

Grundnotat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsførings-tilladelse for lægemidlet Naglazyme - galsulfase

Resumé

En vedtagelse af det foreliggende forslag vil indebære, at der udstedes en markedsføringstilladelse til lægemidlet Naglazyme. Lægemidlet anvendes til langvarig enzymsubstitutionsbehandling hos patienter med bekræftet diagnose af Mucopolysaccharidose VI (Maroteaux-Lamy syndrom).

En vedtagelse af forslaget vil indebære behandlingsmæssige fordele, og i den sammenhæng udgør forslaget en forbedring af sundhedsbeskyttelses-niveauet i Danmark.

1. Indledning

Kommissionens forslag (EU/1/05/324/001 (EMEA/H/C/640)) til den ovenfor nævnte beslutning er fremsendt til medlemsstaterne den 23. december 2005.

Forslaget har som retsgrundlag artikel 10, stk. 2, i Rådets forordning 726/2004 om fastlæggelse af fællesskabsprocedurer for godkendelse og overvågning af human- og veterinærmedicinske lægemidler og om oprettelse af et europæisk lægemiddelagentur.

Forslaget behandles i skriftlig procedure, og Kommissionen har oplyst, at medlemsstaternes stillingtagen til forslaget skal være formanden for forskriftskomiteén i hænde senest den 13. januar 2006.

Efter forordning 726/2004 skal en central godkendelsesprocedure følges ved ansøgninger om udstedelse af markedsføringstilladelse til lægemidler udviklet på grundlag af en række bioteknologiske fremgangsmåder. Proceduren skal desuden anvendes ved godkendelse af lægemidler til mennesker med et indhold af nye aktive stoffer (der ikke tidligere har været godkendt i et lægemiddel inden for EU), når de pågældende lægemidler er fremstillet til behandling af immunforsvarssygdomme, kræft, visse nervelidelser, sukkersyge og sjældne sygdomme samt ved godkendelse af veterinære lægemidler bestemt til at fremme dyrs vækst eller produktivitet.

Virksomhederne kan endvidere frivilligt anmode om anvendelse af den centrale procedure for andre lægemidler med et nyt aktivt stof, lægemidler som er behandlingsmæssigt, videnskabeligt eller teknisk nyskabende, samt lægemidler hvor en tilladelse på fællesskabsplan kan være til gavn for patienterne.

Ansøgninger, der behandles efter den centrale procedure, indsendes til Det Europæiske Lægemiddelagentur. Lægemiddelagenturets udtalelse om ansøgningen afgives af et af agenturets videnskabelige ekspertudvalg. Ved ansøgninger om godkendelse af lægemidler til sjældne sygdomme afgives først udtalelse af COMP (Committee on Orphan Medicinal Products -

Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme), der afgør, om det pågældende produkt kan få status som et lægemiddel til sjældne sygdomme. Såfremt COMP kan godkende denne status, afgives herefter udtalelse af CHMP (Committee for Medicinal Products for Human Use – Udvalget for Humanmedicinske Lægemidler). Hvert medlemsland har udpeget 1 medlem til henholdsvis COMP og CHMP.

Kommissionen træffer afgørelse om godkendelse eller nægtelse af godkendelse af udstedelse af en markedsføringstilladelse efter forvaltningsproceduren i Det Stående Udvalg for Humanmedicinske Lægemidler. Kommissionen vedtager de foreslåede foranstaltninger, der straks finder anvendelse. Opnås der ikke kvalificeret flertal i udvalget, forelægger Kommissionen sin beslutning for Rådet. Kommissionen kan i så fald udsætte anvendelsen af de foranstaltninger, den har vedtaget, i 1 måned. Rådet kan med kvalificeret flertal træffe anden afgørelse inden for 1 måned. Har Rådet ikke inden for fristen på 1 måned truffet en anden afgørelse, gennemfører Kommissionen sin beslutning.

2. Forslagets formål og indhold

Vedtagelse af Kommissionens forslag til beslutning indebærer, at der af Kommissionen kan udstedes en markedsføringstilladelse til lægemidlet Naglazyme, som giver adgang til at markedsføre lægemidlet i samtlige 25 medlemslande.

Kort beskrivelse af lægemidlet

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 eller Maroteaux-Lamy syndrom er en meget sjælden arvelig stofskiftesygdom, som er kendetegnet ved mangel på enzymet N-acetylgalactosamine 4-sulfatase, der medvirker til nedbrydningen af dermatansulfat, som er en mucopolysaccharid. 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.

3. Nærhedsprincippet

Der er tale om en gennemførelsesforanstaltning for en allerede vedtagen retsakt. Overvejelser om nærhedsprincippet er derfor ikke relevante.

4. Udtalelser

Europa-Parlamentet skal ikke udtale sig om forslaget.

5. Forslagets konsekvenser for Danmark

Behandling af mucopolysaccharidosis VI er en specialistopgave. Det præcise antal patienter i Danmark kendes ikke, men skønnes at være meget lavt. Prævalensen af sygdommen i EU estimeres til 0,024 pr. 10.000 individer. Udover symptomatisk behandling og evt. knoglemarvstransplantation i meget svære tilfælde, fandtes der hidtil ingen behandling.

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.

Da man endnu ikke kender den pris, som Naglazyme vil blive solgt til, og da man ikke har overblik over, hvor stor en del af patienterne med mucopolysaccharidosis VI, der vil skulle tilbydes behandling med Naglazyme, kan man ikke præcist udtale sig om forslagets økonomiske konsekvenser for amtskommunerne.

Forslaget vil ikke have statsfinansielle konsekvenser.

En vedtagelse af Kommissionens forslag vil ikke kræve dansk lovgivning.

6. Høring

Ansøgninger om markedsføringstilladelser til lægemidler forelægger Lægemiddelstyrelsen ikke for andre myndigheder eller organisationer, da disse sager med ledsagende dokumentationsmateriale indeholder oplysninger om forretningshemmeligheder af sensitiv karakter.

7. Regeringens foreløbige generelle holdning

Regeringen kan støtte forslaget.

8. Generelle forventninger til andre landes holdninger

Forslaget har været behandlet i ekspertudvalgene COMP og CHMP, som med enstemmighed har kunnet anbefale markedsføringen af det pågældende lægemiddel.

Forslaget har ikke været drøftet i EU-regi efter behandlingen i CHMP, hvorfor forhandlingssituationen er uafklaret.

Det forventes, at hovedparten af medlemsstaterne kan støtte forslaget.

9. Tidligere forelæggelse for Folketingets Europaudvalg

Forslaget har ikke tidligere været forelagt Folketingets Europaudvalg.