

Grundnotat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse på særlige vilkår for lægemidlet til sjældne sygdomme ATryn – antithrombine alfa.

Resumé

En vedtagelse af det foreliggende forslag vil indebære, at der udstedes en markedsføringstilladelse til lægemidlet ATryn – antithrombine alfa. Lægemidlet anvendes til forebyggelse af venøs tromboembolisme under operation af patienter med medfødt antithrombin insufficiens. ATryn – antithrombine alfa administreres normalt sammen med heparin eller lavmolekylært heparin.

En vedtagelse af forslaget kan indebære behandlingsmæssige fordele, og i den sammenhæng udgør forslaget en forbedring af sundhedsbeskyttelsesniveauet i Danmark.

1. Indledning

Kommissionens forslag (EU/1/06/355/001-003 – (EMEA/H/C/587)) til den ovenfor nævnte beslutning er fremsendt til medlemsstaterne den 29. juni 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 oprettelse af et europæisk lægemiddelagentur.

Forslaget behandles i skriftlig procedure, og Kommissionen har oplyst, at medlemsstaternes stillingtagen til forslaget skal være formanden for forskriftskomiteén i hænde senest den 20. juli 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. Proceduren 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 nervelidelser, 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 centrale 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 ansøgningen 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 Lægemidler 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 Lægemidler). 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 Lægemidler. 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 ATryn – antithrombine alfa, som giver adgang til at markedsføre lægemidlet i samtlige 25 medlemslande.

Kort beskrivelse af lægemidlet

Hos det normale menneske er der en meget fin balance mellem det system der får blodet til at størkne (koagulation), og det system der opløser størknet blod (fibrinolyse). Dette er medvirkende til at et mindre sår (f.eks. hul på et blodkar) ikke forårsager, at al blodet i kroppen størkner, men at reaktionen forbliver lokaliseret til området med såret.

Opbygningen af koagulationssystemet og det fibrinolytiske system samt interaktionen mellem disse er meget komplekst. Simplificeret kan det siges, at hvis koagulationssystemet dominerer, har patienten tendens til blodpropper, men hvis det fibrinolytiske system dominerer, har patienten tendens til blødning.

Hos patienter med medfødt antithrombin insufficiens (prævalens 1/5000 svarende til maksimalt 1.000 patienter i DK) mangler en vigtig del af det fibrinolytiske system og patienterne har derfor tendens til blodproppdannelse. Denne tendens øges, når kroppen udsættes for stress, så som operative indgreb.

ATryn – antithrombine alfa er fremstillet ud fra mælk produceret af transgene geder – dvs. geder, som i deres mælkekirtler har fået indsat det menneskelige gen, der koder for fremstilling af humant antithrombin-alfa.

Atryn - antithrombine alfa er godkendt til forebyggelse af blodpropper hos patienter med medfødt antithrombin mangel, som gennemgår et kirurgisk indgreb. ATryn - antithrombine alfa er et tørstof, som opløses før anvendelse og indgives intravenøst sammen med andre lægemidler, der påvirker blodets størkningsevne. Dosering er meget individuel og blandt andet baseret på den enkelte patients egen aktivitet af antithrombin-alfa.

Når disse patienter tilføres den manglende faktor, genoprettes balancen mellem koagulationssystemet og det fibrinolytiske system, hvorved risikoen for komplikationer i forbindelse med operative indgreb nedsættes.

ATryn – antithrombine alfa bør kun anvendes af læger med særlig kendskab til behandling af patienter med medfødt antithrombin-mangel.

De vigtigste bivirkninger ved ATryn – antithrombine alfa er svimmelhed, hovedpine, kvalme samt blødning.

ATryn – antithrombine alfa må kun udleveres til sygehuse

3. Nærhedsprincippet

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

4. Udtalelser

Europa-Parlamentet skal ikke udtale sig om forslaget.

5. Forslagets konsekvenser for Danmark

Det er Lægemiddelstyrelsens vurdering, at det pågældende lægemiddel 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.

Til markedsføringstilladelsen er knyttet en forpligtigelse til at etablere et system til overvågning af lægemidlets sikkerhed (pharmacovigilance system) inden markedsføring i henhold til den af CHMP godkendte pharmacovigilance plan.

Endvidere har producenten forpligtiget sig til årligt at indsende en opdateret statusrapport fra et igangværende forsøg, som yderligere skal belyse ATryn – alfathrombine alfa's effektivitet og sikkerhed, særligt i gruppen af gravide/fødende patienter med antithrombin-mangel. Denne rapport vil sammen med resultaterne af den løbende overvågning af sikkerheden indgå i CHMP's årlige revurdering af lægemidlets risk:benefit-ratio.

Da man endnu ikke kender den pris, som ATryn - antithrombine alfa vil blive solgt til, og da man ikke har overblik over, hvor stor en del af patienterne med venøs tromboembolisme som følge af antithrombinmangel, der vil skulle tilbydes behandling med ATryn - antithrombine alfa, 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.