

Ministeriet for Sundhed og Forebyggelse

Dato: 2. september 2009
Sagsnr.: 0906983
Sagsbeh.: SUMTSP / Lægemiddelkontoret
Dok nr: 96271

Notat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsførings-tilladelse på særlige vilkår for lægemidlet "ARCALYST - Riloncept" til sjældne sygdomme

./. Ovennævnte forslag er beskrevet i vedlagte grundnotat.

Forslagene behandles i skriftlig procedure, og Kommissionen har oplyst, at medlemsstaternes stillingtagen til forslagene skal være formanden for forskriftskomiteén i hænde senest den 16. september 2009.

Kort beskrivelse af lægemidlet

Lægemidlet anvendes til behandling af kryopyrin-associerede periodiske syndromer (CAPS) med svære symptomer, herunder familiært kulde autoinflammatorisk syndrom (FCAS) og Muckle-Wells syndrom (MWS) hos voksne og børn i alderen 12 år og derover.

Kryopyrin er et protein, som koder for CIAS1/NALP3-genet, som er involveret i aktiveringen af en signalsubstans ved navn IL-1beta. Denne substans er meget vigtig for den inflammatoriske proces (kroppens svar på en infektion).

Hos patienter, som lider af kryopyrin-associerede periodiske syndromer, er CIAS1/NALP3-genet defekt, hvilket medfører en unormal stor aktivitet af kryopyrin-proteinet og efterfølgende en unormal stor aktivering af IL-1beta. Symptomerne, som resulterer fra den systemiske (hele kroppen) inflammation, inkluderer periodevis høj feber, udslæt, hovedpine, udtalt træthed og ledproblemer. På længere sigt kan der komme yderligere komplikationer som døvhed.

Strukturelt er ARCALYST magen til IL-1beta receptor (det protein, som IL-1beta interagerer med og gennem hvilket det kan sende signaler). ARCALYST binder til IL-1beta og hæmmer således sidstnævntes skadelige aktivitet.

Almindelige bivirkninger omfatter virusinfektion, bronchitis, infektion i hud, øjne eller ører, træthed, forhøjet blodtryk, lungebetændelse, mave-tarm-infektion, svimmelhed, rødmen, overfølsomhedsreaktion, angst og søvnløshed. Ikke almindelige bivirkninger omfatter meningitis, betændelse i øjet (iritis) og ændringer i kolesterolniveau eller blodtal.

Forsigtighed bør udvises ved aktive infektioner og overfølsomhed.

Der er ingen andre godkendte lægemidler til behandling af CAPS. Udtalt opblussen af sygdommen kan nogle gange behandles med antiinflammatorisk medicin.

ARCALYST udleveres efter begrænset recept.

Lægemiddelstyrelsens vurdering

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.

Regeringen kan på denne baggrund støtte forslaget.