

Medlemmerne af Folketingets Europaudvalg
og deres stedfortrædere

Bilag	Journalnummer	Kontor	
1	400.C.2-0	EU-sekr.	26. juni 2003

KOMITÉSAG

Til underretning for Folketingets Europaudvalg vedlægges Indenrigs- og Sundhedsministeriets notat samt grundnotat om forslag til kommissionsbeslutning om ændring af markedsførings tilladelse for lægemidlet til sjældne sygdomme "BUSILVEX – Busulfan".

Medlemsstaternes stillingtagen skal være formanden for forskriftskomiteén i hænde senest den 28. juni 2003.

Notat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om ændring af markedsføringstilladelse for lægemidlet til sjældne sygdomme "BUSILVEX - Busulfan".

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 28. juni 2003.

BUSILVEX er en ny farmaceutisk formulering af den velkendte aktive substans busulfan, som i en lang årrække har været anvendt til behandling af en sjælden kronisk leukæmi-form. Senere har midlet været anvendt til forbehandling af visse patienter, der skal knoglemarvstransplanteres med marv fra en fremmed donor.

Da patienterne ofte er forkvalmede, og da optagelsen af lægemidlet fra tarmen varierer, er BUSILVEX et betydeligt medicinsk fremskridt, idet en ny formulering tillader, at busulfan kan indgives intravenøst.

Busulfan er det mest potente farmakologiske middel til drab af knoglemarvsstamceller, der kendes, og det er den virkning, der udnyttes medicinsk. Bivirkningerne er derfor nøje knyttet til symptomer på knoglemarvsablation, blødning, øget infektionsrisiko og blodmangel. Desuden kan der optræde svær leverskade under behandling med busulfan.

BUSILVEX må kun udleveres efter begrænset recept.

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 den baggrund støtte Kommissionens forslag.

Lægemidlet til sjældne sygdomme "BUSILVEX - Busulfan"

1. Indledning

Kommissionens forslag EU/1/03/254/001 (EMEA/H/C/472) til den ovenfor nævnte beslutning er fremsendt til medlemsstaterne den 28. maj 2003.

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 forinden for forskriftskomiteén i hænde senest den 28. juni 2003.

Efter forordning 2309/93 skal en ansøgning om udstedelse af markedsføringstilladelse til lægemidler, der fremstilles efter bioteknologiske metoder samt til produktions- og væksthæmmerende 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 (Committee for Proprietary Medicinal Products) og CVMP (Committee for Veterinary Medicinal Products), 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 forvaltningsproceduren i Det Stående Udvalg for Humanmedicinske Lægemidler. Hvis der er kvalificeret flertal for forslaget, vedtager Kommissionen forslaget. Opnås der ikke kvalificeret flertal, forelægger Kommissionen forslaget for Rådet, der træffer afgørelse med kvalificeret flertal. Rådet kan forkaste forslaget ved simpelt flertal.

Har Rådet ikke inden for en frist på 3 måneder truffet nogen afgørelse, vedtager Kommissionen forslaget.

2. Forslagets formål og indhold

Vedtagelse af kommissionens forslag til beslutning indebærer, at der af Kommissionen kan udstede en markedsføringstilladelse til lægemidlet "BUSILVEX - Busulfan" som giver adgang til at markedsføre lægemidlet i samtlige 15 medlemslande.

Kort beskrivelse af lægemidlet

BUSILVEX er en ny farmaceutisk formulering af den velkendte aktive substans busulfan, som i en lang årrække har været anvendt til behandling af en sjælden kronisk leukæmiform. Senere har midlet været anvendt til forbehandling af visse patienter, der skal knoglemarvstransplanteres med marv fra en fremmed donor.

En væsentlig ulempe ved sidstnævnte behandling, som ofte også omfatter mindre børn, har været, at busulfan skal indtages gennem munden i en dosis 1 mg/kg legemsvægt hver 6. time i 4 døgn, svarende til 30-40 tabletter hver 6. time for en voksen person. Da patienterne ofte er forkvalmede, og da optagelsen af lægemidlet fra

tarmen varierer, er BUSILVEX et betydeligt medicinsk fremskridt, idet en ny formulering tillader, at busulfan kan indgives intravenøst.

Busulfan skal gives sammen med lægemidlet cyklofosamid som forbehandling af patienter, der skal modtage knoglemarv fra en donor i de situationer, hvor konventionel behandling med helkropsbestråling og cyklofosamid ikke kan anvendes.

Busulfan er det mest potente farmakologiske middel til drab af knoglemarvsstamceller, der kendes, og det er den virkning, der udnyttes medicinsk. Bivirkningerne er derfor nøje knyttet til symptomer på knoglemarvsablation, blødning, øget infek-

tionsrisiko og blodmangel. Desuden kan der optræde svær leverskade under behandling med busulfan.

BUSILVEX må kun udleveres efter begrænset recept.

3. Nærheds- og proportionalitetsprincippet

Der er tale om en gennemførelsesforanstaltning for en allerede vedtagen retsakt.

4. Udtalelser

Europaparlamentet skal ikke udtale sig om forslaget.

5. Forslagets konsekvenser for Danmark

BUSILVEX (busulfan) anvendes i dag udelukkende til behandling med knoglemarvstransplantation. I Danmark udføres ca. 50 transplantationer med donormarv årligt, alle på Rigshospitalets Hæmatologiske afdeling, som har landsfunktion mht. denne behandlingsteknologi.

Størstedelen af disse patienter med akut leukæmi og en række andre sjældne dødelige blodsygdomme vil blive konditioneret med standardbehandling, bestående af helkropsbestråling og kemoterapi (cyklofosamid).

Hos et mindretal vil helkropsbestråling være kontraindiceret, og her er BUSILVEX et værdifuldt alternativ. Forbehandlingen tjener især to formål: 1) udryddelse af ondartede celler og 2) en ødelæggelse af patientens eget immunsystem, idet der ellers ville ske en afstødning af den ny knoglemarv.

BUSILVEX er et medicinsk fremskridt, fordi man nu kan dosere busulfan på en mere sikker måde, og fordi de ofte meget syge og forkvalmede patienter slipper for at indtage hundreder af tabletter i dagene inden transplantation.

I den sammenhæng udgør forslaget en forbedring 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 man endnu ikke kender den pris, som lægemidlet vil blive solgt til, kan man ikke præcist udtale sig om forslagens økonomiske konsekvenser for amtskommunerne.

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

6. 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.

7. Tidligere forelæggelse for Folketingets Europaudvalg

Forslaget har ikke tidligere været forelagt Folketingets Europaudvalg.

