

Grundnotat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse på særlige vilkår for lægemidlet Thelin® - Sitaxentannatrium til sjældne sygdomme

Resumé

En vedtagelse af det foreliggende forslag vil indebære, at der udstedes en markedsføringstilladelse til lægemidlet Thelin® - Sitaxentannatrium. Lægemidlet anvendes til behandling af pulmonal hypertension (primær eller forårsaget af bindevævssygdom) med symptomer i hvile (WHO-funktionsklasse III).

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/1/06/353/001-005 (EMEA/H/C/679)) til den ovenfor nævnte beslutning er fremsendt til medlemsstaterne den 14. juli 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 4. august 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 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 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 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 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 Thelin® - Sitaxentannatrium, som giver adgang til at markedsføre lægemidlet i samtlige 25 medlemslande.

Kort beskrivelse af lægemidlet

Pulmonal hypertension (forhøjet blodtryk i lungekredsløbet) er en sjælden sygdom, hvis årsag ofte ikke er kendt. Dog ses sygdommen også som en følge af en række sjældne bindevævssygdomme. Det anslås, at ca. 1.000 patienter i Danmark lider af pulmonal hypertension. Sygdommen viser sig ved tiltagende åndenød og vejrtrækningsbesvær, som fører til åndenød i hvile og deraf følgende nedsat funktionsniveau og invaliditet.

Der er allerede godkendt en række lægemidler til behandling af sygdommen, men den ultimative behandling er kombineret lunge-hjerte transplantation. Såvel Thelin® - Sitaxentannatrium som tidligere godkendte lægemidler virker ved at udvide blodkarrene i lungekredsløbet, hvorved blodtrykket sænkes, og patientens symptomer aftager. Behandling med Thelin® - Sitaxentannatrium har alene vist sig effektiv hos patienter med moderat til svær funktionsnedsættelse (WHO-klasse III = symptomer i hvile), men behandlingen kan ikke betragtes som helbredende.

De hyppigste bivirkninger ved behandlingen er hovedpine og væskeophobning i kroppen, som ses hos hhv. 15 og 9 pct. af de behandlede.

En række andre - langt mere sjældne - bivirkninger knytter sig til behandlingen med Thelin® - Sitaxentannatrium. Det drejer sig om påvirkning af leverfunktionen med udslip af leverenzymmer til blodet og i

sjældne tilfælde leversvigt samt faldende hæmoglobinkoncentration (blodmangel). Begge tilstande er tydeligt beskrevet i produktinformationen og adresseres i det til markedsføringstilladelsen knyttede sikkerhedsstyringsprogram (Risk Management Plan). Således tilrådes kontrol af lever og hæmoglobinkoncentrationen før og under behandlingen.

Thelin® - Sitaxentannatrium har vist sig at kunne give fosterskader i dyreeksperimentelle undersøgelser, hvorfor lægemidlet kun bør anvendes af fertile kvinder, hvis disse samtidig anvender sikker antikonception. Disse forhold er også tydeligt beskrevet i produktinformation, patientinformation og omhandlet i det tilhørende program for risikostyring.

Thelin® - Sitaxentannatrium må kun udleveres på recept.

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

Behandling af pulmonal hypertension er en hospitalsopgave. Som anført findes der maksimalt 1.000 patienter i Danmark, hvoraf kun en mindre del vil være kandidater til behandling med Thelin® - Sitaxentannatrium. Effekten af Thelin® - Sitaxentannatrium er ikke sammenlignet med andre godkendte lægemidler til behandling af pulmonal hypertension, men må betragtes som et supplement til disse allerede eksisterende behandlinger.

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.

Da man endnu ikke kender den pris, som Thelin® - Sitaxentannatrium vil blive solgt til, og da man ikke har overblik over, hvor stor en del af patienterne med pulmonal hypertension, der vil skulle tilbydes behandling med Thelin® - Sitaxentannatrium, kan man ikke præcist udtale sig om forslagets økonomiske konsekvenser for amtskommunerne.

Til markedsføringstilladelsen er knyttet en række betingelser for så vidt angår overvågning og styring af lægemidlets sikkerhed. Det påhviler indehaveren af markedsføringstilladelsen at etablere et overvågnings-system, hvor demografiske oplysninger for de behandlede patienter indsamles. Dette system skal etableres efter aftale med de enkelte medlemsstater og være på plads, før markedsføring kan finde sted.

Ligeledes er der til markedsføringstilladelsen knyttet et program for sikkerhedsstyring (Risk Management Plan). Dette program indeholder bl.a. en "lægeinformationspakke", som bl.a. skal oplyse de behandlende læger om følgende sikkerhedsmæssige forhold ved anvendelse af Thelin® - Sitaxentannatrium: (1) den fosterskadende effekt og betydning af anvendelse af sikker antikonception, (2) risiko for påvirkning af leverfunktionen, og forholdsregler til at opdage dette, (3) risiko for faldende hæmoglobinkoncentration samt (4) mulige interaktioner med andre lægemidler. Endelig indeholder sikkerhedsstyringsprogrammet udover den obligatoriske indlægsseddel i lægemiddelpakken et særligt informationskort til patienten, der ligeledes oplyser om ovenstående større sikkerhedsforholdsregler der bør tages ved anvendelse af Thelin® - Sitaxentannatrium.

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.