

Grundnotat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsførings-tilladelse for lægemidlet Myozyme – Alglucosidase alfa

Resumé

En vedtagelse af det foreliggende forslag vil indebære, at der udstedes en markedsføringstilladelse til lægemidlet Myozyme – Alglucosidase alfa. Lægemidlet anvendes til langtids-enzymstatningsterapi hos patienter med en bekræftet diagnose på Pompes sygdom. Fordelene ved Myozyme hos patienter med sent debuterende Pompes sygdom er ikke fastlagt.

En vedtagelse af forslaget vil indebære behandlingsmæssige fordele, og i den sammenhæng udgør forslaget en forbedring af sundhedsbeskyttelses-niveauet i Danmark.

1. Indledning

Kommissionens forslag (EU/1/06/333/001-003 (EMEA/H/C/636)) til den ovenfor nævnte beslutning er fremsendt til medlemsstaterne den 1. marts 2006.

Forslaget har som retsgrundlag artikel 10, stk. 2, i Rådets forordning 726/2004 om fastlæggelse af fællesskabsprocedurer for godkendelse og overvågning af human- og veterinærmedicinske lægemidler og om opret-telse af et europæisk lægemiddelagentur.

Forslaget behandles i skriftlig procedure, og Kommissionen har oplyst, at medlemsstaternes stillingtagen til forslaget skal være formanden for for-skriftskomiteén i hænde senest den 22. marts 2006.

Efter forordning 726/2004 skal en central godkendelsesprocedure følges ved ansøgninger om udstedelse af markedsføringstilladelse til lægemidler udviklet på grundlag af en række bioteknologiske fremgangsmåder. Proce-duren skal desuden anvendes ved godkendelse af lægemidler til mennesker med et indhold af nye aktive stoffer (der ikke tidligere har været godkendt i et lægemiddel inden for EU), når de pågældende lægemidler er fremstillet til behandling af immunforsvarssygdomme, kræft, visse nerverelidelser, sukkersyge og sjældne sygdomme samt ved godkendelse af veterinære lægemidler bestemt til at fremme dyrs vækst eller produktivitet.

Virksomhederne kan endvidere frivilligt anmode om anvendelse af den cen-trale procedure for andre lægemidler med et nyt aktivt stof, lægemidler som er behandlingsmæssigt, videnskabeligt eller teknisk nyskabende, samt lægemidler hvor en tilladelse på fællesskabsplan kan være til gavn for patienterne.

Ansøgninger, der behandles efter den centrale procedure, indsendes til Det Europæiske Lægemiddelagentur. Lægemiddelagenturets udtalelse om an-søgningen afgives af et af agenturets videnskabelige ekspertudvalg. Ved ansøgninger om godkendelse af lægemidler til sjældne sygdomme afgives

først udtalelse af COMP (Committee on Orphan Medicinal Products - Udvalget for Lægemedler til sjældne sygdomme), der afgør, om det pågældende produkt kan få status som et lægemiddel til sjældne sygdomme. Såfremt COMP kan godkende denne status, afgives herefter udtalelse af CHMP (Committee for Medicinal Products for Human Use – Udvalget for Humanmedicinske Lægemedler). Hvert medlemsland har udpeget 1 medlem til henholdsvis COMP og CHMP.

Kommissionen træffer afgørelse om godkendelse eller nægtelse af godkendelse af udstedelse af en markedsføringstilladelse efter forvaltningsproceduren i Det Stående Udvalg for Humanmedicinske Lægemedler. Kommissionen vedtager de foreslåede foranstaltninger, der straks finder anvendelse. Opnås der ikke kvalificeret flertal i udvalget, forelægger Kommissionen sin beslutning for Rådet. Kommissionen kan i så fald udsætte anvendelsen af de foranstaltninger, den har vedtaget, i 1 måned. Rådet kan med kvalificeret flertal træffe anden afgørelse inden for 1 måned. Har Rådet ikke inden for fristen på 1 måned truffet en anden afgørelse, gennemfører Kommissionen sin beslutning.

2. Forslagets formål og indhold

Vedtagelse af Kommissionens forslag til beslutning indebærer, at der af Kommissionen kan udstedes en markedsføringstilladelse til lægemidlet Myozyme, som giver adgang til at markedsføre lægemidlet i samtlige 25 medlemslande.

Kort beskrivelse af lægemidlet

Myozyme skal anvendes til langtids-enzymstatningsterapi hos patienter med en bekræftet diagnose på Pompes sygdom. Fordelene ved Myozyme hos patienter med sent debuterende Pompes sygdom er ikke fastlagt.

Pompes sygdom (også kaldt glycogen storage disease type II, sur maltase deficiency eller glykogenesis type II) er en sjælden genetisk stofskiftemyopati, som skyldes mangel på enzymet sur alfa glucosidase, der nedbryder lysosomal glykogen til glukose.

Mangel på dette enzym medfører glykogenophobning i forskellige væv, især hjerte-, åndedræts- og skeletalmuskler. Dette medfører udvikling af forstørret hjerte og hjertemuskelsygdom (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. Børnene har generel muskelsvækkelse, fremadskridende kardiomyopati og den motoriske udvikling går i stå. 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, typisk med progredierende muskelsvækkelse. Som regel kendetegnes den ved tilstedeværelsen af en resterende enzymaktivitet, hvilket forhindrer udviklingen af kardiomyopati. Prognosen ved den

sent debuterende form er meget varierende og ikke forudsigelig, men som regel udvikler den sig til sidst til udtalt invaliditet og/eller behov for ventilationsstøtte.

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.

3. Nærhedsprincippet

Der er tale om en gennemførelsesforanstaltning for en allerede vedtagen retsakt. Overvejelser om nærhedsprincippet er derfor ikke relevante.

4. Udtalelser

Europa-Parlamentet skal ikke udtale sig om forslaget.

5. Forslagets konsekvenser for Danmark

Behandling af Pompes sygdom er en specialistopgave. Sygdommen er meget sjælden med en prævalens i EU på 0,137 per 10.000 indbyggere. Ca. 1 ud af 40.000 nyfødte fødes med Pompes sygdom, dvs. i Danmark 1-2 børn om året.

Hidtil fandtes der ingen behandling udover symptomatisk behandling.

De kliniske studier af patienter med debut i spædbørnsalderen viste forbedret overlevelse, forbedring af hjertefunktionen, stabilisering eller forbedring af vækstparametrene samt respons på den motoriske og respiratoriske funktion.

Effekten af de kliniske studier af patienter med den sent debuterende form var mere usikker.

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.

Da man endnu ikke kender den pris, som Myozyme vil blive solgt til, og da man ikke har overblik over, hvor stor en del af patienterne med en bekræftet diagnose på Pompes sygdom, der vil skulle tilbydes behandling med Myozyme, kan man ikke præcist udtale sig om forslagets økonomiske konsekvenser for amtskommunerne.

Forslaget vil ikke have statsfinansielle konsekvenser.

En vedtagelse af Kommissionens forslag vil ikke kræve dansk lovgivning.

6. Høring

Ansøgninger om markedsføringstilladelser til lægemidler forelægger Lægemiddelstyrelsen ikke for andre myndigheder eller organisationer, da disse sager med ledsagende dokumentationsmateriale indeholder oplysninger om forretningshemmeligheder af sensitiv karakter.

7. Regeringens foreløbige generelle holdning

Regeringen kan støtte forslaget.

8. Generelle forventninger til andre landes holdninger

Forslaget har været behandlet i ekspertudvalgene COMP og CHMP, som med enstemmighed har kunnet anbefale markedsføringen af det pågældende lægemiddel.

Forslaget har ikke været drøftet i EU-regi efter behandlingen i CHMP, hvorfor forhandlingssituationen er uafklaret.

Det forventes, at hovedparten af medlemsstaterne kan støtte forslaget.

9. Tidligere forelæggelse for Folketingets Europaudvalg

Forslaget har ikke tidligere været forelagt Folketingets Europaudvalg.