

Grundnotat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse på særlige vilkår for lægemidlet Elapraxe (Idursulfase) til sjældne sygdomme

Resumé

En vedtagelse af det foreliggende forslag vil indebære, at der udstedes en markedsføringstilladelse på særlige vilkår til lægemidlet Elapraxe (Idursulfase). Lægemidlet anvendes til langtidsbehandling af patienter med Hunter Syndrom (Mucopolysakkridose II, MPS II).

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/EMEA/H/C/700 – EU/1/06/365/001-003) til den ovenfor nævnte beslutning er fremsendt til medlemsstaterne den 28. november 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 foranden for forskriftskomiteén i hænde senest den 20. december 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 Elaprased (Idursulfase), som giver adgang til at markedsføre lægemidlet i samtlige 25 medlemslande.

Kort beskrivelse af lægemidlet

Hunter Syndrom er en sjælden arvelig sygdom bundet til X-kromosomet. Der fødes ca. et barn årligt i Danmark med sygdommen, som kun rammer drenge. Hunter Syndrom er forårsaget af mangel på eller nedsat virkning af enzymet iduronatsulfatase, som medfører manglende nedbrydning af specielle sukkerarter kaldet glykosaminoglykaner. Disse stoffer ophober sig i kroppen som aflejringer i væv (hud, bindevæv, blodkar og knogler) og organer (hjerne, lever og milt). Symptomerne begynder i 1-4 års alderen og omfatter en række fysiske forandringer i kroppens proportioner medførende symptomer fra leddene, men også symptomer fra hjertet (fortykkelse af hjerteklapperne), lungerne (nedsat bevægelighed af brystkasse, forsnævring af luftrøret, søvnapnø og hyppige nedre luftvejsinfektioner) samt symptomer fra øjnene og mave/tarm.

Sygdommen kan ikke helbredes, men Elaprased (Idursulfase) erstatter det manglende enzym, hvorved patienternes funktionstab reduceres og særligt de lungemæssige problemer forbedres. På grund af sygdommens sjældenhed er der kun gennemført to kliniske undersøgelser med i alt 108 mandlige patienter, som er fulgt i sammenlagt 52 uger. Der er derfor ikke vist en effekt på overlevelsen.

Behandlingen gives som ugentlige infusioner af 3 timers varighed – antageligt resten af livet. Infusionsrelaterede bivirkninger er hyppige, og alvorlige behandlingskrævende allergiske reaktioner forekommer hyppigt.

Produktinformationen indeholder nøje vejledning til den behandlende læge om mulig forebyggelse og behandling af de allergiske reaktioner.

Lægemidlet er alene forbeholdt anvendelse på sygehus og må kun udleveres efter recept.

Elaprase (Idursulfase) er fremstillet ved hjælp af rekombinant DNA teknologi (gensplejsning) i menneskeceller.

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

Som anført ovenfor er der tale om en meget sjælden sygdom, hvorfor behandling alene vil finde sted på (få) sygehuse i Danmark. Da der ikke tidligere har været en tilgængelig behandling til patienter med Hunter Syndrom, udgør Elaprase (Idursulfase) klare behandlingsmæssige fordele.

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 Elaprase (Idursulfase) vil blive solgt til, og da man ikke har overblik over, hvor stor en del af patienterne med Hunter Syndrom, der vil skulle tilbydes behandling med Elaprase (Idursulfase), kan man ikke præcist udtale sig om forslagets økonomiske konsekvenser for amtskommunerne.

På grund af sygdommens sjældenhed er der som anført kun gennemført få studier med få patienter og af en varighed på 52 uger. Derfor er der til udstedelse af markedsføringstilladelsen knyttet en række forpligtelser til indehaveren af denne til at gennemføre en række yderligere studier af lægemidlets sikkerhed (immunogenecitet – evne til at udløse immunologiske/allergiske reaktioner) samt lægemidlets langtidseffekter (særligt med henblik på effekten på lunge- og hjertesymptomerne).

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.