

Ministeriet for Sundhed og Forebyggelse  
LMK J.nr. 2009-1307-403

## **Grundnotat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse for lægemidlet MEPACT - mifamurtid til sjældne sygdomme**

### **Resumé**

En vedtagelse af det foreliggende forslag vil indebære, at der udstedes en markedsføringstilladelse til lægemidlet MEPACT- mifamurtid.

Lægemidlet anvendes til børn, unge under 18 år og unge voksne til behandling af resektabel ikke-metastatisk osteosarkom<sup>1</sup> med høj malignitetsgrad efter makroskopisk komplet kirurgisk resektion. Midlet anvendes i kombination med post-operativ kemoterapi. Produktets sikkerhed og effekt er blevet vurderet i undersøgelser af patienter, der var 2 til 30 år ved den indledende diagnose.

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/1/08/502/001 (EMEA/H/C/00802)) til den ovenfor nævnte beslutning er fremsendt til medlemsstaterne den 28. januar 2009.

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 forstanden for forskriftskomiteén i hænde senest den 19. februar 2009.

---

<sup>1</sup> Knoglekræft

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 Lægemeddelagentur. Lægemeddelagenturets 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 Lægemedler 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 Lægemedler). Hver medlemsstat 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 Lægemedler. 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 MEPACT, som giver adgang til at markedsføre lægemidlet i samtlige 27 medlemsstater.

### **Kort beskrivelse af lægemidlet**

MEPACT er indiceret til børn, unge under 18 år og unge voksne til behandling af resektabel ikke-metastatisk osteosarkom med høj malignitetsgrad efter makroskopisk komplet kirurgisk resektion. Midlet anvendes i kombination med post-operativ kemoterapi. Produktets sikkerhed og effekt er blevet vurderet i undersøgelser af patienter, der var 2 til 30 år ved den indledende diagnose.

Lægemidlet gives som infusion som supplerende behandling efter resektion to gange om ugen i 12 uger, efterfulgt af behandlinger én gang om ugen i yderligere 24 uger.

Sarkomer er en sjælden gruppe af kræftsygdomme, der blandt andet udgår fra knogler. De plejer overordnet at opdeles i knoglesarkomer og bløddelssarkomer. Knoglesarkomerne kan inddeles afhængigt af, hvor aggressive cellerne er. Osteosarkom er den hyppigste form for knoglesarkom og findes oftest hos børn og unge. Sygdommen opstår som regel i en af de lange rørknogler, men kan forekomme i alle knogler.

MEPACT indeholder det aktive stof mifamurtid, der ligner en komponent i cellevæggen hos visse bakterier. Mifamurtid stimulerer immunsystemet og hjælper dermed kroppen med at dræbe svulstceller.

Lægemidlet må ikke bruges ved samtidig anvendelse af medicin, der indeholder ciclosporin eller tacrolimus (bruges efter transplantationer) eller høje doser af NSAID (= non-steroidal-anti-inflammatorisk drugs; bruges ved feber, smerte, gigt). Forsigtighed med behandling skal udvises ved kardiovaskulære sygdomme, ved astma eller andre åndedrætssygdomme, eller hvis man har haft en betændelsesagtig eller autoimmun sygdom eller er blevet behandlet med kortikosteroider eller anden medicin, som kan påvirke immunsystemet.

Meget almindelige bivirkninger er feber, rysten/kulderystelser, svaghed, træthed eller almindeligt ubehag, kvalme og/eller opkastning, diarré eller forstoppelse, hovedpine eller svimmelhed, hurtig puls, højt eller lavt blodtryk, ingen appetit, svedafsondring, smerter, herunder smerter i muskler og/eller led og smerter i ryg, bryst, mave, arme eller ben, hoste, åndedrætsbesvær og blodmangel.

Lægemidlet må kun udleveres efter begrænset 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**

Osteosarkom er den hyppigste form for knoglekræft hos unge mennesker. I Danmark diagnosticeres hvert år ca. 5 tilfælde hos teenagere og unge, dvs. i forbindelse med vækstspurten.

Behandlingen af osteosarkom sker i Danmark som led i et internationalt samarbejde, hvorved patienten sikres en tidssvarende behandling, samtidig med at de erfaringer som høstes, kan blive brugt til at forbedre den fremtidige behandling. Princippet i behandlingen er at formindske størrelsen af kræftsvulsten med kemoterapi, før den fjernes ved operation. På den måde kan operationens omfang begrænses. Efter operationen fortsætter kemoterapien for at udrydde de kræftceller, som kan have spredt sig i blodkarrene før eller under operationen. Kemoterapien efter operationen afhænger af, hvordan osteosarkomet havde svaret på behandlingen før operationen.

Med MEPACT får man en supplerende behandlingsmulighed.

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 MEPACT's salgspris endnu er ukendt, og da man ikke har overblik over, hvor stor en del af børn, unge under 18 år og unge voksne med resektabel ikke-metastatisk osteosarkom med høj malignitetsgrad efter makroskopisk komplet kirurgisk resektion, der vil skulle tilbydes behandling med MEPACT, forslagets nøjagtige økonomiske konsekvenser for regionerne ukendte.

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.