

Grundnotat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse for lægemidlet Firazyr - icatibant til sjældne sygdomme

Resumé

En vedtagelse af det foreliggende forslag vil indebære, at der udstedes en markedsføringstilladelse til lægemidlet Firazyr. Lægemidlet anvendes til symptomatisk behandling af akutte anfald af arveligt angioødem (HAE) hos voksne (med C1-esterase-inhibitor-mangel).

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/1/08/461/001 (EMEA/H/C/899)) til den ovenfor nævnte beslutning er fremsendt til medlemsstaterne den 9. juni 2008.

Forslaget har som retsgrundlag artikel 4, stk. 1 og 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 forskriftskomiteén i hænde senest den 30. juni 2008.

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 for 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 Firazyr, som giver adgang til at markedsføre lægemidlet i samtlige 27 medlemsstater.

Kort beskrivelse af lægemidlet

Firazyr er indiceret til symptomatisk behandling af akutte anfald af hereditært angioødem (HAE) hos voksne (med C1-esterase-inhibitor-mangel). Hereditært angioødem er en sjælden, livstruende sygdom karakteriseret ved anfald af ødemer (hævelser) af hud, slimhinder og underliggende væv på grund af mangel på proteinet C1-esterase-hæmmer. Hvis ødeme involverer svælget, er tilstanden livstruende. Hævelserne i tarmslimhinden medfører voldsomme, undertiden indlæggelseskrævende og operationsudløsende, mavesmerter evt. med kvalme, opkastning og diarré. Mindre almindelige symptomer ses i urinveje, lunger og centralnervesystemet. Anfaldene optræder med ugers til års interval og kan provokeres af traumer, fysisk og psykisk stress, infektioner, hormonelle forhold og visse lægemidler. Anfaldene varer som regel 12-72 timer. Patienter kan have den medfødte form, hvor den nedsatte evne til at danne proteinet er nedarvet, eller den erhvervede form, hvor der dannes normale mængder af proteinet, men hvor det alt for hurtigt nedbrydes. Symptomerne kan optræde i barnealderen og debuterer hos ca. halvdelen af patienterne før 6-7 års alderen. Anfaldsfrekvens og -sværhedsgrad aftager som regel med alderen.

Behandlingen inddeles traditionelt i tre faser - langtidsforebyggelse, korttidsforebyggelse (fx i forbindelse med kirurgiske indgreb i mund- og halsområdet) og anfaldsbehandling:

- Lægemidlet tranexamsyre er en fibrinolysehæmmer, der fremmer blodets evne til at størkne, og det må derfor kun gives til personer uden kendt risiko for blodpropper. Det giver ikke komplet behandlingsrespons. Danazol er et modificeret anabolsk steroid, der stimulerer dannelsen af C1-INH. Präparatet har mange bivirkninger, herunder alvorlig leverpåvirkning og virilisering. Disse lægemidler anvendes til langtidsforebyggelse.

- De to nævnte lægemidler bruges også til korttidsforebyggelse, hvor C1-INH-koncentrat og frisk frosset plasma (begge udvundet af donorblod) ligeledes anvendes.
- Akutte anfald behandles med C1-INH-koncentrat, der gives intravenøst (i en blodåre).

Ved sygdommen HAE er blodets indhold af bradykinin øget, hvilket medfører de typiske symptomer. Firazyr blokerer bradykinins aktivitet og standser derfor udviklingen af symptomer. I kliniske studier er der fundet en væsentlig hurtigere tid til symptomlindring med Firazyr end med både tranexamsyre og placebo. Præparatet gives som indsprøjtning under huden, bedst på maven. Der skal udvises forsigtighed hos patienter med visse hjertesygdomme og efter slagtilfælde.

Blandt de almindeligste bivirkninger er reaktioner på indsprøjtningsstedet, unormale resultater af visse blodprøver, udslæt, hovedpine, kvalme og svimmelhed.

Firazyr må kun udleveres efter recept.

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 akutte anfaldsbehandling af patienter med HAE foregår typisk på skadestuer, eller evt. hos de praktiserende læger eller vagtlæger. Diagnosen kan somme tider overses, og antallet af patienter med sygdommen i Danmark er ikke kendt, men skønnes at være mellem 1 pr. 10.000 og 1 pr. 50.000. Med indførelsen af dette nye lægemiddel med en hurtigere indsættende virkning end den sædvanlige behandling forventes den generelle behandling af sygdommen at forbedres.

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.

Da man endnu ikke kender den pris, som Firazyr vil blive solgt til, og da man ikke har overblik over, hvor stor en del af patienterne med akutte anfald af hereditært angioødem (HAE) hos voksne (med C1-esterase-inhibitor-mangel), der vil skulle tilbydes behandling med Firazyr, 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 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.