

Indenrigs- og Sundhedsministeriet

LMK J.nr. 2006-1307-149

SUM nr. 0467

Notat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse for lægemidlet "Myozyme-Alglucosidase alfa"

. / . 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 22. marts 2006.

Myozyme skal anvendes til langtids-enzymstatningsterapi hos patienter med en bekræftet diagnose på Pompes sygdom. Pompes sygdom er en sjælden genetisk stofskifte-myopati. Sygdommen medfører udvikling af forstørret hjerte og hjertemuskel sygdom (kardiomyopati) og progressiv muskelsvækkelse, herunder svækkelse af åndedrætsfunktionen.

Sygdommen findes både i en infantil, hurtigt progredierende og i en sent debuterende form. Ved den infantile form viser symptomerne sig allerede i spædbørnsalderen. Død indtræder typisk inden for det første leveår som følge af hjertestop og/eller respirationssvigt. Den sent debuterende form af Pompes sygdom manifesterer sig fra tidlig barndom til voksenalderen. Som regel kendetegnes den ved tilstedeværelsen af en resterende enzymaktivitet, hvilket forhindrer udviklingen af kardiomyopati.

Hidtil fandtes der ingen behandling udover symptomatisk behandling.

Alglucosidase alfa er en rekombinant form af human sur α -glukosidase, fremstillet ved hjælp af bioteknologi. Myozyme indgives en gang hver anden uge som intravenøs infusion. Behandlingen skal overvåges af en læge med erfaring i behandling af patienter med Pompes sygdom eller andre nedarvede stofskiftesygdomme eller neuromuskulære sygdomme. Sikkerhed og effekt af Myozyme er primært vurderet hos børn fra spædbørnsalderen til ungdom.

Bivirkningerne i de kliniske undersøgelser var for det meste milde til moderate og forekom næsten alle under infusionen eller i de 2 timer umiddelbart efter infusionen. Blandt de alvorlige infusionsreaktioner var nældefeber, unormale vejrtrækningslyde, forøget hjertefrekvens, reduceret iltmætning i blodet, problemer med at trække vejret, forøget respiration, hævelse omkring øjnene og højt blodtryk.

Myozyme må kun udleveres efter begrænset recept.

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 vil indebære behandlingsmæssige fordele, og i den sammenhæng udgør forslaget en bedring af sundhedsbeskyttelsen.

Regeringen kan på denne baggrund støtte Kommissionens forslag.