

Medlemmerne af Folketingets Europaudvalg

og deres stedfortrædere

Bilag	Journalnummer	Kontor	
1	400.C.2-0	EU-sekr.	28. juni 2001

Til underretning for Folketingets Europaudvalg vedlægges Sundhedsministeriets notat samt grundnotat om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse for lægemidlet til sjældne sygdomme "Replagal – Agalsidase alfa".

Forslaget behandles i skriftlig procedure i forskriftskomiteén med frist den 13. juli 2001.

Notat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsførings-tilladelse for lægemidlet til sjældne sygdomme "Replagal – Agalsidase alfa"

Ovennævnte forslag er beskrevet i vedlagte grundnotat.

Forslaget behandles i skriftlig procedure, og Kommissionen har oplyst, at medlemsstaternes stillingtagen skal være foranden for forskriftskomiteén i hænde senest den 13. juli 2001.

Replagal skal anvendes til behandling af en sjælden arvelig lidelse, Fabry's sygdom. Patienter med Fabry's sygdom har en beskedeligelse af en gen på X-kromosomet, og afficerer derfor helt overvejende mænd (samme arvegang som blødersygdommen), hvorved der opstår defekt i enzymet alfa-galactosidase-A, som normalt nedbryder et bestemt fedtstof. Herved ophobes fedtstoffet i mange forskellige celler eller væv. Sygdommen diagnosticeres i reglen først i barnealderen eller hos unge, med mindre man gennem familiehistorien har mistanke om gendefekt, idet organskader og symptomer først indtræder efter års ophobning af fedtstoffet. De fleste patienter når voksenalderen, hvor de som oftest dør i 40-50-års alderen af nyresvigt, blodprop i hjernen eller hjertekarsygdomme.

Replagal er det samme enzym, som patienter med Fabry's sygdom mangler. Enzymet er fremstillet ved rekombinant DNA-teknologi, og gives som intravenøs infusion hver anden uge. Denne substitutionsbehandling skal formentlig være livslang.

Lægemidlet 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 vil indebære behandlingsmæssige fordele.

Regeringen kan på denne baggrund støtte Kommissionens forslag.

Grundnotat til Folketingets Europaudvalg om kommissions-beslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse for lægemidlet til sjældne sygdomme "Replagal - Agalsidase alfa".

1. Indledning.

Kommissionens forslag (EU/1/01/189/001) til den ovenfor nævnte beslutning er fremsendt til medlemsstaterne den 13. juni 2001.

Forslaget har som retsgrundlag artikel 10, stk. 2, i Rådets forordning 2309/93 om fastlæggelse af fællesskabsprocedurer for godkendelse og overvågning af human- og veterinærmedicinske lægemidler og om oprettelse af et europæisk agentur for lægemiddelvurdering.

Forslaget behandles i skriftlig procedure, og Kommissionen har oplyst, at medlemsstaternes stillingtagen til forslaget skal være formanden for forskriftskomiteén i hænde senest den 13. juli 2001.

Efter forordning 2309/93 skal en ansøgning om udstedelse af markedsføringstilladelse til lægemidler, der fremstilles efter bioteknologiske metoder samt til produktions- og væksthæmende veterinære lægemidler følge en central godkendelsesprocedure. Virksomhederne kan endvidere anmode om anvendelse af den centrale procedure for andre innovative lægemidlers vedkommende.

Ansøgninger, der behandles efter den centrale procedure, indsendes til Det Europæiske Agentur for lægemiddelvurdering. Agenturets 2 ekspertudvalg CPMP og CVMP, hvortil hvert medlemsland har udpeget 2 medlemmer, afgiver udtalelse om ansøgninger om henholdsvis humane lægemidler og veterinære lægemidler. På grundlag af det relevante udvalgs udtalelse træffer Kommissionen beslutning om godkendelse eller nægtelse af godkendelse af udstedelse af en markedsføringstilladelse.

Kommissionens beslutning træffes efter komitéprocedure (IIIb-procedure). Efter denne procedure forelægges Kommissionens forslag til beslutning forskriftskomiteén, der træffer afgørelse med kvalificeret flertal.

En vedtagelse af Kommissionens forslag vil ikke kræve lovgivning, men indebærer pligt for administrationen til at anerkende den pågældende beslutning som bindende for Danmark.

Europa-Parlamentet skal ikke udtale sig om forslaget.

2. Forslagets formål og indhold.

Vedtagelse af kommissionens forslag til beslutning indebærer, at der af Kommissionen kan udstedes en markedsføringstilladelse til lægemidlet til sjældne sygdomme, Replagal - Agalsidase alfa, som giver adgang til at markedsføre lægemidlet i samtlige 15 medlemslande.

Kort beskrivelse af lægemidlet

Replagal - Agalsidase alfa skal anvendes til behandling af en sjælden arvelig lidelse, Fabry's sygdom. Patienter med Fabry's sygdom har en beskadigelse af et gen på X-kromosomet, og afficerer derfor helt overvejende mænd (samme arvegang som blødersygdommen), hvorved der opstår en defekt i enzymet alfa-galactosidase-A, som normalt nedbryder et bestemt fedtstof. Herved ophobes fedtstoffet i mange forskellige celler og væv. Sygdommen diagnosticeres i regl rst i barnealderen eller hos unge, med mindre man gennem familiehistorien har mistanke om gendefekt, idet organskader og symptomer først indtræder efter års ophobning af fedtstoffet. De fleste patienter når voksenalderen, hvor de som oftest dør i 40-50-års alderen af nyresvigt, blodprop i hjernen, eller hjertesygdomme.

Replagal er det samme enzym, som patienter med Fabry's sygdom mangler. Enzymet er fremstillet ved rekombinant DNA-teknologi, og gives som intravenøs infusion hver anden uge. Denne substitutionsbehandling skal formentlig være livslang.

Bivirkninger er få og opstår oftest i tilslutning til infusionen i form af kulderystelser og ansigtsrødmen.

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

3. Forslagets konsekvenser for Danmark.

Replagal er blev udpeget som et muligt lægemiddel til sjældne sygdomme den 8. august 2000, og har modtaget en positiv udtalelse fra CPMP. Det skønnes, at der er ca. 40 patienter i Danmark med Fabry's sygdom. De behandles og følges næsten alle på Rigshospitalet i København. Det er endnu for tidligt at udtale sig om, hvorvidt behandling med Replagal vil forlænge levetiden, men på kortere sigt bedrer Replagal nyre- og hjertefunkt og formindsker de brændende smerter i hænder og fødder, der er karakteristiske for sygdommen.

I den sammenhæng udgør forslaget en bedring af sundhedsbeskyttelsen.

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.

Forslaget vil ikke have statsfinansielle konsekvenser.

Da en pris, hvortil præparatet vil blive markedsført i Danmark, endnu ikke kendes, er det ikke muligt at vurdere, om forslaget vil få økonomiske konsekvenser for amtskommunerne.

4. Nærheds- og proportionalitetsprincippet.

Kommissionen har ikke begrundet forslaget i henhold til nærheds- eller proportionalitetsprincippet. Der er tale om en gennemførelsesforanstaltning for en allerede vedtagne retsakt.

5. Høring.

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

6. Tidligere forelæggelse for Folketingets Europaudvalg.

Forslaget har ikke tidligere været forelagt Folketingets Europaudvalg.