

Indenrigs- og Sundhedsministeriet

4.kt. J.nr. 2006-1307-141

SUM nr. 0462

Notat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse for lægemidlet "Naglazyme - galsulfase"

. / . 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 13. januar 2006.

Naglazyme skal anvendes til langvarig substitutionsbehandling hos patienter med bekræftet diagnose af Mucopolysaccharidose VI (Maroteaux-Lamy syndrom). Det er af altafgørende betydning, især i forbindelse med svære former af sygdommen, at behandlingen påbegyndes så hurtigt som muligt, inden der optræder ikke-reversible kliniske manifestationer fra sygdommen. Det er yderst vigtigt, at behandle unge patienter i alderen under 5 år, der lider af en svær form af sygdommen, endda skønt patienter under 5 år ikke var inkluderet i det betydningsfulde fase III-studium.

Mucopolysaccharidose VI er en meget sjælden arvelig stofskiftesygdom, som er kendetegnet ved mangel på enzymet N-acetylgalactosamine 4-sulfatase, der medvirker til nedbrydningen af dermatansulfat. Herved ophobes dermatansulfat i cellerne og dette medfører fremadskridende skader i forskellige væv og organer.

Sygdommen har et meget bredt spektrum. Der findes både tilfælde med udpræget sygdom i barnets første år af livet, og tilfælde hvor sygdommen langsomt progredierer over årtier. Den svære form af sygdommen medfører langsom og forringet vækst, skeletdeformiteter, grove ansigtstræk, obstruktion af de øvre luftveje og gentagne øvre luftvejsinfektioner samt ledproblemer. Med tiden bliver patienterne sengeliggende eller bundet til kørestol pga. skelet-, led-, hjerte- og lungeproblemer og får desuden nedsat syn og hørelse.

Hidtil fandtes der ingen behandling udover symptomatisk behandling. I enkelte tilfælde har man anvendt knoglemarvstransplantation.

Det aktive stof i Naglazyme er galasulfase, som er bioteknologisk fremstillet N-acetylgalactosamine 4-sulfatase. Naglazyme indgives som infusion én gang om ugen. Behandlingen skal overvåges af en læge med erfaring i behandling af mucopolysaccharidosis VI eller andre arvelige metaboliske sygdomme, og indgivelse af lægemidlet skal udføres i kliniske omgivelser med genoplivningsudstyr.

Alle patienter i det kliniske fase III-studium oplevede bivirkninger, uanset om de modtog Naglazyme eller placebo. Meget almindelige bivirkninger var abdominal smerte, øresmerte, røde øjne, kortåndethed, kulderystelser, smerte i brystet, ondt i halsen, ondt i maven, afsvækkede reflekser, uklare øjne, hævelse i ansigtet, gastroenteritis, forhøjet blodtryk, ubehag, tilstoppet næse, udstående navle, feber, hovedpine, udslæt, kvalme, opkastning samt smerte i leddene.

Naglazyme må kun udleveres efter begrænset recept. I Danmark kun til sygehuse.

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.