

DEN 16. april 2004

Notat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse for lægemidlet til sjældne sygdomme "Lysodren - mitotan"

. / . Ovennævnte forslag er beskrevet i vedlagte grundnotat.

Forslaget behandles i skriftlig procedure, og Kommissionen har oplyst, at medlemsstaternes stillingtagen skal være formanden for forskriftskomiteén i hænde senest den 19. april 2004.

Mitotan har i en årrække været anvendt uden markedsføringstilladelse som en symptomatisk lindrende behandling af den sjældne sygdom kræft i binyrebarken.

Kommissionen har den 12. juni 2002 besluttet, at "Mitotan" kan klassificeres som et lægemiddel til sjældne sygdomme. (C(2002)2228).

Mange cancere i binyrebarken producerer en øget mængde hormoner, først og fremmest cortisol og androgener. En overproduktion af førstnævnte hormon kan give anledning til Cushing's syndrom, som viser sig ved en række karakteristiske forandringer af patientens udseende, måneansigt, ændret fedtfordeling med tynde arme og ben og øget fedtdannelse på kroppen. Desuden bliver huden tynd med tendens til hudblødninger. Andre metaboliske forandringer er øget forekomst af sukkersyge og knogleskørhed. Hos kvinder kan ses en øget "mandlig" hårvækst.

Mitotan virker sandsynligvis ved at hæmme nogle enzymer, som er afgørende for hormonproduktionen. Heraf følger også, at lægemidlet ikke hæmmer kræftsygdommens udvikling eller forlænger overlevelsen. Der er alene tale om en lindrende behandling, hvor symptomerne på hormonel overproduktion aftager. Da ikke alle cancere er hormonproducerende, skal mitotan kun anvendes til såkaldt funktionelle cancere.

Lægemidlet indtages i form af tabletter. Da nogle bivirkninger er afhængige af lægemidlets koncentration i blodet, kan man overveje at kontrollere kon-

centrationerne. Mitotan indvirker på omsætningen af flere andre lægemidler, hvilket er beskrevet i produktinformationen.

Bivirkninger består i en påvirkning af nervesystemet i form af træthed, føleforstyrrelser og svimmelhed. Desuden ses hyppigt kvalme og appetitløshed.

Endelig indvirker mitotan på fedtstofskiftet med forhøjet serum-kolesterol og triglycerider.

Behandling med mitotan er en specialistopgave, både fordi kræft i binyrebarken er en sjælden sygdom og fordi doseringen af lægemidlet er kompliceret.

Lægemidlet 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 kan indebære behandlingsmæssige fordele, og i den sammenhæng udgør forslaget en bedring af sundhedsbeskyttelsen.

Regeringen kan på denne baggrund støtte Kommissionens forslag.

Grundnotat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse for lægemidlet til sjældne sygdomme "Lysodren - mitotan"

1. Indledning

Kommissionens forslag (EMEA/H/C/521 – EU/1/04/273/001) til den ovenfor nævnte beslutning er fremsendt til medlemsstaterne den 19. marts 2004.

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 19. april 2004.

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 (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 udstedes en markedsføringstilladelse for lægemidlet til sjældne sygdomme Lysodren (mitotan), som giver adgang til at markedsføre lægemidlet i samtlige 15 medlemslande.

Kort beskrivelse af lægemidlet

Mitotan har i en årrække været anvendt uden markedsføringstilladelse som en symptomatisk lindrende behandling af den sjældne sygdom kræft i binyrebarken. Kommissionen har den 12. juni 2002 besluttet, at "Mitotan" kan klassificeres som et lægemiddel til sjældne sygdomme. (C(2002)2228).

Mange cancere i binyrebarken producerer en øget mængde hormoner, først og fremmest cortisol og androgener. En overproduktion af førstnævnte hormon kan give anledning til Cushing's syndrom, som viser sig ved en række karakteristiske forandringer af patientens udseende, måneansigt, ændret fedtfordeling med tynde arme og ben og øget fedtdannelse på kroppen, desuden bliver huden tynd med tendens til hudblødninger. Andre metaboliske forandringer er øget forekomst af sukkersyge og knogleskørhed. Hos kvinder kan ses en øget "mandlig" hårvækst.

Mitotan virker sandsynligvis ved at hæmme nogle enzymer, som er afgørende for hormonproduktionen. Heraf følger også, at lægemidlet ikke hæmmer kræftsygdommens udvikling eller forlænger overlevelsen. Der er alene tale om en lindrende behandling, hvor symptomerne på hormonel overproduktion aftager. Da ikke alle cancere er hormonproducerende, skal mitotan kun anvendes til såkaldt funktionelle cancere.

Lægemidlet indtages i form af tabletter. Da nogle bivirkninger er afhængige af lægemidlets koncentration i blodet, kan man overveje at kontrollere koncentrationerne. Mitotan indvirker på omsætningen af flere andre lægemidler, hvilket er beskrevet i produktinformationen.

Bivirkninger består i en påvirkning af nervesystemet i form af træthed, føleforstyrrelser og svimmelhed. Desuden ses hyppigt kvalme og appetitlø-

hed. Endelig indvirker mitotan på fedtstofskiftet med forhøjet serumkolesterol og triglycerider.

Behandling med mitotan er en specialistopgave, både fordi kræft i binyrebarken er en sjælden sygdom og fordi doseringen af lægemidlet er kompliceret.

Lægemidlet 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

Idet mitotan er den eneste tilgængelige medicinske behandling af kræft i binyrebarken og allerede i mange år har været brugt også i Danmark, ændrer forslaget ikke væsentligt på sundhedsbeskyttelsen. Behandlingen af sygdommen består i kirurgisk fjernelse af svulsten, hvilket ikke i alle tilfælde er muligt. I sådanne tilfælde hvor tumorcellerne er hormonproducerende vil behandling med mitotan være relevant.

Der er ingen tvivl om, at terapi med markedsførte lægemidler bør foretrækkes, først og fremmest fordi overvågningen af bivirkninger bliver mere pålidelig.

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, og i den sammenhæng udgør forslaget en bedring af sundhedsbeskyttelsen.

Da man endnu ikke kender den pris, som Lysodren vil blive solgt til, og da man ikke har overblik over, hvor stor en del af patienterne med kræft i binyrebarken, der vil skulle tilbydes behandling med Lysodren, kan man ikke præcist udtale sig om forslagens økonomiske konsekvenser for amtskommunerne. Det er dog sandsynligt, at prisen for mitotan vil stige, når Lysodren har opnået en markedsføringstilladelse.

Forslaget vil ikke have statsfinansielle konsekvenser.

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 forelægger 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.

