

Ministeriet for Sundhed og Forebyggelse
LMK J.nr. 2009-1307-391

Notat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse med betingelser for lægemidlet Nplate - romiplostim

. / . 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 26. januar 2009.

Nplate inderholder det aktive stof romiplostim. Romiplostim er fremstillet ved hjælp af rekombinant DNA-teknologi i *Escherichia coli* (*E. coli*).

Nplate er indiceret til voksne patienter, som har fået fjernet milten som led i behandlingen af den sjældne sygdom, kronisk immun (idiopatisk) trombocytopenisk purpura (ITP), og som er refraktære over for andre behandlinger (fx kortikosteroider, immunoglobuliner). ITP er karakteriseret ved et nedsat antal blodplader pga. øget destruktion af disse celler i milten. Mangel på blodplader viser sig ved øget blødningstilbøjelighed. Der er tale om et biologisk lægemiddel med en helt ny virkningsmekanisme.

Nplate kan også overvejes som andevalgs-behandling til voksne patienter i stedet for miltfjernelse, hvis det kirurgiske indgreb er kontraindiceret.

Lægemidlet indgives en gang ugentligt som en subkutan injektion under nøje kontrol af blodpladetallet. Bivirkningerne har relation til den farmakologiske virkning på de bloddannende celler i knoglemarven. Dels kan en utilsigtet stor stigning i blodpladetallet bevirke blodpropper, dels vil en stimulation af de celler, der danner blodplader, bevirke, at der sker en stimulation af de celler, der danner de fibre, som er forstadiet til bindevæv. Herved er der risiko for fortrængning af den normale knoglemarv. I praksis er denne skade ikke set. En anden risiko er udvikling af antistoffer mod lægemidlet, som kan bevirke tab af effekt. Mere alvorligt er det, at sådanne antistoffer krydsreagerer med det naturlige trombopoietin (en vækstfaktor, som regulerer den normale dannelse af blodplader).

Nplate må kun udleveres efter begrænset recept; i Danmark vil lægemidlet kun blive udleveret på sygehuse.

Til markedsføringstilladelsen til Nplate er der fastsat en række betingelser eller begrænsninger som angivet i artikel 127a i Direktiv 2001/83/EF, som medlemsstaterne er forpligtet til at implementere nationalt. Indehaveren af markedsføringstilladelsen skal aftale indholdet i et informationsprogram med de relevante nationale myndigheder og derefter implementere programmet nationalt for at sikre, at læger, før de ordinerer lægemidlet, modtager en informationspakke, der er målrettet sundhedspersonale, og som har følgende indhold: 1) Informationsmateriale 2) Produktresumé (SPC) samt indlægsseddel og etikettering.

Informationsmaterialet skal især fokusere på dosering i forhold til det aktuelle blodpladetal og sundhedspersonalets pligter i forbindelse med ordination af romiplostim og nødvendigheden af grundig patientvejledning angående forholdet mellem risici og fordele.

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.

Regeringen kan på denne baggrund støtte Kommissionens forslag.