

LÆGEMIDDEL
STYRELSEN

Indenrigs- og Sundhedsministeriet
Sundhedsafdelingen, 4. kontor
Soltsholmsgade 10-12
1216 København K

Varslingsnotat om ny udgiftstung behandling – substitutionsterapi af patienter med alfa-1-antitrypsin mangel

10. april 2006

Lægemiddelstyrelsen skal med nærværende brev henlede Ministeriets opmærksomhed på, at et nyt behandlingstilbud til patienter med den arvelige lungesygdom *alfa-1-antitrypsin-mangel* kan forventes indført som følge af godkendelse af lægemidlet Prolastin®, samt at dette vil medføre en væsentlig øgning i udgifterne på landets lungemedicinske afdelinger.

Lægemiddelstyrelsen
Axel Heides Gade 1
DK-2300 København S

Vor ret:
Steffen Thirstrup

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.

Tlf: 44 88 95 95
Man-tor 8.30 - 16.00
Fre 8.30 - 15.30
Fax: 44 88 95 99
E-mail: dkma@dkma.dk
Internet:
laegemiddelstyrelsen.dk

Mere end 15 års erfaring fra udlandet samt en række mindre kliniske forsøg, hvoraf flere har været gennemført i Danmark, har godtgjort at regelmæssige 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.

X400:
c=dk; a=dk400;
p=dkma; s=dkma

Der anslås at være hen ved 500 patienter med alfa-1-antitrypsin-mangel i Danmark, hvoraf en del ikke vil være interesserede i 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.

Direkte tlf.
+45 4488 9187
Direkte fax:
+45 4488 9376
Personlig e-mail:
STH@dkma.dk

Lægemidlet Prolastin® er alfa-1-antitrypsin udvundet af donorplasma og lægemidlet har ultimo marts 2006 opnået markedsføringsstilladelse i Danmark via den gensidige anerkendelsesprocedure med Tyskland som referenceland. Det er uvist hvornår producenten ønsker at markedsføre produktet, men der synes at være stor interesse for behandlingen blandt danske patienter, hvorfor det er nærliggende at forvente en snarlig markedsføring. Lægemidlet må kun udleveres til sygehuse, da diagnostik og opfølgning af behandlingen efter Lægemiddelstyrelsens opfattelse

alene bør varetages på afdelinger med lungemedicinsk ekspertise. Den pris, som Prolastin® vil blive solgt til i Danmark, er i øjeblikket ikke Lægemiddelstyrelsen bekendt. Baseret på prisoplysninger fra andre lande, hvor produktet er markedsført anslår en årlig behandlingsudgift på 350-500.000 kr. per patient per år i direkte omkostninger til medicinen alene. Hertil skal lægges ekstra udgifter til ugentlige ambulatorie-besøg mm.

Det vil således ikke være urealistisk at anslå, at indførelse af Prolastin® som behandlingstilbud til patienter med alfa-1-antitrypsin-mangel vil kunne afstedkomme en merudgift i sygehussektoren på op imod 150 mio. kr. årligt.

Skulle Ministeriet have yderligere spørgsmål til ovenstående kan undertegnede kontaktes.

Venlig hilsen

Steffen Thirstrup
Overlæge, PhD

(17)

METTE AABOE HANSEN - 9317

Fra: METTE AABOE HANSEN - 9317**Sendt:** 7. juli 2005 13:43**Til:** Paul Shüder, 'jep@im.dk'**Emne:** Notat om Prolastin - udleveringstilladelser

Kære Paul og John Erik

Vedhæftet fremsendes til orientering et notat fra Lægemiddelstyrelsen vedr. meddelelse af udleveringstilladelser til Prolastin. Prolastin er et biologisk lægemiddel, der anvendes til substitutionsterapi hos patienter, der lider af stærkt nedsat lungefunktion (alfa1-antitrypsin mangel – en sjælden sygdom der rammer 2-3000 patienter i Danmark). Problemstillingen vedr. lægemidlet er de patientinteresser, der kan være i lægemidlet, og de derved følgende økonomiske konsekvenser ved behandling med lægemidlet.

Notatet har været fremsendt til Sundhedsstyrelsen til orientering (kontorchef Eva Hammershøj).

Som I vil kunne se af notatet, forventes det ikke, at der vil blive mulighed indenfor sygehusbudgetterne for at åbne op for en behandling i videre omfang med Prolastin. Det kan dog ikke afvises, at der vil blive debat omkring muligheden for at anvende dette lægemiddel, hvorfor I hermed orienteres.

Udleveringstilladelse til 3 patienter vil blive meddelt fra Lægemiddelstyrelsen i morgen.

Medvenlig hilsen

Mette Aaboe Hansen,
Sekionsleder, Lægemiddelgodkendelse