

Ministeriet for Sundhed og Forebyggelse

Dato: 28. januar 2010

Sagsnr.: 1000720

Sagsbeh.: SUMPBR / Sundhedsjuridisk center

Dok nr: 175323

Notat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse på særlige vilkår for lægemidlet Revolade – eltrombopag til sjældne sygdomme

. / . Ovennævnte forslag er beskrevet i vedlagte grundnotat.

Forslaget behandles i skriftlig procedure, og Kommissionen har oplyst, at medlemsstaternes stillingtagen skal være foranden for forskriftskomiteén i hænde senest den 9. februar 2010.

Lægemidlet anvendes til voksne med kronisk, immun (idiopatisk) trombocytopenisk purpura (ITP), der er splenektomerede (har fået fjernet milten), og som er refraktære over for anden behandling (f.eks. kortikosteroider og immunoglobuliner). Revolade kan overvejes som 2. valgs-behandling til ikke-splenektomerede voksne, hvor operation er kontraindiceret.

Ved ITP bindes autoantistoffer til de cirkulerende blodplader, som destrueres i milten. Mangel på blodplader viser sig ved øget blødningstilbøjelighed. Thrombopoietin er en vækstfaktor, som stimulerer knoglemarven til at danne blodplader. Revolade tilhører en gruppe af lægemidler, som kaldes trombopoietin-receptoragonister. Revolade er et lille molekyle, som interagerer med den humane TPO-R (thrombopoietin-receptor) og initierer en signaleringskaskade, som ligner signaleringskaskaden for det endogene thrombopoietin. Revolade hjælper derved med at øge antallet af blodplader i blodet.

Lægemidlet indtages som tablet en gang dagligt. Under behandling tages der regelmæssige blodprøver til monitorering af blodcellerne og leverfunktionen.

Bivirkningerne har relation til den farmakologiske virkning på de bloddannende celler i knoglemarven. Dels kan en utilsigtet stor stigning i blodpladetallet bevirke blodprop, dels vil en stimulation af de celler, der danner blodplader (megakaryocytter), bevirke, at der sker en stimulation af celler, der danner de fibre (retikulin), som er forstadiet til bindevæv, hvorved der er risiko for fortrængning af den normale knoglemarv. Relevansen af dette er endnu ikke fastslået. Efter seponeringen af lægemidlet vender blodpladetallet tilbage til udgangsniveauet, hvilket kan føre til blødning. Endvidere kan Revolade forårsage unormal leverfunktion. Endelig er der en teoretisk risiko for hæmatologisk malignitet forbundet med trombopoietin receptor-agonister.

Revolade må kun udleveres efter begrænset recept; i Danmark vil lægemidlet kun blive udleveret på sygehuse.

Til markedsføringstilladelsen for lægemidlet Revolade er der fastsat en række betingelser eller begrænsninger som angivet i artikel 127a i direktiv 2001/83/EF, som medlemsstaterne er forpligtet til at implementere nationalt. Indehaveren af markedsføringstilladelsen skal aftale indholdet i et undervisningsprogram med de relevante nationale myndigheder og derefter implementere programmet nationalt for at sikre, at læger, før de ordinerer lægemidlet, modtager en informationspakke, der er målrettet sundhedspersonale, og som har følgende indhold: 1) Informationsmateriale 2) Produktresumé (SPC) samt indlægsseddel og etikettering.

Centrale punkter, der skal være omfattet af informationsmaterialet, er følgende:

- Hepatotoxicitet
- Tromboemboliske hændelser
- Dosering
- Interaktioner med fødevarer
- Tilbagevendende trombocytopeni
- Forøget retikulinfibre i knoglemarven
- Hæmatologisk malignitet
- Potentiale for off-label brug

Regeringen kan på denne baggrund støtte Kommissionens forslag.