčaní odborných spoločností o nutnosti nízkeho obsahu tukov v strave.
- **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 Milupa BASIC-F pri požadovanej úhrade 24,03 € (19 % DPH) spĺňa podmienky nákladovej efektívnosti v porovnaní s relevantným komparátorom.**
- V pôvodnom nastavení preukazuje výrobca nákladovú efektívnosť DP Milupa BASIC-F v porovnaní s komparátorom DP Milupa BASIC-F hradenou vo výnimkovom režime v rámci analýzy minimalizácie nákladov (CMA, z angl. Cost-Minimization Analysis). Výrobca uvádza, že hodnotená DP bude mať v porovnaní s komparátorom náklady nižšie o 37,05 €.
- **V NIHO scenári dosahuje intervencia Milupa BASIC-F pri úhrade vo výške 24,03 € nižšie náklady voči komparátoru o ■■■ €.**
- **Výsledok nákladovej efektívnosti je spojený s vysokou neistotou**, ktorá plynie najmä z absencie klinického dôkazu a informácií o výške úhrady vo výnimkovom režime.
- Zároveň, vzhľadom na prítomnosť vysokej neistoty spojenej s nesúladom vo veľkosti balenia hradeného vo výnimkovom režime (1x300 g) a veľkosti balenia vykazovaného v dátach o spotrebe Národného centra zdravotníckych informácií (NCZI) (2x300 g) uvádzame alternatívny scenár, v ktorom sú náklady na komparátor vo výške ■■■ €/2x300 g balenie, teda ■■■ €/1x300 g balenie.

- **V alternatívnom scenári dosahuje intervencia Milupa BASIC-F pri úhrade vo výške 24,03 € vyššie náklady voči komparátoru o ■■■ €.** Aby bola Milupa BASIC-F nákladovo efektívna, maximálna výška úhrady zdravotnej poisťovne za 1 ks DP Milupa BASIC-F môže byť vo výške ■■■ €, čo predstavuje zľavu ■■■ % voči hodnotenej úhrade vo výške 24,03 €.

#### **Dopad na rozpočet**

- **Výrobca odhaduje sumárnu úhradu verejného zdravotného poistenia (VZP) za DP Milupa BASIC-F v tretí rok od zaradenia výške 10,8-tis. €.** V analýze dopadu na rozpočet predpokladá, že hodnotená DP bude mať šetriaci dopad na rozpočet VZP.
- **Analýzu vplyvu kategorizácie intervencie na rozpočet považujeme z pohľadu spotreby za neistú.** Neistota vyplýva z odhadu počtu pacientov, individualizovanej spotreby DP a nepreukázanej úhrady za intervenciu vo výnimkovom režime zo strany výrobcu. Vzhľadom k vyššie uvedenému NIHO nepredkladá vlastný scenár dopadu na rozpočet.
- V prípade uplatnenia alternatívneho scenára neutrálny vplyv na rozpočet predpokladáme iba pokiaľ bude dohodnutá zľava odporúčaná NIHO. V opačnom prípade by mohla hodnotená intervencia predstavovať zvýšené náklady, ktoré by bolo nutné z rozpočtu VZP vynaložiť.

## 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 .....	13
3.3. Opis intervencie .....	14
3.4. Účel určenia .....	15
3.5. Požadované podmienky úhrady .....	15
3.6. Relevantné komparátory .....	16
4. Hodnotenie klinickej účinnosti a bezpečnosti .....	17
4.1. Klinické dôkazy o účinnosti .....	17
4.2. Klinické dôkazy o bezpečnosti .....	17
4.3. Diskusia k hodnoteniu klinického prínosu .....	17
5. Hodnotenie nákladovej efektívnosti .....	18
5.1. Opis a hodnotenie predloženej medicínskoekonomickej analýzy .....	18
5.2. Hodnotenie výsledkov medicínskoekonomickej analýzy .....	19
6. Hodnotenie dopadu na rozpočet .....	21
6.1. Základný scenár analýzy dopadu na rozpočet predložený výrobcom .....	21
6.2. Vyjadrenie NIHO k analýze dopadu na rozpočet a miera neistoty .....	21
7. Etické, organizačné, sociálno-pacientske a právne aspekty .....	22
7.1. Etická analýza .....	22
7.2. Organizačné aspekty .....	22
7.3. Sociálno-pacientske aspekty .....	22
7.4. Právne aspekty .....	22
8. Zdroje .....	23
9. Apendix .....	24
9.1. Komunikácia s klinickými odborníkmi a pacientskymi organizáciami .....	24
9.2. Komunikácia s výrobcom .....	24
9.3. Komunikácia so zdravotnými poisťovňami .....	24

## Tabuľky

Tabuľka 1: PICO – Inklúzne kritériá .....	8
Tabuľka 2: Výsledky základného scenára CMA predloženého výrobcom .....	19
Tabuľka 3: Výsledky nákladovej efektívnosti podľa NIHO - CMA .....	19
Tabuľka 4: Alternatívny scenár nákladovej efektívnosti pre DP Milupa BASIC-F podľa NIHO - CMA .....	20

## Obrázky

Obrázok 1: Výživové údaje DP Milupa BASIC-F uvedené na obale .....	14
Obrázok 2: Zobrazenie DP Milupa BASIC-F .....	15
Obrázok 3: Dopad na rozpočet podľa výrobcu hodnotenej DP v rokoch 2026 - 2031 .....	21

## Použité skratky

ApoC-II	apolipoproteín C-II
ATP	adenosíntrifosfát
BA	biliárna atrézia
CACT	deficit karnitínacylkarnitíntranslokázy
CE	označenie európskej zhody, z fr. <i>Conformité Européenne</i>
CMA	analýza minimalizácie nákladov (z. angl. <i>Cost-Minimization Analysis</i> )
CoA	acetyl-koenzým A
CPT I	deficit karnitínpalmitoyltransferázy I
CPT II	deficit karnitínpalmitoyltransferázy II
DIA	diabetológ
DP	dietetická potravina
EBM	medicína založená na dôkazoch, z angl. <i>Evidence Based Medicine</i>
END	endokrinológ
ENP	detský endokrinológ
FA	mastné kyseliny., z angl. <i>Fatty Acids</i>
FL	finančný limit
IO	indikačné obmedzenie
LCFA	mastné kyseliny s dlhým reťazcom., z angl. <i>Long-Chain Fatty Acids</i>
LC-FAOD	poruchy oxidácie mastných kyselín s dlhým reťazcom, z angl. <i>Long-Chain Fatty Acid Oxidation Disorders</i>
LCT	triglyceridy s dlhým reťazcom., z angl. <i>Long Chain Triglycerides</i>
LCHAD	deficit 3-hydroxyacyl-CoA dehydrogenázy FA s dlhým reťazcom
LPL	lipoproteín lipáza
MCADD	deficit strednoreťazcovej acyl-CoA dehydrogenázy, z angl. <i>Medium-Chain Acyl-CoA Dehydrogenase Deficiency</i>
MCT	triglyceridy so stredne dlhým reťazcom, z angl. <i>Medium Chain Triglycerides</i>
MER	medicínskoekonomický rozbor
ML	množstvomý limit
MZSR	Ministerstvo zdravotníctva Slovenskej republiky
NCZI	Národné centrum zdravotníckych informácií
PED	pediater
PICO	populácia, intervencia, komparátor, výsledky; z angl. <i>Population Intervention Control Outcomes</i>
PIL	primárna intestinálna lymfangiektázia
RD	referenčná dávka
ŠÚKL	Štátny ústav pre kontrolu liečiv
TFP	deficit trifunkčného proteínu
TG	triglyceridy
VLCAD	deficit acyl-CoA dehydrogenázy FA s veľmi dlhým reťazcom
VZP	verejné zdravotné poistenie
ZHDP	zoznam kategorizovaných dietetických potravín
ZHDP	zrýchlené hodnotenie dietetickej potraviny

### Časový prehľad priebehu hodnotenia

<b>Podanie žiadosti o kategorizáciu</b>	19.12.2025
<b>Rozhodujúce začatie plynutia lehoty na vydanie rozhodnutia vo veci kategorizácie</b>	20.12.2025
<b>Vydanie NIHO hodnotenia</b>	24.04.2026
<b>Celkové trvanie hodnotenia (zohľadňuje prerušenia)</b>	126 dní

## Informácie o dokumente

### Autori

Mgr. Jana Vrťová  
Ing. Miroslava Dunárová  
Mgr. Katarína Colotková

Rola autorov: JV je prvou autorkou hodnotenia; MD je druhou autorkou hodnotenia; KC supervízovala hodnotenie.

### Podpora

Klinickí odborníci:           Odborník A:           MUDr. Renáta Szépeová, PhD.

### Vydavateľ a zodpovedný za obsah

Národný inštitút pre hodnotu a technológie v zdravotníctve  
Zámocké schody 2/A, 811 01, Bratislava  
[kancelaria@niho.sk](mailto:kancelaria@niho.sk)

### Toto hodnotenie má byť citované nasledovne

Vrťová J., Dunárová M., Colotková K.: Milupa BASIC-F na diétny režim pri poruchách metabolizmu tukov. Zrýchlené hodnotenie dietetickej potraviny ZHDP14; 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 hodnotenej intervencie Milupa BASIC-F v porovnaní s relevantnými komparátormi v indikácii na diétny režim pri poruchách metabolizmu tukov v slovenskom kontexte na úrovni ukazovateľov relevantných pre mortalitu, morbiditu, kvalitu života a závažné nežiaduce udalosti?
2. Aká je nákladová efektívnosť technológie Milupa BASIC-F?
3. Aké sú ďalšie relevantné etické, organizačné, sociálno-pacientske a právne aspekty týkajúce sa potenciálnej úhrady technológie Milupa BASIC-F?

## 1.2. Inklúzne kritériá

Inklúzne kritériá relevantných klinických štúdií sú sumarizované v tabuľke nižšie.

Tabuľka 1: PICO – Inklúzne kritériá

Populácia (z angl. Population)	
	<p><b>Diagnóza</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Poruchy metabolizmu mastných kyselín</li> <li>• Poruchy metabolizmu lipoproteínov</li> <li>• Izolovaná hypercholesterolémia</li> <li>• Glykogenóza</li> <li>• MKCH-10<sup>1</sup>: E71.3; E74.0; E78.0; E78.8</li> </ul> <p><b>Populácia podľa účelu určenia dietetickej potraviny:</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Na diétny režim pri poruchách metabolizmu tukov napr. poruchy trávenia a vstrebávania tukov, chylothorax, vrodené poruchy <math>\beta</math>-oxidácie mastných kyselín, kedy je vyžadovaná diéta s obmedzením tukov. Špeciálna výživa s veľmi nízkym obsahom tuku (&lt;0,1 g/100 ml), s bielkovinou kravského mlieka, sacharidmi, vitamínmi, minerálnymi látkami a stopovými prvkami, v prášku.</li> </ul> <p><b>Populácia, pre ktorú výrobca požaduje úhradu:</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• <u>Návrh indikačného obmedzenia:</u> Hradená liečba sa môže indikovať 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, v metabolickej ambulancii Detskej fakultnej nemocnice s poliklinikou Banská Bystrica a v metabolickej ambulancii Detskej fakultnej nemocnice Košice u pacientov s poruchami metabolizmu tukov napr. poruchami trávenia a vstrebávania tukov, kedy je vyžadovaná diéta s obmedzením tukov.</li> <li>• Návrh preskripčného obmedzenia: DIA, PED, ENP, END</li> <li>• Návrh množstvomého a finančného limitu: nie</li> <li>• Obmedzenie úhrady zdravotnej poisťovne na jej predchádzajúci súhlas: nie</li> </ul>
Intervencia (z angl. Intervention)	
	<b>Milupa BASIC-F</b> p.o. plv. 1x300 g
Komparátor (z angl. Control)	
	<b>Milupa Basic-F</b> por. sol 600g (2x300 g) v režime na výnimku podľa §88 zákona 363/2011 Z.z
Ukazovatele (z angl. Outcomes)	
Klinická účinnosť	<p><b>Mortalita</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• <b>OS</b> (z angl. overall survival; celkové prežítvanie)</li> </ul>

<sup>1</sup> Medzinárodná klasifikácia chorôb - 10. revízia

	<p><b>Morbidita</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Akumulácia metabolických intermediátov</li> <li>• Aktivita lipoproteín lipázy</li> <li>• Zvýšená prítomnosť mastných kyselín v krvi</li> <li>• Výskyt chilomikrónov v plazme</li> </ul> <p><b>Kvalita života</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• <b>HRQoL</b> (z angl. health-related quality of life) meraná cez dotazník EQ-5D<sup>2</sup> a dotazníky špecifické pre ochorenie</li> </ul>
Bezpečnosť	Frekvencia výskytu nežiaducich udalostí
Dizajn štúdií (z angl. <b>Study design</b> )	
Klinická účinnosť	<p>Randomizované kontrolované štúdie (RCTs) a metaanalýzy z nich ak nie sú dostupné, tak:</p> <p>Prospektívne nerandomizované kontrolované štúdie</p> <p>Nepriame porovnania zachovávajúce kauzalitu</p> <p>Ak nie sú dostupné, tak ďalšie dáta podľa hierarchie dôkazov EBM</p>
Bezpečnosť	<p>RCTs a metaanalýzy z nich ak nie sú dostupné, tak:</p> <p>Prospektívne nerandomizované kontrolované štúdie</p> <p>Nepriame porovnania zachovávajúce kauzalitu</p> <p>Prospektívne observačné štúdie</p> <p>Jednoramenné štúdie</p> <p>Ak nie sú dostupné, tak ďalšie dáta podľa hierarchie dôkazov EBM</p>
Ekonomické hodnotenie	Podklady výrobcu k ekonomickému hodnoteniu (medicínskoekonomický rozbor) a ďalšie zdroje
Etické, organizačné, sociálno-pacientské a právne aspekty	Vstupy od zástupcov pacientov a odborníkov a z výsledkov hodnotenia.

<sup>2</sup> [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).
- Hodnotenia NIHO č. ZHDP15.
- Ručné vyhľadávanie na webových stránkach relevantných zahraničných inštitúcií a pacientskych organizácií (NORD<sup>3</sup>) a ďalšie zdroje.

Pre účely zapojenia odborníkov a pacientskych organizácií bolo dňa 18.03.2026 zverejnené oznámenie o hodnotení na webovej stránke NIHO. Termín pre zaslanie vstupu do hodnotenia bol 01.04.2026. Do hodnotenia sa nezapojil žiadny odborník ani pacientska organizácia. V procese hodnotenia sme s relevantnými otázkami oslovili jednu klinickú odborníčku, ktorá sa do hodnotenia zapojila. Zároveň prebehla komunikácia ohľadom konkrétnych otázok s členmi Kategorizačnej komisie pre dietetické potraviny zo všetkých slovenských zdravotných poisťovní.

### Vysvetlenie k používaniu začierňovania 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 vyčiernil 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.

<sup>3</sup> [NORD](#) z angl. National Organization for Rare Disorders

### 3. Zdravotný problém a postavenie v klinickej praxi

#### 3.1. Základná charakteristika ochorenia

Lipidy zohrávajú v organizme dôležitú úlohu ako zdroj energie, stavebná zložka bunkových membrán a prekursori rôznych biologicky aktívnych molekúl. Ich metabolizmus zahŕňa komplexný súbor procesov. Poruchy metabolizmu tukov majú rôznorodú etiológiu. Okrem vrodených foriem sa môžu vyskytnúť aj sekundárne poruchy, ktoré vznikajú v dôsledku iných ochorení alebo vplyvom environmentálnych faktorov [1].

**Poruchy oxidácie mastných kyselín s dlhým reťazcom** (LC-FAOD, z angl. Long-Chain Fatty Acid Oxidation Disorders) sú zriedkavé, život ohrozujúce, autozomálne recesívne genetické ochorenia, ktoré sú charakterizované akútnymi poruchami v produkcii energie a chronickým deficitom energie. Mastné kyseliny (FA, z angl. Fatty Acids) s krátkym a stredne dlhým reťazcom sú schopné priamo vstupovať do mitochondrií, zatiaľ čo FA s dlhým reťazcom (LCFA, z angl. Long-Chain Fatty Acids) vyžadujú transportný mechanizmus zložený z 3 enzýmov a karnitínu. LC-FAOD sú spôsobené deficitom jedného z týchto enzýmov alebo poruchou v jednom zo štyroch krokov  $\beta$ -oxidácie. Do tejto skupiny ochorení patria deficit karnitínpalmitoyltransferázy I a II (CPT I, CPT II), deficit karnitínacylkarnitíntranslokázy (CACT), deficit acyl-CoA dehydrogenázy FA s veľmi dlhým reťazcom (VLCAD), deficit 3-hydroxyacyl-CoA dehydrogenázy FA s dlhým reťazcom (LCHAD) a deficit trifunkčného proteínu (TFP). Najčastejší je práve deficit VLCAD [2].

Podstatou  $\beta$ -oxidácie je postupné odštiepenie dvojuhlíkového acetyl-koenzýmu A (CoA) z reťazca FA a prenos elektrónov do respiračného reťazca na produkciu adenosíntrifosfátu (ATP). Acetyl-CoA slúži ako substrát v citrátovom cykle alebo na syntézu ketolátok. Ketolátky predstavujú kľúčový alternatívny zdroj energie pre mozog, myokard, svaly, obličky a ďalšie tkanivá. Táto energia je kritická najmä počas hladovania, kedy nie je dostupná glukóza, a počas fyziologického stresu. Narušená oxidácia FA vedie k akumulácii metabolických intermediátov v krvi a orgánoch a k systémovým prejavom, akými sú hypoglykémia (nízka hladina cukru v krvi), hyperamoniémia (zvýšená hladina amoniaku) a acidóza. Medzi typické klinické symptómy LC-FAOD patrí kardiomyopatia (ochorenie srdcového svalu) a rekurentná rabdomyolýza (rozpad svalových vlákien) [2].

Testovanie mitochondriálnych porúch oxidácie FA je na Slovensku súčasťou novorodeneckého skríningu. Celková incidencia LC-FAOD sa odhaduje na 1 z 9 300 jedincov, čo je hodnota pozorovaná v USA, Austrálii aj Nemecku, pričom podobný výskyt sa predpokladá celosvetovo [2].

**Deficit strednoreťazcovej acyl-CoA dehydrogenázy** (MCADD, z angl. Medium-Chain Acyl-CoA Dehydrogenase Deficiency) je autozomálne recesívne ochorenie charakterizované poruchou  $\beta$ -oxidácie mastných kyselín v mitochondriách. MCADD je spôsobený nedostatkom enzýmu Acetyl-CoA dehydrogenázy, ktorý katalyzuje prvý krok  $\beta$ -oxidácie. Pokiaľ je enzým v nedostatočnom množstve, alebo je nefunkčný, je narušený celý metabolický proces a organizmus nedokáže vytvárať energiu z tukov [3, 4].

Ochorenie je zvyčajne diagnostikované v prvých dvoch rokoch života. Symptómy sa zvyčajne objavia pri období hladovania (napr. zníženie počtu kŕmení dieťaťa v noci, prítomnosť horúčky, kedy klesá chuť do jedla). Medzi charakteristické prejavy MCADD zaraďujeme hypoglykemické stavy, ktoré môžu viesť k zvracaniu, upadnutiu do kómy a smrti. Ďalšími príznakmi, úzko súvisiacimi s hypoglykemiou, je prítomnosť hepatomegálie, letargia, kŕče, a zvýšenie hladín mastných kyselín v krvi [5].

Diagnostika MCADD je na Slovensku súčasťou novorodeneckého skríningu [6]. Celosvetovo je odhadovaná prevalencia 1 : 50 000 narodených detí [3].

**Hyperlipoproteinémia typu 1** (familiálna deficiencia lipoproteínovej lipázy) je vzácne, autozomálne recesívne ochorenie, charakterizované zvýšeným množstvom chylomikrónov v plazme, spolu s výrazne zvýšenými hladinami triglyceridov (TG) a mierne zvýšenou hladinou celkového cholesterolu. Je zapríčinená nedostatkom enzýmu lipoproteín lipázy (LPL) alebo jej aktivátora apolipoproteín C-II (ApoC-II) [3].

Chylomikróny sú veľké lipoproteínové častice zodpovedné za transport tukov prijatých potravou z čreva do ostatných tkanív v tele. Skladajú sa z tukov prijatých potravou, ktoré sú po natrávení na mastné kyseliny resyntetizované na TG a spolu s cholesterolem, fosfolipidmi a apolipoproteínmi vytvárajú chylomikróny. Následne sú secernované do lymfy a transportované krvou k cieľovým tkanivám (svaly, tukové tkanivo). Odbúvanie chylomikrónov sa uskutočňuje pôsobením endotelovej LPL, ktorá je aktivovaná ApoC-II. Chylomikróny sú naštiepené a vznikajú z nich voľné mastné kyseliny a glycerol, ktoré sú zdrojom energie. Nedostatok enzýmu LPL, alebo jeho aktivátora ApoC-II, spôsobuje nedostatočné odbúvanie chylomikrónov [7].

Deficit LPL sa manifestuje už v ranom detstve. Približne v 25 % prípadov sa symptómy rozvinú pred prvým rokom života a vo väčšine prípadov sa rozvinú pred 10. rokom. Charakteristickými príznakmi sú porucha rastu, kolikovitá bolesť brucha a eruptívne xantómy. Vo výnimočných prípadoch sa deficit LPL môže manifestovať až v dospelosti (po prijatí potravy bohatej na tuky, alebo počas tehotenstva). Homozygotných pacientov s deficitom LPL je pomerne jednoduché identifikovať na základe symptómov. Heterozygotní pacienti majú zreteľne nižšiu aktivitu LPL ako zdravý človek, avšak je na nich náročné rozoznať symptómy ochorenia. Zvyčajne je u nich prítomná familiárna kombinovaná hyperlipidémia a k zníženej aktivite LPL sú často pridružené iné faktory (napr. obezita, hyperinzulinémia, užívanie liekov, zvyšujúcich hladinu tukov) [7, 8].

Diagnostika je založená hlavne na laboratórnom meraní aktivity LPL. Diagnózu je potrebné potvrdiť pomocou genetického testu. Prevalencia hyperlipoproteinémie v bežnej populácii je približne 1 : 1 000 000 [8].

**Chylotorax** je zriedkavý stav, pri ktorom vzniká poškodenie hrudného lymfatického kanála, čo ovplyvňuje schopnosť tela efektívne transportovať chylus [9].

Chylus je mliečna tekutina, ktorá vzniká absorpciou chylomikrónov do lymfatického systému, kde sa zmiešajú s lymfou a vzniká tekutina s mliečnym vzhľadom bohatá na triglyceridy s dlhým reťazcom (LCT, z angl., Long Chain Triglycerides), vitamíny rozpustné v tukoch, lymfocyty a imunoglobulíny. Lymfatický odtok z čreva sa spája s odtokom z dolných končatín a vytvára systém hrudného kanála, ktorý nakoniec ústi do systémového krvného obehu. Ak dôjde k porušeniu integrity hrudného kanála, chylus začne unikať do okolitých štruktúr. Prítomnosť chylu v pleurálnom priestore môže viesť k vzniku dýchacích ťažkostí, imunologickým problémom kvôli strate lymfocytov, alebo problémom s výživou. Chylotorax môže vzniknúť ako dôsledok traumy, ako pooperačná komplikácia alebo ako kongenitálna abnormalita [9].

Diagnostika chylotoraxu je založená na analýze pleurálnej tekutiny a potvrdení prítomnosti lymfy bohatej na tuky [10].

**Primárna intestinálna lymfangiektázia (PIL)**, známa ako Waldmannova choroba, je raritné ochorenie gastrointestinálneho traktu charakterizované rozšírením lymfatických ciev, čo vedie k úniku lymfy do črevného lúmenu [11]. Únik lymfy vedie u pacienta k strate bielkovín. Stav sa najčastejšie prejavuje hypoalbuminémiou a edémom dolných končatín. Ďalšími symptómami, ktoré sú prítomné u pacientov, sú tráviace problémy, bolesť brucha, nevoľnosť, strata váhy a celkové spomalenie rastu. PIL je vo väčšine prípadov potvrdená u detí do troch rokov, v niektorých prípadoch však môže dôjsť k rozvinutiu symptómov a určení diagnózy až v dospelosti [3, 12].

Príčina vzniku PIL nie je známa. Diagnostika ochorenia je možná na základe prítomných symptómov a následného laboratórneho vyšetrenia krvi a stolice. Celkové potvrdenie diagnózy sa vykonáva endoskopiou čreva a biopsiou postihnutého tkaniva [4, 12].

**Biliárna atrézia (BA)** je vzácne ochorenie charakterizované neschopnosťou vylučovať žlč. Manifestuje sa v prvých týždňoch po narodení (4 – 8 týždňoch) a môže viesť k cholestáze, biliárnej cirhóze a zlyhaniu pečene. Symptómy BA zahŕňajú žltáčku a zmeny farby stolice a moču. Žltáčka je spôsobená hromadením bilirubínu, ktorý vzniká v tele v dôsledku zhoršeného vylučovania žlče. Stolica má u pacientov bledú alebo sivú farbu, zatiaľ čo moč nadobúda tmavozltú alebo hnedú farbu [13].

Patológia ochorenia je komplexná a zahŕňa zápalové mechanizmy, imunitnú odpoveď organizmu a vírusové ochorenie, alebo genetickú predispozíciu.

Diagnostika BA je pomerne náročná a konečnú diagnózu je možné určiť len pomocou cholangiografu. Vyšetrenie hladiny bilirubínu je potrebné vykonať u všetkých narodených detí, u ktorých trvá novorodenecká žltacka viac ako 3 týždne. Incidencia BA v západných krajinách je 1 : 15 000 – 1 : 20 000 narodených detí [14].

### 3.2. Manažment a liečba pacienta

Akútny manažment **LC-FAOD** je zameraný na prevenciu a riešenie metabolických dekompenzácií. Hlavným cieľom je eliminácia spúšťačov, predovšetkým hladovania, nadmernej fyzickej záťaže a emocionálneho stresu. Bežné nočné hladovanie je pre väčšinu pacientov bezpečné, pričom väčšina odborných usmernení odporúča maximálne 8 až 10 hodín. Pri prvých akútnych prejavoch je nutné skrátiť intervaly medzi jedlami a zvýšiť príjem sacharidov. Ak však pacient trpí zvracaním alebo neschopnosťou prijímať potravu, je nevyhnutná hospitalizácia s podaním intravenózne 10 % dextrózy s elektrolytmi [2].

Dlhodobá starostlivosť pri LC-FAOD spočíva v celoživotnej úprave stravy. Obmedzený je príjem tukov s dlhým reťazcom na 20 až 30 % celkovej energie. Kľúčovú náhradu tvoria triglyceridy so stredne dlhým reťazcom (MCT), ktoré obchádzajú metabolický blok a prenikajú do mitochondrií priamo bez potreby transportérov. Podávanie MCT oleja 30 až 45 minút pred namáhavým cvičením znižuje akumuláciu tukov s dlhým reťazcom. Pomer MCT k bežným tukom sa určuje podľa závažnosti stavu pacienta. Súčasťou liečby je pravidelný monitoring esenciálnych FA a pri LCHAD a TFP aj suplementácia kyseliny dokozahexaénovej (DHA). Pacienti sú vystavení riziku deficitu vitamínov rozpustných v tukoch a môžu vyžadovať ich suplementáciu. Napriek dôslednému dodržiavaniu režimu pacienti naďalej čelia zvýšenému riziku hospitalizácií a orgánových komplikácií [2].

Nutričný manažment LC-FAOD v dojčenskom veku by mal zabezpečiť, aby 40 % až 45 % celkovej energie pochádzalo z tukov, pričom minimálne 10 % by mal tvoriť príjem FA s dlhým reťazcom, kvôli čomu nemôžu byť zo stravy úplne vylúčené. Materské mlieko má vysoký obsah tukov, preto môže byť u symptomatických dojčiat nevyhnutné dojčenie pozastaviť. Dojčatá s miernym alebo asymptomatickým priebehom môžu byť dojčené, no odporúčané je striedanie dojčenia s metabolickou dojčenskou výživou s obsahom MCT, prípadne obohacovanie materského mlieka touto dojčenskou výživou [2].

Pri manažmente **MCADD** je nutné vyhnúť sa dlhodobému hladovaniu a strava by mala byť pacientovi poskytovaná každé 2-3 hodiny. Odporúčané je prijímať stravu, ktorá neobsahuje viac ako 30 % tuku. Pacienti by sa nemali vystavovať vynechávaniu jedál a diétam založeným na hladovaní [5].

Liečba **hyperlipoproteinémie** je založená na prijímaní potravy vhodnej na udržanie hladiny triglyceridov pod hranicou 2000 mg/dl, čo zabraňuje opakovaným bolestiam brucha. Obmedzenie príjmu tukov v strave na  $\leq 20$  g/deň alebo 15 % celkového príjmu energie zvyčajne postačuje na zníženie koncentrácie triglyceridov v plazme a na udržanie pacienta bez príznakov ochorenia [8]. Pri manažmente ochorenia je dôležité absolútne vylúčenie alkoholu. Zároveň je potrebné dodať pacientovi tuk vo forme FA so stredne dlhým reťazcom. U pacientov je nutné pravidelne substituovať vitamíny rozpustné v tukoch (A, D, E). V prípade, že dietetické opatrenia neznížia hladinu TG pod 10,5 mmol, odporúča sa medikamentózna liečba [7].

Liečba **chylotoraxu** závisí od príčiny a závažnosti ochorenia. Je sústredená na riešenie prvej príčiny vzniku, upravenie stravy pre zníženie produkcie chylu, nasadenie medikamentóznej liečby, poprípade operačný zákrok [9, 10]. Ako primárny zdroj tukov sú používané triglyceridy s krátkym alebo stredne dlhým reťazcom (MCT), ktoré nie sú súčasťou chylu a sú vstrebávané priamo do krvi [15].

Podľa odporúčaní je pri **PIL** nutné dodržiavať striktnú nízkotukovú diétu obohatenú o MCT. Pacientom sa zároveň odporúča vysoko proteínová diéta, ktorá kompenzuje stratu bielkovín. Odporúčané je taktiež dopĺňať vitamíny rozpustné v tukoch, vápnik a horčík. Pri komplikáciách alebo ťažkých formách môžu pacienti užívať lieky na zníženie toku lymfy a tlaku v lymfatických cievach. V prípade lokalizovanej formy ochorenia je možné postihnúť časť čreva chirurgicky odstrániť [12].

Jediná metóda pre liečbu **biliárnej atrézie** je riešenie pomocou operácie Kasai, kedy je obnovená cesta z pečene do tenkého čreva a žlč tak môže byť opäť vylučovaná z pečene. Nutričná podpora počas čakania na operáciu

zabezpečuje prežitie a podporuje primeraný rast a vývoj. Diétny manažment BA vyžaduje výživu obohatenú o MCT, prispôsobenú podľa rozsahu malabsorpcie tukov [3].

### 3.3. Opis intervencie

Milupa BASIC-F je dietetická potravina s veľmi nízkym obsahom tuku (<0,1 g/100 ml), ktorá obsahuje bielkovinu kravského mlieka, sacharidy, vitamíny, minerály a stopové prvky. Kvôli absencii zdroja tuku ide o nutrične nekompletnú potravinu. Na zabezpečenie potreby esenciálnych mastných kyselín je možné pridať vhodné množstvo a typ tuku. Presné výživové údaje sú zobrazené na obrázku nižšie (Obrázok 1).

Množstvo a riedenie výživy určí lekár alebo pracovník kvalifikovaný v oblasti klinickej výživy v závislosti od veku, telesnej hmotnosti a zdravotného stavu pacienta.

Na dosiahnutie odporúčanej koncentrácie je podľa návodu na použitie na každú zarovnanú odmerku (4,8 g prášku) potrebné pridať 30 ml vody. Kým pacient začne výživu tolerovať, je možné použiť nižšiu koncentráciu DP.

Výživu je možné pripraviť na podanie z dojčenskej fľaše, popíjanie alebo aplikáciu pomocou sondy. Je potrebné ju pripravovať z prevarenej dojčenskej alebo čerstvej vody ochladenej na dostatočnú teplotu. Po pridaní odporúčaného množstva prášku je nutné ho zamiešať, kým sa nerozpustí. V prípade, ak nie je výživa spotrebovaná do jednej hodiny od prípravy, je nutné ju zlikvidovať. Výživa sa nesmie počas podávania ohrievať.

DP Milupa BASIC-F je potrebné skladovať na suchom a chladnom mieste a plechovku po každom použití dobre uzatvoriť. Obsah je nutné spotrebovať do 1 mesiaca po otvorení balenia. Balenie hodnotenej DP je zobrazené nižšie (Obrázok 2) [návod na použitie, 3].

Obrázok 1: Výživové údaje DP Milupa BASIC-F uvedené na obale

Výživové údaje	na 100 g prášku:	na 100 ml výživy:*	Výživové údaje	na 100 g prášku:	na 100 ml výživy:*
<b>Energia</b>	1613 kJ	232 kJ	Vápnik	439 mg	63,2 mg
	380 kcal	55 kcal	Fosfor	279 mg	40,2 mg
<b>Tuky</b>	0,56 g	0,08 g	Horčík	47,0 mg	6,77 mg
z toho			Železo	6,79 mg	0,98 mg
Nasýtené mastné kyseliny	0,39 g	0,06 g	Zinok	3,67 mg	0,53 mg
<b>Sacharidy</b>	79,6 g	11,5 g	Meď	0,35 mg	0,051 mg
z toho cukry	32,4 g	4,7 g	Mangán	0,04 mg	0,006 mg
- Laktóza	31,2 g	4,49 g	Molybdén	22,9 µg	3,30 µg
<b>Vláknina</b>	0 g	0 g	Selén	14,8 µg	2,14 µg
<b>Bielkoviny</b>	14,0 g	2,0 g	Chróóm	10,4 µg	1,50 µg
<b>Soľ</b>	0,47 g	0,07 g	Jód	74,6 µg	10,7 µg
<b>Vitamíny</b>			<b>Iné</b>		
Vitámín A	485 µg	69,8 µg	L-karnitín	6,95 mg	1,00 mg
Vitámín D	10,0 µg	1,44 µg	Cholín	125 mg	18,0 mg
Vitámín E	7,5 mg	1,08 mg	Inozitol	90,3 mg	13,0 mg
	(5,54 mg α-TE)	(0,8 mg α-TE)	Taurín	6,26 mg	0,90 mg
Vitámín K	20,8 µg	3,00 µg	Osmolarita	225 mOsmol/l	
Tiámín	0,42 mg	0,06 mg			
Riboflavín	0,83 mg	0,12 mg			
Niacín	4,14 mg	0,60 mg			
	(7,72 mg NE)	(1,11 mg NE)			
Kyselina pantoténová	2,40 mg	0,35 mg			
Vitámín B <sub>6</sub>	0,31 mg	0,04 mg			
Kyselina listová	53,8 µg	7,74 µg			
Folát	99,1 µg	14,3 µg			
Vitámín B <sub>12</sub>	1,19 µg	0,17 µg			
Biotín	12,6 µg	1,81 µg			
Vitámín C	57,3 mg	8,25 mg			
<b>Minerálne látky a stopové prvky</b>					
Sodík	188 mg	27,1 mg			
Draslík	494 mg	71,2 mg			
Chlorid	307 mg	44,2 mg			

\* Pri štandardnom riedení (14,4 % obj.)

Zdroj: [3]

Obrázok 2: Zobrazenie DP Milupa BASIC-F



Zdroj: [3]

### 3.4. Účel určenia

Na diétny režim pri poruchách metabolizmu tukov napr. poruchy trávenia a vstrebávania tukov, chylothorax, vrodené poruchy -oxidácie mastných kyselín, kedy je vyžadovaná diéta s obmedzením tukov. Špeciálna výživa s veľmi nízkym obsahom tuku ( $<0,1\text{ g}/100\text{ ml}$ ), s bielkovinou kravského mlieka, sacharidmi, vitamínmi, minerálnymi látkami a stopovými prvkami, v prášku. Nevhodné ako jediný zdroj výživy. Určené pre dojčatá a deti.

Úrad verejného zdravotníctva Slovenskej republiky (ÚVZSR) prijal dňa 28.02.2025 oznámenie o umiestnení potraviny na osobitné lekárske účely Milupa BASIC-F, od výrobcu Milupa GmbH., na trh v Slovenskej republike.

### 3.5. Požadované podmienky úhrady

Výrobca žiada o vytvorenie a zaradenie do novej podskupiny V06Cxxx Doplnková výživa pri poruchách metabolizmu tukov pre dojčatá a deti p.o. plv.

Pre DP Milupa BASIC-F navrhuje výrobca maximálnu cenu vo verejnej lekárni vo výške 24,03 € za balenie 1x300 g, pričom počítal s 19 % DPH. Ako jednotku referenčnej dávky (RD) výrobca uvádza 100 ml. V jednom balení je podľa žiadosti 20,833 RD. Výrobca navrhuje maximálnu výšku úhrady zdravotnej poisťovne za jednotku RD vo výške 1,153458 €.

#### Navrhované indikačné obmedzenie:

Hradená liečba sa môže indikovať 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, v metabolickej ambulancii Detskej fakultnej nemocnice s poliklinikou Banská Bystrica a v metabolickej ambulancii Detskej fakultnej nemocnice Košice u pacientov s poruchami metabolizmu tukov napr. poruchami trávenia a vstrebávania tukov, kedy je vyžadovaná diéta s obmedzením tukov.

Navrhované preskripčné obmedzenie (PO): DIA (diabetológ), END (endokrinológ), ENP (detský endokrinológ), PED (pediater)

Finančný limit (FL) a množstvový limit (ML): výrobca v žiadosti neuvádza návrh FL ani ML.

### **3.6. Relevantné komparátory**

Za relevantný komparátor pre hodnotenú DP Milupa BASIC-F p.o. plv. 1x300 g považujeme DP Milupa BASIC-F p.o. plv. 1x300 g, ktorá je aktuálne hradená z verejného zdravotného poistenia podľa §88 zákona 363/2011 Z.z.

Uvedenú DP považuje aj výrobca za relevantný komparátor.

Hodnotená DP je aktuálne hradená z verejného zdravotného poistenia na výnimku a podľa dát Národného centra zdravotníckych informácií (NCZI) o spotrebe hradených DP za 1. – 4. kvartál 2025 [16] predstavuje spotreba vykazovanej DP Milupa Basic-F por. sol 600g (2x300g) 161 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 voči komparátoru.

### **4.2. Klinické dôkazy o bezpečnosti**

Nebola predložená štúdia, ktorá by sledovala bezpečnosť hodnotenej DP.

DP bola na trh uvedená v súlade s požiadavkami na zloženie potravín na osobitné lekárske účely (FSMP, z angl. Food for Special Medical Purposes) podľa Delegovaného nariadenia Komisie (EÚ) 2016/128.

### **4.3. Diskusia k hodnoteniu klinického prínosu**

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

Klinickú účinnosť hodnotenej DP môžeme predpokladať na základe jej zloženia a patofyziologického mechanizmu ochorení, pre ktoré je DP určená. Podľa odporúčaní je nízky obsah tukov v strave nutný v rámci nutričného manažmentu ochorení metabolizmu tukov [2, 7, 10, 12].

## 5. Hodnotenie nákladovej efektívnosti

### 5.1. Opis a hodnotenie predloženej medicínskoekonomickej analýzy

Za základný scenár považujeme analýzu v MER dodanom výrobcom dňa 19.12.2025.

#### 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 Milupa BASIC-F, 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 o podobnej účinnosti. Klinická účinnosť hodnotenej dietickej potraviny nebola preukázaná klinickou štúdiou (diskusia je uvedená v časti 4).

#### 5.1.3. Náklady

Výrobca v rámci nákladov v CMA počíta s úhradou zdravotnej poisťovne za DP Milupa BASIC-F vo výške 1,153458 €/100 ml (1 RD). Počet RD v jednom balení je 20,833, navrhovaná úhrada DP tak predstavuje 24,03 € za balenie 1x300 g.

Navrhovaná maximálna cena DP vo verejnej lekárni je 24,03 €.

Náklady na komparátor Milupa BASIC-F výrobca uvádza vo výške aktuálnej úhrady zdravotnej poisťovne za DP uhrádzanú podľa §88 zákona 363/2011 Z.z vo výške 61,06 €/balenie. Presnú dennú dávku u predmetnej DP nie je možné stanoviť vzhľadom k odlišným potrebám každého pacienta.

Stanovisko k adekvátnosti predloženého nastavenia:

**Neakceptujeme** nastavenie výrobcu. Podrobnú diskusiu uvádzame v bodoch nižšie:

- **Neakceptujeme** náklady na komparátor Milupa BASIC-F vo výnimkovom režime.
  - Výrobca hodnotenej DP nedoložil žiadny zdroj údajov, na základe ktorého by bolo možné overiť uvedené náklady na komparátor.
  - Uvedená suma bola overená u zástupcov poisťovne [REDACTED], ktorí uvádzajú, že predmetná DP bola poisťovňou uhrádzaná vo výške [REDACTED] €. Poisťovňa [REDACTED] uviedla, že predmetná DP bola ich poisťovňou uhrádzaná vo výške [REDACTED] €.
  - Máme za to, že maximálna cena DP vo verejnej lekárni a maximálna úhrada zdravotnej poisťovne by mala zodpovedať v súčasnosti najnižšej sume, za ktorú sa uhrádza intervencia vo výnimkovom režime. Ako úhradu v NIHO scenári preto aplikujeme nižšiu z uvedených úhrad vo výške [REDACTED] €.
  - **Vysoká neistota** plynie z nejasného vykazovania DP v dátach o spotrebe.
    - Výrobca žiada o úhradu zo ZP za balenie s veľkosťou 1x300 g. V dátach o spotrebe DP zverejnených NCZI za posledný plávajúci rok je DP uvedená ako Milupa Basic-F por. sol 600g (2x300 g) pod kódom DX006 [16]. Pod rovnakým názvom je uvedená aj v údajoch z účtu poisťovne [17].

- Z uvedeného nie je jasné, či bola deklarovaná úhrada za balenie 2x300 g, alebo za balenie 1x300 g. Zároveň nie je z dát poskytnutých poisťovňami možné zistiť, aká veľkosť balenia bola pacientom uhrádzaná.
  - V prípade, že by bola vo výnimkovom režime DP uhrádzaná vo výške ■■■ € za balenie 2x300 g, náklady na komparátor s veľkosťou balenia 300 g by boli ■■■ €.
  - Výrobcom požadovaná úhrada vo výške 24,03 € by teda nebola nákladovo efektívna. Na základe uvedeného predkladáme v kapitole 5.2.2 alternatívny scenár.
- **Akceptujeme** uvedené náklady na intervenciu.

## 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 Milupa BASIC-F pri požadovanej úhrade zdravotnej poisťovne vo výške 24,03 € voči komparátoru nižšie náklady o 37,05 €.

Tabuľka 2: Výsledky základného scenára CMA predloženého výrobcom

Výsledky	Intervencia Milupa BASIC-F	Komparátor Milupa BASIC-F
Náklady (€)	24,03	61,06
Inkrementálne náklady (€)	-	<b>-37,05</b>

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 analýzy nákladovej efektívnosti voči nastaveniu výrobcu aplikovali tieto zmeny:

- V súlade s časťou 5.1.3 sme upravili náklady za komparátor.

Ako vyplýva z tabuľky nižšie (Tabuľka 3), v NIHO nastavení dosahuje intervencia Milupa BASIC-F pri požadovanej úhrade vo výške 24,03 €/1x300 g balenie v rámci analýzy minimalizácie nákladov nižšie náklady voči komparátoru o ■■■ € a spĺňa podmienku nákladovej efektívnosti.

Tabuľka 3: Výsledky nákladovej efektívnosti podľa NIHO - CMA

Výsledky	Intervencia Milupa BASIC-F	Komparátor Milupa BASIC-F
Náklady (€)	24,03	■■■
Inkrementálne náklady (€)	-	■■■

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

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

- Účinnosť hodnotenej DP nebola výrobcom preukázaná. Nebol predložený dôkaz klinickej účinnosti (kapitola 4).
- Vzhľadom na to, že údaje o skutočných úhradách zo strany zdravotných poisťovní nebolo možné overiť u všetkých poisťovní, hodnotenie analýzy nákladovej efektívnosti je založené na údajoch deklaroványch dvomi poisťovňami a výrobcom, čo predstavuje významný zdroj neistoty (kapitola 5.1.3).
- Nejasnosti vo veľkosti uhrádzaného balenia. Diskusia k nesúladu veľkosti balenia hodnotenej DP a veľkosti balenia DP hradenej vo výnimkovom režime je uvedená v kapitole 5.1.3.

### Alternatívny scenár

Vzhľadom na vysokú neistotu vyplývajúcu z nesúladu medzi výrobcom uvedenou veľkosťou balenia DP hradenej vo výnimkovom režime (1x300 g) a veľkosťou balenia vykazovanou v dátach NCZI (2x300 g) predkladáme alternatívny scenár, v ktorom uvádzame náklady na komparátor vo výške ■■■ €/2x300 g balenie, teda ■■■ €/1x300 g balenie.

Ako vyplýva z tabuľky nižšie (Tabuľka 4), v alternatívnom scenári (ak by sa uvedená výška úhrady vo výnimkovom režime vzťahovala na dvojbalenie DP) dosahuje intervencia Milupa BASIC-F pri požadovanej úhrade vo výške 24,03 €/1x300 g balenie v rámci analýzy minimalizácie nákladov vyššie náklady voči komparátoru o ■■■ €. Aby bola Milupa BASIC-F nákladovo efektívna, maximálna výška úhrady zdravotnej poisťovne za 1 balenie DP Milupa BASIC-F by mohla byť maximálne vo výške ■■■ € (■■■ €/100 ml (1RD)), čo predstavuje zľavu ■■■ % voči požadovanej úhrade **24,03 €**.

Tabuľka 4: Alternatívny scenár nákladovej efektívnosti pre DP Milupa BASIC-F podľa NIHO - CMA

Výsledky	Intervencia Milupa BASIC-F	Komparátor Milupa BASIC-F
Náklady (€)	24,03	■■■
Inkrementálne náklady (€)		■■■

Zdroj: NIHO spracovanie

## 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 19.12.2025.

Predpokladaný počet pacientov a dopad na rozpočet podľa výrobcu je uvedený na obrázku nižšie (Obrázok 3). Výrobca v MER uvádza, že počet pacientov bol stanovený na základe kvalifikovaných odhadov. Výrobca predpokladá použitie 56,25 balení / pacienta / rok.

Výrobca predpokladá zaradenie do zoznamu kategorizovaných dietetických potravín k 1.7.2026.

Návrh maximálnej sumy úhrad zdravotných poisťovní za DP v 3. plávajúci rok od zaradenia DP do ZKDP je 10,8-tis. €. Výrobca konštatuje, že zaradenie predmetnej DP do ZKDP nebude predstavovať zvýšenie nákladov na úhradu z prostriedkov verejného zdravotného poistenia.

Obrázok 3: Dopad na rozpočet podľa výrobcu hodnotenej DP v rokoch 2026 - 2031

rok	počet pacientov v	Komparátor		Zaraďovaná DP		Dopad na rozpočet vs komparátor
		náklady na 1 pacienta/roky (eur)	náklady na pacientov/roky (eur)	náklady na 1 pacienta/roky (eur)	náklady na pacientov/roky (eur)	
2026	8	3420,00	27360,00	1346,00	10768,00	-16 592,00 €
2027	8	3420,00	27360,00	1346,00	10768,00	-16 592,00 €
2028	8	3420,00	27360,00	1346,00	10768,00	-16 592,00 €
2029	8	3420,00	27360,00	1346,00	10768,00	-16 592,00 €
2030	8	3420,00	27360,00	1346,00	10768,00	-16 592,00 €
2031	8	3420,00	27360,00	1346,00	10768,00	-16 592,00 €

Zdroj: [3]

### 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 Milupa BASIC-F s výrobcom navrhovanou úhradou bude vznikáť šetriaci dopad na rozpočet.

**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. 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**

DP Milupa BASIC-F je určená pre diétny manažment ochorení, ktoré sú často dedičné a raritné. Nedostupnosť vhodných nízkotukových náhrad stravy môže vážne ohroziť život detí.

Vzhľadom na to, že ide o závažné a ojedinelé ochorenia, nie je možné vykonávať kontrolované štúdie a teda generovať dôkazy o prínosoch hodnotenej dietetickej potraviny.

### **7.2. Organizačné aspekty**

Odporúčaný príjem hodnotenej DP určuje lekár alebo pracovník kvalifikovaný v oblasti klinickej výživy. Konkrétne množstvo je závislé od veku, telesnej hmotnosti a zdravotného stavu pacienta. Vzhľadom na to, že často ide o pacientov od narodenia, je nutná úzka spolupráca pediatra, nutričného terapeuta a edukácia rodičov.

### **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 právne aspekty.

## 8. Zdroje

- [1] Natesan, V., & Kim, S.-J. (2021). Lipid Metabolism, Disorders and Therapeutic Drugs - Review. *Biomolecules & Therapeutics*, 29(6), 596–604. <https://doi.org/10.4062/biomolther.2021.122>
- [2] Dunárová M., Vrťová J., Colotková K.: Monogen na diétny režim pri ochoreniach vyžadujúcich nízky príjem triglyceridov s dlhým reťazcom a vysoký príjem triglyceridov so stredne dlhým reťazcom. Zrýchlené hodnotenie dietetickej potraviny ZHDP15; 2026; Bratislava: NIHO.
- [3] Výrobca DP, Medicínskoekonomický rozbor dietetickej potraviny Milupa BASIC-F a jeho prílohy, ID konanie 1772. Dostupné dňa 26.03.2026 na odkaze: <https://kategorizacia.mzsr.sk/Dietetika/Common/Details/1772>
- [4] Ibrahim SY, Vaqar S, Temtem T. Medium-Chain Acyl-CoA Dehydrogenase Deficiency. Treasure Island (FL): StatPearls Publishing; 2024. Dostupné online dňa 01.04.2026 na odkaze: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK560837/>
- [5] Mason, E., Hindmarch, C. C. T., & Dunham-Snary, K. J. (2022). Medium-chain Acyl-CoA dehydrogenase deficiency: Pathogenesis, diagnosis, and treatment. *Endocrinology, Diabetes & Metabolism*, 6(1). <https://doi.org/10.1002/edm2.385>
- [6] Detská fakultná nemocnica Banská Bystrica, 2015. Novorodenecký skrining. Dostupné online dňa 01.04.2026 na odkaze: <https://www.detskanemocnica.sk/novorodenecky-skrining>
- [7] Doc. MUDr. Stanislav Oravec, CSc., Hyperlipoproteinémie – úvod do problematiky porúch metabolizmu lipoproteínov, 2012, Univerzita Komenského, Bratislava, dostupné online na odkaze: [https://www.fmed.uniba.sk/fileadmin/lf/sluzby/akademicka\\_kniznica/PDF/Elektronicke\\_knihy\\_LF\\_UK/Hyperlipoproteinemie.pdf](https://www.fmed.uniba.sk/fileadmin/lf/sluzby/akademicka_kniznica/PDF/Elektronicke_knihy_LF_UK/Hyperlipoproteinemie.pdf)
- [8] Adam MP, Bick S, Mirzaa GM. University of Washington, Seattle. GeneReviews. 1993-2026. Dostupné online na odkaze: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK1308/#lpl.Diagnosis>
- [9] Rudrappa M, Paul M. Chylothorax. StatPearls. Treasure Island (FL): StatPearls Publishing; 2026. Dostupné online dňa 30.03.2026 na odkaze: <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/NBK459206/>
- [10] MUDr. Tomáš Jimramovský, MUDr. Dan Wechsler. Chylothorax u novorozence. *Pediatr. pro Praxi* 2010; 11(6): 392–393. dostupné online dňa 30.03.2026 na odkaze: <https://www.pediatricpropraxi.cz/pdfs/ped/2010/06/11.pdf>
- [11] Aroor, S. (2017). Waldmann's Disease (Primary Intestinal Lymphangiectasia) with Atrial Septal Defect. *JOURNAL OF CLINICAL AND DIAGNOSTIC RESEARCH*. <https://doi.org/10.7860/jcdr/2017/24989.9742>
- [12] Vignes, S., Uzzan, M., Arrivé, L., Le Pimpec-Barthes, F., Fieschi, C., Lefèvre, G., Javalet, M., Bettolo, J., & Dubern, B. (2025). Primary intestinal lymphangiectasia: French National Diagnosis and Care Protocol (PNDS; Protocole National de Diagnostic et de Soins). *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 20(1). <https://doi.org/10.1186/s13023-025-03657-9>
- [13] Choe, U. (2025). Nutritional Management for Pediatric Biliary Atresia Patients Preparing for Liver Transplantation. *Children*, 12(3), 391. <https://doi.org/10.3390/children12030391>
- [14] Tam, P. K. H., Wells, R. G., Tang, C. S. M., Lui, V. C. H., Hukkinen, M., Luque, C. D., De Coppi, P., Mack, C. L., Pakarinen, M., & Davenport, M. (2024). Biliary atresia. *Nature Reviews Disease Primers*, 10(1). <https://doi.org/10.1038/s41572-024-00533-x>
- [15] Bhatnagar, M., Fisher, A., Ramsaroop, S., Carter, A., & Pippard, B. (2024). Chylothorax: pathophysiology, diagnosis, and management—a comprehensive review. *Journal of Thoracic Disease*, 16(2), 1645–1661. <https://doi.org/10.21037/jtd-23-1636>
- [16] Národné centrum zdravotníckych informácií. Datasetsy spotreby zdravotníckych pomôcok a dietetických potravín v Slovenskej republike. Dostupné online dňa 16.04.2026 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_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_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_3_Q_2025.xlsx)  
[https://data.nczisk.sk/statisticke\\_vystupy/top\\_100\\_liekov/Spotreba\\_pomocok/Dieteticke\\_potraviny\\_L01\\_L02\\_DP\\_4\\_Q\\_2025.xlsx](https://data.nczisk.sk/statisticke_vystupy/top_100_liekov/Spotreba_pomocok/Dieteticke_potraviny_L01_L02_DP_4_Q_2025.xlsx)
- [17] 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](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

V rámci hodnotenia sme s otázkami relevantným k hodnoteniu komunikovali s jednou odborníčkou, ktorá deklarovala, že nemá konflikt záujmov. Priebeh komunikácie je popísaný v tabuľke nižšie.

Otázka	Odpoveď poisťovne
<p>V Podľa dát NCZI bola DP Milupa Basic-F predpísaná v roku 2024 5 pacientom, pričom u 2 pacientov bola ako diagnóza uvedená "Choroba z nahromadenia glykogénu (glykogenóza) - E74.0". Diagnóza E74.0 nespadá pod diagnózy v účele určenia (poruchy metabolizácie tukov). Je možné, že niektorá z vyššie uvedených porúch je vykazovaná, alebo môže byť vykazovaná pod MKCH kódom E74.0, prípadne či existujú pacienti s diagnózou E74.0, ktorí majú zároveň niektorú z diagnóz uvedených v účele určenia (MCADD, LF-FAOD, chylothorax, intestinálna lymfagiektázia, hyperlipoproteinémia typu I, bilárna artéria). V prípade, že sa jedná o odlišnú diagnózu, je z vášho pohľadu opodstatnené predpisovať pacientom predmetnú DP?</p>	<p>Diagnóza E74.0 predstavuje primárnu poruchu metabolizmu sacharidov, pri ktorej je manažment založený na úprave príjmu cukrov. Prípravok Milupa Basic-F je špeciálne koncipovaná výživa s takmer nulovým obsahom tukov, určená primárne pre poruchy metabolizmu tukov. Predpisovanie Milupa Basic-F pri diagnóze E74.0 je však medicínsky opodstatnené v prípadoch preukázanej komorbidity, kedy pacient trpí súčasne aj poruchou oxidácie mastných kyselín alebo inou indikáciou vyžadujúcou nízkotukovú diétu. V takomto prípade kombinovaná diagnóza metabolizmu sacharidov a tukov plne zodpovedá účelu určenia prípravku.</p>

### 9.2. Komunikácia s výrobcom

S výrobcom sme v procese hodnotenia dietetickej potraviny Milupa BASIC-F nekomunikovali.

### 9.3. Komunikácia so zdravotnými poisťovňami

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 hrazené všetkým indikovaným pacientom vo výnimkovom režime. Radi by sme Vás požiadali o overenie údajov, ktoré výrobcovia výrobcu uvádzajú v MER, konkrétne údajov o:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• počte pacientov s danou diagnózou</li> <li>• počte pacientov so schválenou výnimkou a počte spotrebovaných balení,</li> <li>• výške úhrady na výnimku a</li> <li>• v niektorých prípadoch aj veľkosti hrazeného balenia.</li> </ul>	<p>Poisťovne ■■■ poskytli informácie o výške úhrady vo výnimkovom režime a počte liečených pacientov. Poisťovňa ■■■ tiež poskytla informácie o počte spotrebovaných balení. ■■■ údaje neposkytla.</p>