

Notat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse for lægemidlet Firazyr – icatibant til sjældne sygdomme

. / . Ovennævnte forslag er beskrevet i vedlagte grundnotat.

Forslaget behandles i skriftlig procedure, og Kommissionen har oplyst, at medlemsstaternes stillingtagen skal være formanden for forskriftskomiteén i hænde senest den 30. juni 2008.

Firazyr er indiceret til symptomatisk behandling af akutte anfald af arveligt angioødem (HAE) hos voksne (med C1-esterase-inhibitor-mangel). Arveligt 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. 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.

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 (traditionel langtidsforebyggende behandling) 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.

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.

Regeringen kan på denne baggrund støtte Kommissionens forslag.