

Indenrigs- og Sundhedsministeriet

LMK J.nr. 2007-1307-216
SUM nr. 0527

Notat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse for lægemidlet til sjældne sygdomme "Cystadane – Betain, vandfrit"

. / . Ovennævnte forslag er beskrevet i vedlagte grundnotat.

Forslaget behandles i skriftlig procedure, og Kommissionen har oplyst, at medlemsstaternes stillingtagen skal være formanden for forskriftskomiteén i hænde senest den 8. februar 2007.

Cystadane skal bruges til adjuverende behandling af homocystinuri. Cystadane bør benyttes som supplement til andre behandlinger som fx vitamin B6, vitamin B12, folinsyre og en målrettet diæt. Homocystinuri er en arvelig sygdom med flere genetiske varianter, som skyldes enzymfejl i omsætningen af aminosyren methionin. Sygdommen medfører ophobning af homocystin i blodet og øget udskillelse af homocystin i urinen. Sygdommen manifesterer sig klinisk ved intelligensdefekt, linseektopi, forekomst af blodpropper og skeletforandringer.

Målet med behandlingen er at sænke det forhøjede indhold af homocystin i kroppen. Cystadane har vist sig nyttigt som supplement til hidtidig behandling. Betain forekommer i forskellige fødevarer og har også kunnet fås som kosttilskud.

Den væsentligste bivirkning er øgning af methioninkoncentrationen i blodet. Der er desuden rapporteret sjældne tilfælde af alvorligt ødem i hjernen.

Lægemidlet må kun udleveres efter begrænset recept.

Det er Lægemiddelstyrelsens vurdering, at det pågældende lægemiddel fuldt ud 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.