

Indenrigs- og Sundhedsministeriet

LMK J.nr. 2006-1307-202

SUM nr. 0515

Notat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse på særlige vilkår for lægemidlet til sjældne sygdomme "Diacomit"

. / . Ovennævnte forslag er beskrevet i vedlagte grundnotat.

Forslaget behandles i skriftlig procedure, og Kommissionen har oplyst, at medlemsstaternes stillingtagen skal være forinden for forskriftskomiteén i hænde senest den 14. december 2006.

Diacomit anvendes sammen med clobazam og valproat som adjuverende behandling af kramper hos børn med Dravets syndrom, hvis kramper ikke behandles tilstrækkeligt med clobazam og valproat. Dravets syndrom er en af de alvorligste former for epilepsi. Det begynder i barnets første leveår med specielle, eventuelt universelle, krampetilfælde efterfulgt af andre typer kramper samt manglende evne til at koordinere muskelbevægelser, muskeltrækninger og andre bevægelsesabnormiteter. Kramperne kan ikke fuldt ud dæmpes. Sygdommen er overordentlig vanskelig at behandle, og der er en dårlig prognose for patienten. I andet leveår udvikler alle patienter svær mental retardering.

Præparatets virkningsmekanisme er ikke fuldt ud kendt, men kan muligvis forklares ved en direkte krampehæmmende effekt forbundet med et signalstof (GABA) i hjernen, og derudover ved en forstærkning af den effekt, som andre antiepileptimidler udøver. Diacomit findes som kapsler og som pulver til opløsning i vand.

Almindelige bivirkninger er appetitløshed, vægttab, søvnløshed, dødsighed, påvirket leverfunktion og et lavt antal hvide blodlegemer. Der skal udvises forsigtighed, hvis barnet får visse andre typer lægemidler og/eller har nyre- eller leverproblemer. Derudover skal forsigtighedsregler overholdes i forbindelse med indtagelse af visse levnedsmidler. Diacomit må kun udleveres til sygehuse.

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.

Diacomits markedsføringstilladelse udstedes på særlige vilkår. Markedsføringstilladelsesindehaveren skal indsende resultater for en yderligere undersøgelse af lægemidlets effekt og sikkerhed, herunder de maksimalt sikre doser, til børn mellem 6 måneder og 15 år (2009), og for et biotilgængeligheds/bioækvivalensstudie hos 24 raske voksne forsøgs-personer til belysning af kapsler over for pulver (2007).

Der er udarbejdet en risikostyringsplan, efter hvilken der skal foregå en særlig tæt overvågning af mave-tarm problemer ved kombination af Diacomit med valproat. En særlig tæt overvågning af problemer i nervesystemet med hyppigt anvendte antiepilepsimidler som clobazam skal ligeledes finde sted. Derudover skal der etableres en undersøgelse af patientsikkerheden ved anvendelsen af lægemidlet i EU, herunder specielt med opmærksomhed på: psykomotorisk udvikling, dårlig trivsel, mangel på hvide blodlegemer og påvirkning af leverfunktionen.

Regeringen kan på denne baggrund støtte Kommissionens forslag.