

## **Grundnotat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse under særlige omstændigheder for lægemidlet til sjældne sygdomme Yondelis – trabectedin**

### **Resumé**

En vedtagelse af det foreliggende forslag vil indebære, at der udstedes en markedsføringstilladelse til lægemidlet til sjældne sygdomme Yondelis – trabectedin.

Kræftlægemidlet Yondelis - trabectedin skal bruges til behandling af patienter med fremskredet bløddelssarkom (STS) efter svigt af standardbehandling med antracykliner og ifosfamid, eller til patienter som er uegnede til at modtage disse stoffer.

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/1/07/417/001-002 (EMEA/H/C/773) til den ovenfor nævnte beslutning er fremsendt til medlemsstaterne den 22. august 2007.

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 12. september 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 Yondelis, som giver adgang til at markedsføre lægemidlet i samtlige 27 medlemslande.

### **Kort beskrivelse af lægemidlet**

Trabectedin er et nyt kræftlægemiddel, som oprindeligt er udvundet af et primitivt havdyr, men som nu fremstilles syntetisk. Trabectedin er en ny type DNA-binder, og virkningsmekanismen er knyttet til bindingen.

Trabectedin skal bruges til behandling af patienter med de sjældne kræftsygdomme fremskredet bløddelssarkom (STS) efter svigt af standardbehandling med antracykliner og ifosamid eller til patienter, som er uegnede til at modtage disse stoffer.

Trabectedin indgives som en 24-timers intravenøs infusion hver 3. uge.

Som andre kræftlægemidler er trabectedin temmelig giftigt. De mest almindelige bivirkninger er kvalme og opkastninger, madlede og træthed, fald i hvide blodlegemer med risiko for alvorlige infektioner samt påvirkning af leverfunktionen.

Yondelis 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

Bløddelssarkomer udgør en heterogen gruppe af sjældne kræftsygdomme. Der diagnosticeres ca. 120 nye tilfælde årligt i Danmark. Selv om kirurgi og strålebehandling kan kontrollere sygdommen lokalt, vil ca. 50 pct. få lokal-  
recidiv eller metastaser. Patienter med metastatisk sygdom har en overlevelse på ca. 1 år. Sygdommen er temmelig resistent over for kemoterapi. De mest anvendte cytotoxika er doxorubicin, ifosfamid og dacarbazin (DTIC).

Yondelis har klinisk virkning hos patienter, hvor behandling med doxorubicin og ifosfamid har svigtet.

Godkendelsen af Yondelis sker under særlige omstændigheder, fordi de pågældende sygdomme er yderst sjældne, og fordi der ikke findes andre behandlingsalternativer til de patienter, som indgik i de kliniske forsøg. Oplysningerne til støtte for indikationerne er derfor baseret på begrænsede data fra fase-II kliniske forsøg. Firmaet skal inden for en nærmere fastsat tidsramme indsende resultater fra en række igangværende og planlagte kliniske forsøg.

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

Forslaget vil ikke have statsfinansielle konsekvenser.

En vedtagelse af Kommissionens forslag vil ikke kræve dansk lovgivning.

### 6. Høring

Ansøgninger om markedsføringstilladelser til lægemidler forelægges 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.