

Indenrigs- og Sundhedsministeriet

LMK J.nr. 2007-1307-251

SUM nr. 0554

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

. / . 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 15. juni 2007.

Soliris er et rekombinant, humaniseret, monoklonalt IgG2/4k-antistof, der bindes til humant komplementprotein C5 og hæmmer den terminale komplementaktivering, som er en vigtig faktor for udvikling af hæmolytisk anæmi hos patienter med den sjældne genetisk betingede blodsygdom Paroxysmisk nokturn hæmoglobinuri (PNH).

Lægemidlet indgives som en intravenøs infusion ugentligt i 4 uger, hvorefter virkningen vedligeholdes med infusion hver 5. uge. Behandlingen medfører mindre hæmolyse og dermed mindre behov for blodtransfusion, som indtil fremkomsten af Soliris var eneste behandlingsmulighed for patienter med PNH.

De hyppigste bivirkninger er hovedpine, infusionsreaktioner samt øget risiko for alvorlige infektioner, herunder meningokokinfektioner.

Soliris må kun udleveres efter begrænset recept; i Danmark vil lægemidlet kun blive udleveret på sygehuse.

Til markedsføringstilladelsen til Soliris er der fastsat en række betingelser eller begrænsninger som angivet i artikel 127a i Direktiv 2001/83/EF, som medlemsstaterne er forpligtet til at implementere nationalt. Af hensyn til en sikker og virkningsfuld anvendelse af lægemidlet er det en betingelse for markedsføringstilladelsen, at indehaveren af markedsføringstilladelsen aftaler de nærmere enkeltheder i distributionssystemet med de kompetente nationale myndigheder og gennemfører et nationalt program, der sikrer, at

distribution kun kan finde sted efter forudgående verifikation af, at patienten faktisk har fået en meningokokvaccination med skriftlig bekræftelse heraf. Sundhedspersonale skal inden distribution være blevet oplyst om de vigtigste sikkerhedsmæssige problemer. Før markedsføring skal indehaveren af markedsføringstilladelsen påtage sig at gennemføre en patientkortordning i hver medlemsstat. Patientkortet skal indeholde enkeltheder om tegn og symptomer på infektion samt anvisninger for patienten om straks at søge lægehjælp. Kortet skal desuden indeholde information til sundhedspersonalet om, at patienten er i behandling med Soliris.

Indehaveren af markedsføringstilladelsen skal i detaljer forelægge et forslag til en spørgeskemaundersøgelse blandt sundhedspersoner og patienter. Ud over at vurdere tilfredsheden med de udleverede oplysninger om Soliris skal den forslåede spørgeskemaundersøgelse udforske andre metoder til vurdering af virkningen af programmet til risikominimering (f.eks. rundspørger vedrørende kompliance med vaccinationen). Ligeledes bør målsætningen for uddeling af oplysende materiale gennemgås.

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.

Regeringen kan på denne baggrund støtte Kommissionens forslag.