

Ministeriet for Sundhed og Forebyggelse

Dato: 6. juli 2009

Sagsnr.: 0905734

Sagsbeh.: SUMPBR / Lægemedelkontoret

Dok nr: 72208

Grundnotat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse under særlige omstændigheder for lægemidlet Vedrop - Tocofersolan

Resumé

En vedtagelse af det foreliggende forslag vil indebære, at der udstedes en markedsføringstilladelse til lægemidlet Vedrop - tocofersolan. Lægemidlet anvendes ved mangel på vitamin E som følge af malabsorption hos pædiatriske patienter, der lider af kronisk kongenit kolestase eller arvelig kronisk kolestase, fra fødslen (hos nyfødte, der fødes til terminen) op til 16- eller 18-års-alderen, afhængig af regionen.

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/1/09/533/001-003 (EMEA/H/C/920)) til den ovenfor nævnte beslutning er fremsendt til medlemsstaterne den 26. juni 2009.

Forslaget har som retsgrundlag artikel 4, stk. 1, artikel 10, stk. 2, og artikel 14, stk. 8, 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 formanden for forskriftskomiteén i hænde senest den 17. juli 2009.

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 mennesker afgives udtalelse af CHMP (Committee for Medicinal Products for Human Use – Udvalget for Humanmedicinske Lægemidler). Hver medlemsstat har udpeget 1 medlem til dette udvalg.

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

Kort beskrivelse af lægemidlet

Vedrop er indiceret ved mangel på vitamin E som følge af malabsorption hos pædiatriske patienter, der lider af kronisk kongenit kolestase eller arvelig kronisk kolestase, fra fødslen (hos nyfødte, der fødes til terminen) op til 16- eller 18-årsalderen, afhængig af regionen.

Kronisk kongenit eller arvelig kolestase omfatter en række af sygdomme eller udviklingsanomalier, hvor galde ikke kan udskilles fra leveren til tarmene. Derved nedsættes optagelsen af fedt og fedtopløselige vitaminer med forskellige kliniske affektioner til følge. Vitamin E mangel kan give neurologiske følger.

Lægemidlet må ikke anvendes til præmature børn.

Nyre- og leverfunktionen skal overvåges tæt hos patienter, som har problemer med nyrerne, henholdsvis leveren. Blødningstendensen kan øges hos patienter med vitamin K mangel eller patienter, som behandles med anti-vitamin K. Derfor skal lægen jævnligt ordinere visse blodprøver og justere behandling for at undgå en øget risiko for blødning.

Vedrop indtages igennem munden.

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

Behandling for disse sjældne sygdomme er en specialistopgave. Den hyppigste årsag til kongenit eller arvelig kolestase er den såkaldte galdevejsatresi med ca. 4-6 nye tilfælde i Danmark om året.

Der findes flere vitamin E-præparater i form af såvel lægemidler som kosttilskud, men Vedrop er det første lægemiddel, som er godkendt til denne indikation.

Vedrop indeholder en vandopløselig form af vitamin E.

Vedrop er som alle nye lægemidler tilknyttet en såkaldt Risk Management Plan (RMP), som skal sikre korrekt og sikker anvendelse af lægemidlet. Godkendelsen af Vedrop er ikke tilknyttet et særligt program til risikominimering, hvorfor 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.

Vedrop er blevet godkendt under særlige omstændigheder, og indehaveren af markedsføringstilladelsen skal inden for en fastsat tidsramme afslutte sine undersøgelser. Resultaterne af disse undersøgelser vil danne grundlaget for den årlige revurdering af risk/benefit-forholdet. Dette omfatter deltagelse i den gruppe virksomheder, der samarbejder med det franske lægemiddelagentur AFSSAPS til vurdering af den potentielle risiko forbundet med propylparaben for det reproduktive system hos neonatale rotter. Desuden skal der oprettes et register med patienter med kronisk kongenit kolestase eller arvelig kronisk kolestase.

Da man endnu ikke kender den pris, som Vedrop vil blive solgt til, og da man ikke har overblik over, hvor stor en del af patienterne med kronisk kongenit eller arvelig kolestase, der vil skulle tilbydes behandling med Vedrop, kan man ikke præcist udtale sig om forslagens 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 ekspertudvalget 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.