



Holbergsgade 6  
DK-1057 København K

T +45 7226 9000  
F +45 7226 9001  
M sum@sum.dk  
W sum.dk

## Folketingets Sundhedsudvalg

Dato: 22-06-2021  
Enhed: MEDINT  
Sagsbeh.: DEPKLN  
Sagsnr.: 2107385  
Dok. nr.: 1753904

Folketingets Sundhedsudvalg har den 15. april 2021 stillet følgende spørgsmål nr. 1115 (Alm. del) til sundhedsministeren, som hermed besvares. Spørgsmålet er stillet efter ønske fra Kirsten Normann Andersen (SF).

### Spørgsmål nr. 1115:

”Vil ministeren i fortsættelse af udvalgets møde med Medicinrådet 6/4-21 redegøre for EMA’s godkendelsesprocedurer af medicin og lægemidler til sjældne sygdomme, herunder hvilken dokumentation der skal foreligge for godkendelser?”

### Svar:

Jeg har til brug for besvarelsen af spørgsmålet indhentet bidrag fra Lægemiddelstyrelsen, som jeg kan henholde mig til. Lægemiddelstyrelsen oplyser:

”For at motivere lægemiddelindustrien til at udvikle lægemidler til behandling af sjældne sygdomme, giver forordningen om lægemidler til sjældne sygdomme en række fordele til virksomheder, der udvikler lægemidler til sjældne sygdomme. Fordelene er op til ti års beskyttelse mod konkurrence fra lignende lægemidler til samme sygdom samt bl.a. gratis scientific advice og godkendelse via den centrale procedure.

For at opnå disse fordele, skal virksomheden dels ansøge om såkaldt ”Orphan status” og derefter søge om markedsføringstilladelse.

### Ansøgning om ’Orphan status’

Virksomheden kan ansøge om Orphan status når som helst i produktets udvikling, frem til det har opnået markedsføringstilladelse. Der kan dog ikke ansøges om Orphan status for et allerede markedsført produkt.

For at opnå Orphan status skal ansøger indsende en ansøgning til Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) under det europæiske Lægemiddelagentur (EMA).

Ansøgningen skal adressere følgende punkter:

- Beskrivelse af sygdommen
- Prævalens af sygdommen i Europa
- ”Medical plausibility”, dvs. en redegørelse for hvorfor produktet forventes at virke mod den givne sygdom
- Væsentlig fordel (Significant benefit)

I de to første punkter (Beskrivelse af sygdommen samt Prævalens af sygdommen i Europa) skal ansøger beskrive og definere (afgrænse) sygdommen og redegøre for prævalensen af sygdommen i Europa. For at en sygdom kan defineres som ’sjælden’ og er

berettiget til Orphan status, skal prævalensen være <5/10.000 i Europa. Ansøger skal kunne dokumentere dette.

I det tredje punkt ("Medical plausibility") skal ansøger dokumentere, hvordan produktet er tiltænkt at virke. Dette skal være understøttet af data, enten fra in vitro/in vivo forsøg, fra dyreforsøg eller fra kliniske forsøg i mennesker. Under dette punkt skal ansøger redegøre for, hvordan produktet virker, og (eller) hvilken effekt produktet har på den givne sygdom.

Det sidste punkt (Væsentlig fordel) er kun relevant, hvis der er andre godkendte produkter til behandling af samme sygdom, og som er beskyttet af Orphan status. Et nyt produkt kan i disse tilfælde kun få Orphan status, hvis det vurderes, at produktet er bedre end det allerede markedsførte produkt. Den væsentlige fordel kan f.eks. bestå i, at den nye behandling kan anvendes til flere patienter, har en bedre effekt, eller er mere skånsom for patienterne.

For ansøgningen om Orphan status er der to mulige udfald:

1. Alle krav er opfyldt, og ansøgningen imødekommes,
2. Alle krav er ikke opfyldt, hvorfor ansøgningen ikke kan imødekommes.

I sidstnævnte tilfælde får ansøger mulighed for at fremlægge yderligere data, der kan afklare manglerne. Det forhold, at Orphan status ikke opnås, udelukker ikke ansøger fra forsat at udvikle produktet og ansøge om markedsføringstilladelse uden fordelene, der følger med Orphan status.

#### **Procedure for at få markedsføringstilladelse til lægemiddel til sjældne sygdomme**

Når en ansøger har samlet al nødvendig data for at ansøge om markedsføringstilladelse, indsendes disse til EMA, idet lægemidler til sjældne sygdomme altid vurderes via den centrale procedure. Denne ansøgning følger den normale procedure for ansøgninger, dog kan der være mulighed for, at ansøger kan ansøge via en accelereret procedure, som er et hurtigere forløb, der sigter mod en hurtigere godkendelse af produktet. Dette kan være i tilfælde, hvor det vurderes, at der er behov for at få produktet markedsført så hurtigt som muligt, f.eks. hvis der ikke er nogen anden markedsført behandling af den pågældende sygdom, eller hvis det vurderes, at produktet kan have en betydelig gevinst for patienterne sammenlignet med den allerede godkendte behandling.

Lægemiddelstyrelsen kan i den forbindelse oplyse, at der for alle ansøgninger om markedsføring af et nyt produkt gælder, at der til EMA skal indsendes en samlet pakke af farmaceutisk data, præ-klinisk data og klinisk data. Den kliniske pakke vil bestå af nogle Fase I studier (ofte de første kliniske studier, der udføres på få personer), nogle Fase II studier (ofte kaldet dose-finding-studier, da disse studier primært sigter mod at finde den bedste dosis for produktet) samt Fase III studier. Fase III studier kaldes også pivotal-studier og udføres på mange patienter, der har den sygdom, produktet skal behandle.

Overordnet, er det de samme (EMA) guidelines og krav, der gælder både for medicin til mere hyppigt forekommende sygdomme og for medicin til sjældne sygdomme. Som udgangspunkt betyder det, at virksomhederne også skal fremsende de samme

data og den samme datamængde for både medicin til mere hyppigt forekommende sygdomme og for medicin til sjældne sygdomme.

Det kan dog være vanskeligt for virksomhederne at indsamle store mængder af data for medicin til sjældne sygdomme, da der i sagens natur ikke findes det samme antal patienter med den aktuelle sygdom som ved mere hyppigt forekommende sygdomme. Hvis prævalensen af en sjælden sygdom er meget lav, vil EMA derfor ofte acceptere, at virksomheden fremsender data baseret på færre patienter end der accepteres for medicin til mere hyppigt forekommende sygdomme. Dette gøres bl.a. fordi det ofte vil være uetisk, at skulle vente mange år, for at der kommer nok patienter, til at studierne for medicin til sjældne sygdomme lever op til de almindelige guidelines. Hvis det vurderes nødvendigt, kan EMA bede ansøgeren om at indsende yderligere data (studieresultater) efter godkendelsen af produktet, således at det samlede data grundlag (med tiden) bliver større. Ligeledes vil sikkerheden (bivirkningerne) ved medicin til sjældne sygdomme blive overvåget i henhold til de generelle regler og retningslinjer for overvågning af bivirkninger til produkter godkendt i EU.

Samtidig med at ansøger indsender ansøgning om markedsføringstilladelse, skal ansøger også indsende en (ny) ansøgning om bibeholdelse af Orphan status. Dette gøres for at sikre, at alle krav for Orphan status fortsat opfyldes. Kravene og vurderingen af ansøgningen følger den første ansøgning, således er det de samme punkter, der skal adresseres, og proceduren er identisk med den første procedure.”

Med venlig hilsen

Magnus Heunicke / Kristine Lilholt Nilsson