

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 "Fabrazyme – Agalsidase beta".

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

Notat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markeds-føringstilladelse for lægemidlet til sjældne sygdomme "Fabrazyme – Agalsidase beta".

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.

Fabrazyme 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.

Fabrazyme ligner det enzym, som patienter med Fabry's sygdom mangler. Enzymet er fremstillet ved rekombinant DNA-teknologi, og gives som intravenøs infusion hver anden uge.

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

Fabrazyme 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 den baggrund støtte Kommissionens forslag.

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

1. Indledning.

Kommissionens forslag (EU/1/01/188/001-003) 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 foranden 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 vækstfremmende 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 en komitéprocedure. Efter denne procedure forelægges Kommissionens forslag til beslutning en forskriftskomiteé, 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.

Europaparlamentet 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, Fabrazyme - Agalsidase beta, som giver adgang til at markedsføre lægemidlet i samtlige 15 medlemslande.

Kort beskrivelse af lægemidlet

Fabrazyme - Agalsidase beta 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 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, men dør oftest i 40-50-års alderen af nyresvigt, blodprop i hjernen eller hjertesygdomme.

Fabrazyme ligner det 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.

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

3. Forslagets konsekvenser for Danmark.

Fabrazyme 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 behandling med Fabrazyme vil forlænge levetiden, men på kortere sigt øges udskillelsen af det skadelige fed og vævsophobningen mindskes. De brændende smerter i hænder og fødder, som er karakteristiske for sygdommen, aftager i styrke.

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 læge-middel 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 vedtagen retsakt.

5. 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.

6. Tidligere forelæggelse for Folketingets Europaudvalg.

Forslaget har ikke tidligere været forelagt Folketingets Europaudvalg.