

Indenrigs- og Sundhedsministeriet

Enhed: Primær Sundhed
Sagsbeh.: SUMPBR
Sags nr.: 1008285
Dok. Nr.: 320735
Dato: 12. oktober 2010

Notat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsførings-tilladelse på særlige vilkår for lægemidlet Ruconest – conestat alfra 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 14. oktober 2010.

Lægemidlet Ruconest anvendes til akut anfaldsbehandling af angioødem hos voksne med arveligt angioødem (HAE) på grund af C1-esterase-inhibitor-mangel.

Arveligt angioødem er en sjælden, livstruende sygdom karakteriseret ved anfald af ødemer (hævelser) af hud, slimhinder og underliggende væv på grund af mangel på proteinet C1-esterase-hæmmer. Hvis ødemerne involverer svælget, er tilstanden livstruende. Hævelserne i tarmslimhinden medfører voldsomme, undertiden indlæggelseskrævende og operationsudløsende, mavesmerter, evt. med kvalme, opkastning og diarré. Mindre almindelige symptomer ses i urinveje, lunger og centralnervesystemet. Anfaldene optræder med ugers til års interval og kan provokeres af traumer, fysisk og psykisk stress, infektioner, hormonelle forhold og visse lægemidler. Anfaldene varer som regel 12-72 timer.

Behandlingen inddeles traditionelt i tre faser - langtidforebyggelse, korttidforebyggelse (fx i forbindelse med kirurgiske indgreb i mund- og halsområdet) og anfaldsbehandling:

Ruconest er en rekombinant form for human C1-inhibitor (rhC1INH) og fremstilles ved hjælp af rekombinant DNA teknologi af mælken fra kaniner. Behandling med Ruconest kan således afhjælpe manglen på C1-inhibitor i blodet. Behandlingen gives som intravenøs injektion (indsprøjtning i en blodåre). I kontrollerede kliniske studier er det vist, at behandlingseffekten sætter signifikant hurtigere ind end efter indgift af saltvand.

Da lægemidlet indeholder spor af kaninprotein, skal patienterne testes for evt. antistoffer mod kaninallergener før behandling, og kun ved negativt resultat må behandling påbegyndes. Testen skal gentages en gang årligt eller efter 10 behandlinger. Patienterne skal nøje overvåges for eventuelle overfølsomhedsreaktioner. Behandling med Ruconest skal påbegyndes under ledelse og overvågning af en læge, der har erfaring med diagnosticering og overvågning af arveligt angioødem. Lægemidlet skal administreres af sundhedspersonale.

Ruconest udleveres efter recept.

Der er ved fremstillingen af lægemidlet brugt genmodificerede organismer; da det alene er ved fremstillingsprocessen, skal der ikke udføres miljørisikovurdering.

Det er Lægemiddelstyrelsens vurdering, at det pågældende lægemiddel 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.

På baggrund af forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse med betingelser for lægemidlet Ruconest, omhandlet i artikel 127a i Europa-Parlamentets og Rådets direktiv 2001/83/EF, er det af hensyn til en sikker og virkningsfuld anvendelse af lægemidlet en betingelse for markedsføringstilladelsen, at indehaveren af markedsføringstilladelsen skal aftale informationsmaterialets indhold og format med den relevante nationale kompetente myndighed, og derefter implementere informationsmaterialet nationalt for at sikre, at alle læger, der forventes at ordinere Ruconest, har modtaget en informationspakke med produktresumé og indlægsseddel, oplysningsmateriale til lægen og kopier af patientkort, som skal gives til patienter, før de får Ruconest.

Regeringen kan på denne baggrund støtte Kommissionens forslag.