

**Indenrigs- og Sundhedsministeriet**

4.kt. J.nr. 2005-1307-97

SUM nr. 0417

**Notat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse for lægemidlet ”Orfadin - nitisinone”**

./. Ovennævnte forslag er beskrevet i vedlagte grundnotat.

Forslaget behandles i skriftlig procedure, og Kommissionen har oplyst, at medlemsstaternes stillingtagen skal være foranden for forskriftskomiteén i hænde senest den 11. februar 2005.

Orfadin (nitisinone) er godkendt til behandling af patienter med en bekræftet diagnose af den sjældne arvelige sygdom *tyrosinæmi Type 1* (HT-1) i kombination med kostmæssig restriktion af aminosyrerne tyrosin og fenylalanin.

HT-1 er en yderst sjælden arvelig sygdom, som optræder i ca. 1 ud af 100.000 fødsler. Det vil sige, at der gennemsnitligt fødes mindre end et barn årligt med sygdommen i Danmark. Ubehandlet er sygdommen dødelig i løbet af en kortere årrække som følge af lever- og/eller nyresvigt. Der findes efter Lægemiddelstyrelsens oplysninger i øjeblikket mindre end 10 patienter i Danmark.

Da sygdommen skyldes en medfødt mangel på et bestemt enzym, som er ansvarlig for omdannelsen af aminosyren tyrosin (normalt forekommende i kosten), har den hidtidige behandling været diætisk begrænsning af indtagelsen af aminosyrerne tyrosin og fenylalanin. Sygdommens prognose har kun kunnet ændres ubetydeligt ved denne behandling. Nitisinone hæmmer et andet enzym i omsætningen af tyrosin, hvorved dannelsen af giftige mellemprodukter som følge af den arvelige enzym-mangel undgås. For at opnå størst effekt af behandlingen bør patienterne fortsætte med deres diæt.

Behandling med Orfadin (nitisinone) kan være forbundet med bivirkninger i form af ændringer i blodets indhold af bestemte hvide blodlegemer, hudkløe samt dannelse af uklarheder i hornhinden. Sidstnævnte kan imidlertid også være en følge af sygdommen selv, hvorfor patienterne tilrådes regelmæssig kontrol hos øjenlæge.

Orfadin (nitisinone) vil kun være tilgængelig på recept, og behandlingen skal forestås af læger med særligt kendskab til behandling af sygdommen.

Det er Lægemiddelstyrelsens vurdering, at det pågældende lægemiddel fuldt ud lever op til de krav, der stilles til lægemidlers effekt, sikkerhed og kvalitet. Det er Lægemiddelstyrelsens opfattelse, at markedsføringen af det pågældende lægemiddel kan indebære behandlingsmæssige fordele, og i den sammenhæng udgør forslaget en bedring af sundhedsbeskyttelsen.

Regeringen kan på denne baggrund støtte Kommissionens forslag.