

Grundnotat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsførings-tilladelse for lægemidlet til sjældne sygdomme Soliris – Eculizumab

Resumé

En vedtagelse af det foreliggende forslag vil indebære, at der udstedes en markedsføringstilladelse til lægemidlet Soliris. Lægemidlet anvendes til behandling af paroxysk nokturn hæmoglobinuri (PNH).

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

1. Indledning

Kommissionens forslag (EU/1/07/393/001 (EMEA/H/C/791)) til den ovenfor nævnte beslutning er fremsendt til medlemsstaterne den 1. juni 2007. Endvidere foreligger der beslutning i henhold til artikel 127a i Europa-Parlamentets og Rådets direktiv 2001/83/EF, for så vidt angår tilladelse til markedsføring af lægemidlet Soliris.

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 15. juni 2007.

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 Soliris, som giver adgang til at markedsføre lægemidlet i samtlige 27 medlemslande.

Kort beskrivelse af lægemidlet

Soliris er et rekombinant, humaniseret, monoklonalt IgG2/4κ-antistof, der bindes til humant komplementprotein C5 og hæmmer den terminale komplementaktivering, som er en vigtig faktor for udvikling af hæmolytisk anæmi hos patienter med den sjældne genetisk betingede blodsygdom Paroxysmisk nokturn hæmoglobinuri (PNH).

Lægemidlet indgives som en intravenøs infusion ugentligt i 4 uger, hvorefter virkningen vedligeholdes med infusion hver 5. uge. Behandlingen medfører mindre hæmolyse og dermed mindre behov for blodtransfusion, som indtil fremkomsten af Soliris var eneste behandlingsmulighed for patienter med PNH.

De hyppigste bivirkninger er hovedpine, infusionsreaktioner samt øget risiko for alvorlige infektioner, herunder meningokokinfektioner.

Til markedsføringstilladelsen til Soliris er der fastsat en række betingelser eller begrænsninger som angivet i artikel 127a i Direktiv 2001/83/EF, som medlemsstaterne er forpligtet til at implementere nationalt.

Soliris må kun udleveres efter begrænset recept; i Danmark vil lægemidlet kun blive udleveret på sygehuse.

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

Paroksyttisk nokturn hæmoglobinuri (PNH) er en meget sjælden genetisk betinget hæmolytisk anæmi, som bevirker, at de røde blodlegemer nedbrydes i blodbanen pga. komplementpåvirkning. Sygdommen viser sig oftest i voksenalderen ved rødfarvning af urinen (særligt om morgenen). Der kan desuden opstå små blodpropper især i de blodkar, der forsyner mave-tarmkanalen, hvilket bevirker karakteristiske kraftige mavesmerter. I nogle tilfælde udvikles en aplastisk anæmi, som må behandles med knoglemarvs-transplantation. Behandlingen består i øvrigt af blodtransfusion og evt. kortvarig behandling med binyrebarkhormon. Ubehandlet er levetiden forkortet. Det skønnes, at ca. 10 danskere har sygdommen.

Soliris er det første lægemiddel, som er udviklet til behandling af PNH og er effektivt mht. at nedsætte hæmolysen og behovet for blodtransfusioner.

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 Soliris vil blive solgt til, og da man ikke har overblik over, hvor stor en del af patienterne med PNH, der vil skulle tilbydes behandling med Soliris, kan man ikke præcist udtale sig om forslagets økonomiske konsekvenser for regionerne.

Forslaget vil ikke have statsfinansielle konsekvenser.

På baggrund af forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse med betingelser for lægemidlet Soliris, omhandlet i artikel 127a i Europa-Parlamentets og Rådets direktiv 2001/83/EF, er det af hensyn til en sikker og virkningsfuld anvendelse af lægemidlet en betingelse for markedsføringstilladelsen, at indehaveren af markedsføringstilladelsen aftaler de nærmere enkeltheder i distributionssystemet med de kompetente nationale myndigheder og gennemfører et nationalt program, der sikrer, at distribution kun kan finde sted efter forudgående verifikation af, at patienten faktisk har fået en meningokokvaccination med skriftlig bekræftelse heraf. Sundhedspersonale skal inden distribution være blevet oplyst om de vigtigste sikkerhedsmæssige problemer. Før markedsføring skal indehaveren af markedsføringstilladelsen påtage sig at

gennemføre en patientkortordning i hver medlemsstat. Patientkortet skal indeholde enkeltheder om tegn og symptomer på infektion samt anvisninger for patienten om straks at søge lægehjælp. Kortet skal desuden indeholde information til sundhedspersonalet om, at patienten er i behandling med Soliris.

Indehaveren af markedsføringstilladelsen skal i detaljer forelægge et forslag til en spørgeskemaundersøgelse blandt sundhedspersoner og patienter. Ud over at vurdere tilfredsheden med de udleverede oplysninger om Soliris skal den forslåede spørgeskemaundersøgelse udforske andre metoder til vurdering af virkningen af programmet til risikominimering (f.eks. rundspørger vedrørende kompliance med vaccinationen). Ligeledes bør målsætningen for uddeling af oplysende materiale gennemgås.

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.