

## **Grundnotat til folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse på særlige vilkår for lægemidlet til sjældne sygdomme Sutent® (sunitinib)**

### **Resumé**

En vedtagelse af det foreliggende forslag vil indebære, at der udstedes en markedsføringstilladelse til lægemidlet Sutent®.

Lægemidlet anvendes til behandling af inoperabel og/eller metastaserende malign gastrointestinal stromal tumor (GIST) efter behandlingssvigt med imatinibmesilat.

Sutant® anvendes også til behandling af avanceret og/eller metastaserende nyrecellecarcinom efter svigt af behandling med cytokinerne interferon-alfa eller interleukin-2.

En vedtagelse af forslaget kan indebære behandlingsmæssige fordele, og i den sammenhæng udgør forslaget en forbedring af sundhedsbeskyttelsesniveauet i Danmark.

### **1. Indledning**

Kommissionens forslag (EU/1/06/347/001-003)(EMA/H/C/687)) til den ovenfor nævnte beslutning er fremsendt til medlemsstaterne den 26. juni 2006.

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 17. juli 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 Sutent®, som giver adgang til at markedsføre lægemidlet i samtlige 25 medlemslande.

### **Kort beskrivelse af lægemidlet**

Sutant® er et kræftmiddel af familien tyrosin kinase hæmmere, som skal bruges til behandling af inoperabel og/eller metastaserende malign gastrointestinal stromal tumor (GIST) efter behandlingssvigt med imatinibmesilat, som hidtil har været det eneste virksomme lægemiddel mod denne sjældne tarmkræftsygdom.

Sutant® anvendes også til behandling af avanceret og/eller metastaserende nyrecellecarcinom efter svigt af behandling med cytokinerne interferon-alfa eller interleukin-2.

Sutant® gives dagligt i 4 uger i form af kapsler, hvorefter der holdes 14 dages behandlingspause, inden der atter gives 4 ugers behandling osv. Sutent® har dermed en fordel i forhold til konventionel kemoterapi, som gives intravenøst.

Sutant® har en række interaktioner med andre lægemidler, som fremgår af produktresuméet.

De mest almindelige bivirkninger er træthed, diarré, kvalme og opkastning samt mundbetændelse og udslæt. Desuden ses forhøjet blodtryk, fald i blodprocenten samt i antallet af hvide blodlegemer og blodplader. En særlig bivirkning til Sutent® er smerter i håndflader og fodsåler.

Lægemidlet er godkendt under "særlige omstændigheder". Det betyder, at det ikke har været muligt at opnå fuldstændig information om dette lægemiddel før godkendelsen. Der mangler i øjeblikket sammenlignende undersøgelser over for godkendt behandling ved nyrecellekræft. Det europæiske Lægemiddelagentur (EMA) vil hvert år vurdere al ny information vedrørende produktet og vil om nødvendigt opdatere produktinformationen.

Sutant® må kun udleveres efter begrænset recept; i Danmark vil lægemidlet kun blive anvendt på 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**

GIST er en yderst sjælden kræftform; det skønnes, at kun 50-60 patienter i Danmark lider af sygdommen. Lægemidlet Glivec® (imatinib mesylat) har i de seneste år været et betydeligt fremskridt i behandlingen, men før eller siden bliver sygdommen resistent og forløber dødeligt. Sutent® forlænger den sygdomfri overlevelse for patienter med GIST, som har udviklet resistens over for Glivec®.

Nyrecellekræft er hyppigere, idet der diagnosticeres ca. 500 nye tilfælde årligt. Behandlingen er kirurgisk, men sygdommen er ofte udbredt og metastaseret, hvorfor medicinsk behandling kommer i betragtning.

Kemoterapi er stort set uvirksom, mens behandling med cytokinerne interferon-alfa og interleukin-2 har en vis effekt, men er behæftet med så betydelige bivirkninger, at mange patienter ikke kan tolerere behandlingen.

Sutant® og beslægtede midler har en fordel ved at kunne indtages gennem munden og ved at have færre og mindre alvorlige bivirkninger. Sutent® synes desuden at være et af de mest effektive lægemidler mod nyrecellekræft. Foreløbige meddelelser fra den amerikanske cancerkongres (ASCO) afholdt i Atlanta maj 2006 tyder på, at lægemidlet er væsentligt mere effektivt end interferon-alfa, som er et af de to hidtil godkendte lægemidler til behandling af nyrecellekræft.

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 forslaget en bedring af sundhedsbeskyttelsen.

Da man endnu ikke kender den pris, som Sutent® vil blive solgt til, og da man ikke har overblik over, hvor mange patienter med GIST eller nyrecellekræft, som eventuelt bør eller vil blive tilbudt behandling med Sutent®, kan man ikke præcist udtale sig om forslagets økonomiske konsekvenser for amtskommunerne. I sagens natur vil der være tale om ganske få patienter med GIST på årsbasis, mens anvendelsen til nyrecellekræft vil blive vurderet af Kræftstyregruppen under Sundhedsstyrelsen.

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.