

Indenrigs- og Sundhedsministeriet

Dato: 9. maj 2007
Kontor: Sundhedspolitisk kt.
J.nr.: 2007-12165-267
Sagsbeh.: mрни
Fil-navn: SUU S nr. 420 - Alfa-1

**Endelig besvarelse af spørgsmål nr. 420 (Alm. del),
som Folketingets Sundhedsudvalg har stillet til inden-
rigs- og sundhedsministeren den 28. marts 2007**

Spørgsmål nr. 420:

"Kan ministeren bekræfte, at flere myndigheder - herunder Sundhedsstyrelsen og Lægemiddelstyrelsen - henholder sig til, at man afventer evaluering af det i 2006 afsluttede danske forsøg, inden man tager stilling til, om man vil anbefale prolantinbehandling tages i brug? Hvad er i givet fald begrundelsen for at afvente evalueringen af dette forsøg, jf. oplysningerne i alm. del - bilag 365 om, at evalueringen af forsøget efter lungespecialisters vurdering ikke vil have indflydelse på DLS anbefaling af prolantinbehandling, da et negativt udfald af det afsluttede forsøg ikke kan tillægges væsentlig betydning på grund af studiets lave styrke?"

Svar:

Til brug for besvarelsen af udvalgsspørgsmålet har jeg indhentet en udtalelse fra Sundhedsstyrelsen vedr. substitutionsbehandling med alfa-1-antitrypsin.

Sundhedsstyrelsen har i bidrag af 29. april 2007 oplyst følgende:

"Alfa-1-antitrypsin-mangel er en forholdsvis hyppig arvelig sygdom, som rammer ca. 1 ud af 2.500-6.000 nyfødte. Sygdommen medfører tidlig (i 30-40 års alderen) udvikling af emfysem ('for store lunger') og kronisk obstruktiv lungesygdom (KOL) – særligt hos personer, som ryger. Den hidtidige behandling har omfattet rygestop, symptomatisk medicinsk behandling som ved al anden KOL, men intet har kunnet standse det accelererede tab af lungefunktion og deraf følgende invaliditet, hvorfor den ultimative behandling har været lungetransplantation.

Lægemidlet Prolastin® er alfa-1-antitrypsin udvundet af donorplasma og lægemidlet har ultimo marts 2006 opnået markedsføringstilladelse i Danmark via den gensidige anerkendelsesprocedure med Tyskland som referenceland. Lægemidlet må kun udleveres til sygehuse, da diagnostik og opfølgning af behandlingen efter Lægemiddelstyrelsens opfattelse alene bør varetages på afdelinger med lungemedicinsk ekspertise.

Det understreges, at det forhold, at et lægemiddel har opnået markedsføringstilladelse ikke automatisk betyder, at lægemidlet tages i anvendelse på danske sygehuse. Det sidste vil bero på en regional stillingtagen.

Lægemiddelstyrelsen har i perioden før godkendelse af Prolastin® givet enkeltudleveringstilladelse til to navngivne patienter mhp. behandling i lungemedicinsk speciallægepraksis. Under henvisning til disse patienters svære sygdom og de praktiske problemer en overgang til behandling på sygehus kunne medføre, har Lægemiddelstyrelsen givet dispensation til at disse to patienter på trods af den fastsatte udleveringsgruppe som hospitalsforbeholdt fortsætter behandlingen i speciallægepraksis efter godkendelsen af Prolastin®. Yderligere dispensation kan ifølge Lægemiddelstyrelsen ikke forventes imødekommet.

Der anslås at være ca. 500 patienter med alfa-1-antitrypsin-mangel i Danmark, hvoraf en del ikke vil være interesserede i prolastin-behandlingen bl.a. pga. manglende symptomer på nuværende tidspunkt samt det forhold, at behandlingen gives som ugentlige intravenøse indsprøjtninger. Det er Lægemiddelstyrelsens vurdering, at der vil være et sted mellem 100 og 300 patienter i Danmark som både vil være kandidater til behandlingen og være interesseret i at modtage denne. Lungemedicinsk afdeling på KAS Gentofte har den nationalt koordinerende funktion i forhold til substitutionsbehandling med alfa-1-antitrypsin, og her vurderer man, at ca. 150 patienter vil kunne behandles.

Ca. 35 danske patienter har indgået i et klinisk forsøg med alfa-1-antitrypsin (se nedenfor). Forsøget er nu afsluttet og patienterne er derfor ikke længere i substitutionsbehandling med alfa-1-antitrypsin.

Der eksisterer kun yderst sparsom dokumentation for behandling med alfa-1-antitrypsin, og der er her primært tale om afrapportering af mindre kliniske forsøg, som indikerer, at indsprøjtninger (én gang ugentlig) med alfa-1-antitrypsin udvundet af plasma fra bloddonorer, kan nedsætte det accelererede tab af lungefunktion og reducere dødeligheden af sygdommen sammenlignet med ubehandlede patienter. Kvaliteten og validiteten (udsagnsstyrken) af disse kliniske forsøg må dog gennemgående anses for lav.

Der er kun publiceret ét randomiseret studie (høj udsagnsstyrke) vedr. substitutionsbehandling med alfa-1-antitrypsin. Dette studie kunne ikke dokumentere nogen signifikant effekt af behandlingen.

Senest har en canadisk MTV-rapport fra februar 2007 gennemgået dokumentationen for substitutionsbehandling med alfa-1-antitrypsin – herunder behandling med Prolastin®. Rapportens konklusioner efter gennemgang af den eksisterende dokumentation er helt i overensstemmelse med Sundhedsstyrelsens vurdering af litteraturen. Rapporten konkluderer, at der ikke er dokumenteret effekt af behandling med alfa-1-antitrypsin i randomiserede kontrollerede studier. De eksisterende kohortestudier, som kan vise en vis effekt, anses i rapporten for at skulle tolkes med forsigtighed pga. risiko for bias og pga. forskelle imellem de grupper, som blev sammenlignet i de pågældende studier. Den canadiske rapport kunne ikke finde dokumentati-

on for effekt på livskvalitet og aktivitetsniveau ved substitutionsbehandling med alfa-1-antitrypsin.

I øjeblikket afventes resultaterne fra et randomiseret multicenterstudie, som gennemføres med dansk deltagelse fra Odense Universitetshospital og Gentofte Hospital. Det blev godkendt af Lægemiddelstyrelsen den 9. oktober 2003. Resultaterne af forsøget vil formentlig foreligge i løbet af 2007.

Det er, i lyset af ovenstående, samlet set Sundhedsstyrelsen vurdering, at der pt. ikke foreligger tilstrækkelig god dokumentation for effekt af behandlingen med alfa-1-antitrypsin, og at behandlingen derfor ikke bør være behandlingstilbud i Danmark, før der foreligger god og sikker dokumentation for effekten af behandlingen.

Sundhedsstyrelsen har drøftet dette med det Rådgivende Udvalg for Specialeplanlægning, hvor der var støtte til Sundhedsstyrelsens holdning, og hvor de 5 regioner var enige om ikke at tilbyde substitutionsbehandling med alfa-1-antitrypsin før der foreligger god og sikker dokumentation for effekt af behandlingen. I første omgang afventes resultaterne fra det igangværende multicenterstudie, som forventes offentliggjort i løbet af 2007. Når resultaterne af det igangværende randomiserede multicenterstudie foreligger, vil Styrelsen bringe behandlingen op til fornyet drøftelse i udvalget.”

Jeg kan henholde mig til Sundhedsstyrelsens oplysninger.