

Indenrigs- og Sundhedsministeriet

LMK J.nr. 2007-1307-254

SUM nr. 0555

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

. / . 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 22. juni 2007.

Siklos er det første lægemiddel, som er udviklet til behandling af seglcelle-sygdom og er effektivt mht. at nedsætte hyppigheden af seglcellekriser og "acute chest syndrome". Den arvelige seglcellesygdom findes ikke blandt etniske danskere. Seglcellesygdom er udbredt i Afrika, Mellemøsten, Sydøstasien og blandt den afroamerikanske befolkning.

Den aktive substans i Siklos er langt fra ny, idet hydroxycarbamid har været anvendt i 40 år til behandling af patienter med visse kroniske leukæmier samt andre blodsygdomme. Lægemidlets generelle sikkerhedsprofil er derfor velbelyst; dog er erfaringen i en pædiatrisk population mere begrænset.

Siklos reducerer hyppigheden af seglcellekriser med 66-80 pct. og hyppigheden af "acute chest syndrome" med 25-33 pct. Begge tilstande er livstruende.

Den hyppigste bivirkning er knoglemarvspåvirkning med faldende antal hvide blodlegemer.

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

Til markedsføringstilladelsen til Siklos 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, som fremgår af et bilag til forslaget. De vigtigste elementer er en behandlingsvejledning til lægen og en informationspakke til patienten.

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.