

**Indenrigs- og Sundhedsministeriet**

LMK J.nr. 2006-1307-203

SUM nr. 0516

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

. / . Ovennævnte forslag er beskrevet i vedlagte grundnotat.

Forslaget behandles i skriftlig procedure, og Kommissionen har oplyst, at medlemsstaternes stillingtagen skal være forinden for forskriftskomiteén i hænde senest den 20. december 2006.

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 og organer. 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, lungerne samt symptomer fra øjnene og mave/tarm. Sygdommen kan ikke helbredes, men Elapraxe (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. Genmodifikationen har alene været anvendt til fremstillingen af lægemidlet.

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.

Regeringen kan på denne baggrund støtte Kommissionens forslag.