

Grundnotat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse for lægemidlet Kiovig

Resumé

En vedtagelse af det foreliggende forslag vil indebære, at der udstedes en markedsføringstilladelse til lægemidlet Kiovig. Lægemidlet anvendes til substitutionsterapi ved

Primære immundefekt-syndromer som:

- medfødt agammaglobulinæmi og hypogammaglobulinæmi
- almindelig variabel immundefekt
- alvorlig kombineret immundefekt
- Wiskott Aldrich syndrom

Myelom eller kronisk lymfatisk leukæmi (CLL) med alvorlig sekundær hypogammaglobulinæmi og recidiverende infektioner.

Børn med medfødt AIDS og recidiverende infektioner.

Immunmodulation

Idiopatisk thrombocytopenisk purpura (ITP), hos børn eller voksne med høj risiko for blødning eller forud for operation for at korrigere blodpladeantallet.

Guillain Barré syndromet

Kawasakis sygdom

Allogen knoglemarvstransplantation

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

1. Indledning

Kommissionens forslag (EU/1/05/329/001-005 (EMEA/H/C/628)) til den ovenfor nævnte beslutning er fremsendt til medlemsstaterne den 20. december 2005.

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 foranden for forskriftskomiteén i hænde senest den 11. januar 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 god-

kendt 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 mennesker afgives udtalelse af CHMP (Committee for Medicinal Products for Human Use – Udvalget for Humanmedicinske Lægemidler). Hvert medlemsland har udpeget 1 medlem til dette udvalg.

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 Kiovig, som giver adgang til at markedsføre lægemidlet i samtlige 25 medlemslande.

Kort beskrivelse af lægemidlet

Immunsystemet

Immunsystemet har først og fremmest til opgave at beskytte menn esket mod smitstoffer (dvs. mikroorganismer), der kan medføre infektioner. Denne beskyttelse opnås ved at immunsystemet løser to hovedopgaver:

- Det skal kunne genkende udefra kommende fremmede stoffer eller mikroorganismer og dermed kunne skelne disse fra kroppens egne stoffer og celler, og
- det skal kunne reagere mod disse fremmede stoffer eller mikroorganismer, så de ødelægges, nedbrydes, fjernes eller neutraliseres.

Immunsystemet skal også helst kunne genkende fremmede stoffer og mikroorganismer, som det tidligere har været udsat for, og dermed reagere kraftigere imod disse ved senere angreb. Det udnytter vi f.eks. i forbindelse med vaccinationer.

For alle infektioners vedkommende er immunsystemets virkning afgørende for forløbet af infektionen. Det normale immunsystem vil søge at dræbe de indtrængende fremmede stoffer eller begrænse deres spredning i kroppen og i sidste ende bidrage til kroppens heling. Hvis immunsystemet (immunapparatet) er defekt eller svækket, vil personen være udsat for hyppige infektioner med et mere alvorligt forløb end hos normale, raske personer. Den immundefekte person vil også kunne blive angrebet af mikroorganismer, der normalt ikke har skadelig virkning på raske personer.

Immundefektsygdomme

Immunforsvaret er meget kompliceret i sin opbygning med mange muligheder for fejl. Der findes derfor en række forskellige immundefektsygdomme. Nogle er forholdsvis almindelige, andre er uhyre sjældne. Immundefektsygdomme kan have alle sværhedsgrader, afhængigt af hvilke dele af immunsystemet der mangler eller virker utilstrækkeligt. Nogle immundefektsygdomme omfatter hele, eller størstedelen af, immunapparatet. Disse sygdomme vil derfor naturligvis være meget alvorlige. Andre immundefektsygdomme omfatter kun mindre betydende dele af immunapparatet og vil derfor have et langt lettere forløb.

Begrebet immundefekt omfatter derfor mange forskellige sygdomme af meget forskellig sværhedsgrad og med meget forskellige krav til behandling. Fælles for dem alle er, at den immundefekte persons modstandskraft er nedsat. Dette betyder:

- at den immundefekte person er mere tilbøjelig til at få infektioner,
- at den immundefekte persons infektioner tillige har en tilbøjelighed til at vare længere og forløbe mere alvorligt end hos raske personer, og
- at den immundefekte person ofte angribes af mikroorganismer, der normalt ikke vil give anledning til infektion hos en rask person.

Indikation

Der findes primært tre sygdomsgrupper, hvor Kiovig kan benyttes:

1. Substitutionsterapi

Ved denne indikation mangler patienten evnen til at danne funktionsdygtige antistoffer, og disse må derfor tilføres. Disse tilstande kan være medfødte eller erhvervede, som f.eks. AIDS hos børn eller visse former for leukæmi.

2. Immunmodulation

Ved denne indikation reagerer kroppens immunsystem forkert og danner antistoffer mod egne celler. Tilførsel af eksterne antistoffer kan dæmpe kroppens egenproduktion.

3. Allogen knoglemarvstransplantation

Ved denne indikation slås patientens syge knoglemarv ihjel. Herefter foretages transplantation med rask knoglemarv. Indtil den raske knoglemarv begynder at fungere, vil patientens immunforsvar være meget svækket og der vil være behov for tilførsel af antistoffer.

Behandling

For de immundefektsygdomme, der skyldes en bestemt defekt (B-celle-defekter), kan en intermitterende eller livslang behandling med indgift af immunglobulin komme på tale.

Kiovig er et stof, som vil kunne supplere eksisterende behandlingsregimer. Det anses ikke for at være et nyt eller banebrydende lægemiddel. Kiovig vil således kunne indgå som en modalitet i behandlingen af disse kronisk syge patienter og være medvirkende til at forbedre livskvalitet og i visse tilfælde også øge livslængden. Kiovig vil som sådant ikke være helbredende.

Bivirkninger

Uønskede reaktioner som kuldegysninger, hovedpine, feber, opkastning, allergiske reaktioner, kvalme, ledsmerter, lavt blodtryk og moderate lændesmerter kan nu og da forekomme.

I sjældne tilfælde kan normale humane immunoglobuliner forårsage et pludseligt fald i blodtrykket og, i isolerede tilfælde, et anafylaktisk chok, selv om patienten ikke har vist overfølsomhed mod den forrige indgivelse.

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

Behandlingsindikationen for dette lægemiddel anses for at være en specialopgave, som varetages af specialafdelinger, hvor interesse og erfaring haves.

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.

Da man endnu ikke kender den pris, som Kiovig vil blive solgt til, og da man ikke har overblik over, hvor stor en del af patienterne med immundefekt sygdomme, der vil skulle tilbydes behandling med Kiovig, 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 ekspertudvalget 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.