

## **Grundnotat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsførings-tilladelse under særlige omstændigheder for lægemidlet til sjældne sygdomme Atriance – nelarabin**

### **Resumé**

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

Nelarabin skal bruges til behandling af patienter med T-celle akut lymfoblastær leukæmi (T-ALL) og T-celle lymfoblastær lymfom (T-LBL), hvor sygdommen ikke har responderet på, eller er recidiveret efter behandling med mindst to regimer af kemoterapi.

En vedtagelse af forslaget vil indebære behandlingsmæssige fordele, og i den sammenhæng udgør forslaget en forbedring af sundhedsbeskyttelsesniveauet i Danmark.

### **1. Indledning**

Kommissionens forslag EU/1/07/403/001 (EMEA/H/C/752) til den ovenfor nævnte beslutning er fremsendt til medlemsstaterne den 24. juli 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 formanden for forskriftskomiteén i hænde senest den 14. august 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. Oprås 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 Atriance, som giver adgang til at markedsføre lægemidlet i samtlige 27 medlemslande.

### **Kort beskrivelse af lægemidlet**

Atriance er et nyt lægemiddel til behandling af T-celle akut lymfoblastær leukæmi (T-ALL) og T-celle lymfoblastær lymfom (T-LBL), hvor sygdommen ikke har reageret på eller er vendt tilbage efter behandling med mindst to regimer af kemoterapi.

Lægemidlet er udviklet til at have en vis selektivitet over T-lymfocytter og er kun undersøgt i blodsygdomme, som udgår fra T-celler.

Atriance indgives direkte i blodbanen i 5-dages kure under indlæggelse. Behandlingen kan gentages hver 3. uge.

Som andre beslægtede kræftlægemidler bevirker Atriance en betydelig og svær knoglemarvshæmning. De vigtigste bivirkninger er øget risiko for infektion og blødning. Atriance er giftigt over for både det centrale og det perifere nervesystem. Produktinformationen indeholder derfor en række oplysninger om dosering, kontraindikationer og særlige advarsler, der sigter på at minimere risikoen for beskadigelse af nervesystemet.

Atriance 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**

Både T-celle akut lymfoblastær leukæmi (ALL) og den beslægtede sygdom T-celle lymfoblastær lymfom er meget sjældne kræftsygdomme. I Danmark optræder der ca. 70 tilfælde af ALL årligt. Halvdelen af tilfældene vil opstå hos børn, oftest i alderen 2 til 6 år. 15-20% af leukæmierne vil have T-celle fænotype.

Hos børn er prognosen forbedret betydeligt over de seneste 30 år, således at ca. 80% vil helbredes med første linje kemoterapi. Prognosen er noget dårligere hos voksne patienter. Tilbagevenden af sygdommen er forbundet med en meget dårlig prognose, og i den situation er knoglemarvstransplantation eneste mulighed for helbredelse. Forudsætningen for, at denne procedure kan benyttes, er, at sygdommen er i remission, dvs. at der ikke kan påvises leukæmiceller i blod og knoglemarv. Atriance kan fremkalde remission hos 20-25% af patienterne, som ellers ikke ville have haft nogen anden behandlingsmulighed.

Godkendelsen af Atriance sker under særlige omstændigheder, fordi de pågældende sygdomme i det nævnte sygdomsstadium (tilbagefald efter mindst to kemoterapiregimer) er yderst sjældne. Oplysningerne til støtte for indikationerne er baseret på begrænsede data fra ukontrollerede kliniske forsøg. Firmaet skal derfor 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 Atriance vil blive solgt til, og da man ikke har overblik over, hvor stor en del af patienterne med de pågældende blodsygdomme der vil skulle tilbydes behandling med Atriance, kan man ikke præcist udtale sig om forslagets 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 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 ekspertudvalget 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.