

Grundnotat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsførings-tilladelse med betingelser for lægemidlet til sjældne sygdomme Siklos – hydroxycarbamid

Resumé

En vedtagelse af det foreliggende forslag vil indebære, at der udstedes en markedsføringstilladelse til lægemidlet Siklos.

Siklos er indiceret til forebyggelse af recidiverende smertefulde vasookklusive kriser og akut lungesvigt (acute chest syndrome) hos børn og voksne, der lider af symptomatisk seglcellesygdom.

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/1/07/397/001 (EMEA/H/C/689)) til den ovenfor nævnte beslutning er fremsendt til medlemsstaterne den 31. maj 2007.

Endvidere foreligger der forslag til beslutning om gennemførelse af betingelser og restriktioner i henhold til artikel 127a i Europa-Parlamentets og Rådets direktiv 2001/83/EF, for så vidt angår tilladelse til markedsføring af lægemidlet Siklos.

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 for-skriftskomiteén i hænde senest den 22. 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 Siklos, som giver adgang til at markedsføre lægemidlet i samtlige 27 medlemslande.

Kort beskrivelse af lægemidlet

Den aktive substans i Siklos er langt fra ny, idet hydroxycarbamid har været anvendt i 40 år til behandling af patienter med visse kroniske leukæmier samt andre blodsygdomme. Lægemidlets generelle sikkerhedsprofil er derfor velbelyst; dog er erfaringen i en pædiatrisk population mere begrænset. Lægemidlet er formuleret som kapsler, og behandlingen indledes allerede i den tidlige barnealder. Behandlingen gives kontinuerligt, så længe den virker. Det anbefales at fortsætte i indtil 3-6 måneder hos ikke responderende patienter, inden behandling opgives.

Siklos reducerer hyppigheden af seglcellekriser med 66-80 pct. og hyppigheden af "acute chest syndrome" med 25-33 pct. Begge tilstande er livstruende.

Den hyppigste bivirkning er knoglemarvspåvirkning med faldende antal hvide blodlegemer.

Til markedsføringstilladelsen for Siklos 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.

Siklos 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

Den arvelige seglcellesygdom findes ikke blandt etniske danskere. Seglcellesygdom er udbredt i Afrika, Mellemøsten, Sydøstasien og blandt den afroamerikanske befolkning. De karakteristiske seglceller opstår pga. en defekt i det iltbindende stof hæmoglobin i de røde blodlegemer. Foruden en svær hæmolytisk anæmi har disse patienter tendens til iltmangel i de mindste blodkar, fordi seglcellerne passerer dårligere igennem cirkulationen end de normale runde røde blodlegemer. Herved opstår de såkaldte "seglcellekriser", som er særligt alvorlige, når mikrocirkulationen i lunger "acute chest syndrome" og hjerne er påvirket. Indtil nu har der ikke eksisteret en effektiv medikamentel behandling. Behandlingen består af blodtransfusioner og anden symptomatisk behandling.

Siklos er det første lægemiddel, som er udviklet til behandling af seglcellesygdommen og er effektivt mht. at nedsætte hyppigheden af seglcellekriser og "acute chest syndrome".

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

Forslaget vil ikke have statsfinansielle konsekvenser.

For så vidt angår forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse for lægemidlet Siklos samt forslag til kommissionsbeslutning om gennemførelse af betingelser og restriktioner, som 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 markedsførings-tilladelsen aftaler de nærmere enkeltheder i distributionssystemet med de kompetente nationale myndigheder og gennemfører et nationalt program, som fremgår af et bilag til forslaget. De vigtigste elementer er en behandlingsvejledning til lægen og en informationspakke til patienten.

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.