

Ministeriet for Sundhed og Forebyggelse

Dato: 14. august 2009

Sagsnr.: 0906459

Sagsbeh.: SUMPBR / Lægemedelkontoret

Dok nr: 87188

Grundnotat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse for lægemidlet ChondroCelect® (Karakteriserede, levedygtige, autologe bruskceller, opformeret *ex vivo*, som udtrykker specifikke markørproteiner)

Resumé

En vedtagelse af de to foreliggende forslag vil indebære, at der udstedes en markedsføringstilladelse med betingelser til lægemidlet ChondroCelect®. Lægemidlet anvendes til reparation af enkelte symptomgivende bruskdefekter af svær grad på lårbensknoglens ledflade i knæledet hos voksne. Der er tale om et lægemiddel til såkaldt avanceret terapi, og produktet er det første af sin art, der står for at blive godkendt.

En vedtagelse af forslagene kan indebære behandlingsmæssige fordele, og i den sammenhæng udgør forslagene en forbedring af sundhedsbeskyttelsesniveauet i Danmark.

1. Indledning

Kommissionens forslag (EU/1/09/563/001 (EMEA/H/C/00878)) til den ovenfor nævnte beslutning er fremsendt til medlemsstaterne den 7. august 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.

Endvidere foreligger der forslag til beslutning i henhold til artikel 127a i Europa-Parlamentets og Rådets direktiv 2001/83/EF, for så vidt angår tilladelse til markedsføring af lægemidlet ChondroCelect®.

Forslagene behandles i skriftlig procedure, og Kommissionen har oplyst, at medlemsstaternes stillingtagen til forslagene skal være formanden for forskriftskomiteén i hænde senest den 28. august 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. ChondroCelect®, der er et lægemiddel til avanceret terapi, hører til i denne produktgruppe. 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 immunforsvars-

sygdomme, 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 mennesker afgives udtalelse af CHMP (Committee for Medicinal Products for Human Use – Udvalget for Humanmedicinske Lægemedler). Hver medlemsstat har udpeget 1 medlem til dette udvalg. Når der er tale om lægemidler til avanceret terapi, hører CHMP Udvalget for Avancerede Terapier (CAT) om de videnskabelige vurderinger af lægemidlerne, der er nødvendige for, at CHMP kan afgive en indstilling vedrørende godkendelse af produktet. Høringen af CAT finder således sted, inden CHMP afgiver sin udtalelse.

Kommissionen træffer herefter 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. Forslagenes formål og indhold

Vedtagelse af Kommissionens forslag til beslutning indebærer, at der af Kommissionen kan udstedes en markedsføringstilladelse med betingelser til lægemidlet ChondroCelect®, som giver adgang til at markedsføre lægemidlet i samtlige 27 medlemsstater.

Kort beskrivelse af lægemidlet

Bruskdefekter i knæet opstår enten som følge af et traume (fx sportsskader) eller med baggrund i en degenerativ ledsygdom som eksempelvis slidgigt. Større bruskdefekter giver patienten smerter, ledhævelse og indskrænket bevægelighed i leddet. Den hidtidige behandling - udover rent symptomatisk smertebehandling - har omfattet arthroskopisk (via kikkert) oprensning af leddet med fjernelse af løse bruskelementer. Hvis denne behandling ikke har vist sig tilstrækkelig, har man kunnet foretage såkaldt mikrofrakturering, hvor der bores små huller gennem bruskdefekten ned i den underliggende knogle. Herved får knoglemarvens stamceller adgang til leddet og kan bidrage til gendannelse af brusken på det beskadigede område. Ved fortsatte gener har man i enkelte tilfælde på udvalgte centre kunnet tilbyde transplantation af patientens egne bruskvæv eller -celler.

ChondroCelect® er et lægemiddel/avanceret terapi, som benytter patientens egne bruskceller (autologe celler) til transplantation. Hvis kirurgen ved den indledende undersøgelse finder indikation for behandling med transplantation af patientens egne bruskceller (= ChondroCelect®), udtages en mindre mængde brusk (en biopsi), som herefter videreføres af ChondroCelect-producenten og returneres (efter ca. 4 uger) til kirurgen, som derefter kan anvende ChondroCelect® til behandling af den pågældende navngivne patient. Forarbejdning af patientens biopsi foregår efter de krav, som ligger til grund for godkendelsen af lægemidlet, og et færdigt produkt må kun returneres, såfremt en række nærmere kvalitetskrav er opfyldt. Herefter kan ChondroCelect® indeholdende patientens egne opformerede bruskceller 'transplanteres' ind på området med bruskdefekt, og området forsegles med en biologisk membran. Behandlingen skal efterfølges af genoptræning.

Effekten af Chondrocelect® er sammenlignet med behandling med mikrofrakturteknik i en enkelt undersøgelse. Effekten er kun tilstrækkeligt belyst for brusklesioner mellem 1 og 5 cm², hvilket afspejles i indikationens ordlyd. Effekten af Chondrocelect® er sammenlignelig eller for enkelte parametre bedre end effekten af mikrofraktur-behandling - især hos patienter med symptomer i mindre end 3 år. Bivirkningerne ved behandlingen er hovedsageligt relateret til det kirurgiske indgreb og omfatter symptomer fra det afficerede led.

Behandlingen må kun finde sted efter begrænset recept og skal foretages af en kirurg med særligt kendskab til behandlingen - herunder det tilhørende risikostyringsprogram (se nedenfor).

Til markedsføringstilladelsen er der fastsat en række betingelser eller restriktioner som angivet i artikel 127a i Europa-Parlamentets og Rådets direktiv 2001/83/EF, som medlemsstaterne er forpligtet til at implementere nationalt.

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 forslagene.

5. Forslagenes konsekvenser for Danmark

I Danmark gennemføres i øjeblikket 5-10.000 operationer årligt for bruskdefekter - overvejende i knæled - med metoder som beskrevet ovenfor. Kun en mindre del af disse patienter vil være kandidater til behandling med ChondroCelect® - evt. som et alternativ til behandling med mikrofraktur-teknik. Behandlingen må kun finde sted på sygehuse eller klinikker med kirurger og andet sundhedspersonale, som har gennemgået en i risikostyringsprogrammet nærmere anført uddannelse.

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 forslagene en bedring af sundhedsbeskyttelsen.

Da man endnu ikke kender den pris, som ChondroCelect® vil blive solgt til, og da man ikke har overblik over, hvor stor en del af patienterne med bruskdefekter i knæleddet, der vil skulle tilbydes behandling med ChondroCelect®, kan man ikke præcist udtale sig om forslagenes økonomiske konsekvenser for regionerne.

På baggrund af forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse for lægemidlet ChondroCelect®, omhandlet i artikel 127a i Europa-Parlamentets og Rådets direktiv 2001/83/EF, er godkendelsen af hensyn til en sikker og virkningsfuld anvendelse af lægemidlet ledsaget af et særligt risikostyringsprogram. Dette risikostyringsprogram pålægger indehaveren af markedsføringstilladelsen at sikre sig, at de institutioner og sundhedsfaglige personer, som foretager behandling med ChondroCelect®, har gennemgået et nærmere angivet uddannelses- og informationsprogram til sikker håndtering af produktet.

Forslagene 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 forslagene.

8. Generelle forventninger til andre landes holdninger

Forslagene har været behandlet i ekspertudvalget CHMP, som med enstemmighed har kunnet anbefale markedsføringen af det pågældende lægemiddel.

Forslagene har ikke været drøftet i EU-regi efter behandlingen i CHMP, hvorfor forhandlingssituationen er uafklaret.

Det forventes, at hovedparten af medlemsstaterne kan støtte forslagene.

9. Tidligere forelæggelse for Folketingets Europaudvalg

Forslagene har ikke tidligere været forelagt Folketingets Europaudvalg.