

Notat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse for lægemidlet Kuvan – sapropterindihydrochlorid.

. / . 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. november 2008.

Kuvan anvendes til behandling af hyperfenylalaninæmi (HPA) hos voksne og pædiatriske (børn) patienter fra 4 år og opefter med fenylketonuri (PKU) og tetrahydrobiopterin (BH4) mangel, som har vist at respondere på behandling.

PKU, der også hedder Føllings sygdom eller phenylketonuri, er én blandt mange sygdomme, som opstår som følge af defekter i nedbrydningsvejene for aminosyrer. Aminosyrer er de byggesten, der indgår i proteiner. PKU opstår som følge af en defekt i enzymet fenylalanin hydroxylase, der omdanner aminosyren fenylalanin til aminosyren tyrosin. Tilstedeværelsen af tetrahydrobiopterin (BH4) er nødvendig for, at denne proces kan forløbe. Tilstanden kan derfor også forårsages af BH4 mangel. En defekt i fenylalanine hydroxylase fører til ophobning af fenylalanin i blodet. Ubehandlet fører dette til hjerneskade i form af mental retardering og epilepsi. Behandling skal iværksættes umiddelbart efter fødslen. PKU og BH4 mangel behandles gennem diætbehandling, hvor indtaget af fenylalanin begrænses.

Kuvan er en kunstig kopi af tetrahydrobiopterin (BH4). Ved at erstatte det BH4, som kroppen ikke selv kan danne, mindsker Kuvan det skadelige overskud af fenylalanin i blodet.

Før en endelig Kuvan-behandling iværksættes, skal patienten først testes for, om denne responderer på en sådan behandling. Da HPA, hvad enten det er forårsaget af PKU eller af BH4 mangel, er en kronisk tilstand, er Kuvan beregnet til langtidsbehandling, når behandlingsrespons er påvist.

De hyppigste bivirkninger observeret under Kuvan-behandling var: Hovedpine, tilstoppet næse, løbenæse, ondt i halsen, hoste, diarre, opkastning, mavesmerter samt for lavt indhold af fenyylalanin i blodet.

Kuvan er ikke nærmere undersøgt i pædiatriske patienter under 4 år, i patienter over 65 år og i patienter med nedsat lever- eller nyrefunktion. Der bør udvises forsigtighed ved ordination til disse patientgrupper.

Lægemidlet er receptpligtigt.

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.

Regeringen kan på denne baggrund støtte Kommissionens forslag.