

Ministeriet for Sundhed og Forebyggelse
LMK J.nr. 2008-1307-329

Notat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse med betingelser for lægemidlet Volibris – ambrisentan til sjældne sygdomme

. / 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. april 2008.

Volibris skal anvendes til behandling af patienter med pulmonal arteriel hypertension (PAH) forhøjet blodtryk i lungekredsløbet, der ifølge WHO er klassificeret som funktionsklasse II og III, for at forbedre funktionskapaciteten. Der er påvist effekt ved idiopatisk PAH (IPAH) og ved PAH, der er associeret med sygdom i bindevævet. Forhøjet blodtryk i lungekredsløbet skyldes forhøjet modstand i de små lungearterier. De hyppigste symptomer omfatter åndenød, træthed, nedsat fysisk funktionsevne og progredierende væskeophobninger. Den øgede modstand i lungekarrene medfører tiltagende, i sidste ende dødelig, hjertepumpesvigt. Ubehandlet er prognosen alvorlig med overlevelse efter 3 år på omkring 50 pct. Hidtil har behandlingen bestået af en kombination af blodfortyndende medicin, vanddrirende medicin, iltterapi, og calciumkanalblokkere. I de seneste år er der kommet flere nye behandlingsmuligheder baseret på forskellige farmakologiske principper. I sidste ende virker disse nye lægemidler ved at udvide lungekarrene eller forhindre forsnævringen af lungekarrene. I de kliniske forsøg medførte Volibris (plus standardbehandling) en forbedring af funktionskapaciteten ved 6-minutters gangtest og udsatte tiden til klinisk forværring (defineret bl.a. som dødsfald, lungetransplantation, indlæggelse) af forhøjet blodtryk i lungekredsløbet.

Væskeansamlinger er en hyppig bivirkning. Andre almindelige bivirkninger er hovedpine og blodmangel. Dyreforsøg har vist, at stoffet giver fostermisdannelser. Volibris må derfor ikke bruges af gravide samt kvinder i den fødedygtige alder, medmindre der forligger en negativ graviditetstest, og sikker prævention anvendes. Dyreforsøg har desuden vist nedsat fertilitet. Virkningen på fertiliteten hos mennesker kendes ikke. Stoffet må heller ikke anvendes af patienter med svært nedsat

leverfunktion eller klinisk signifikant forhøjede levertransaminaser, da man pga. stoffets metaboliseringsvej kan antage, at eksponeringen i disse patienter øges. Da der kun er begrænset erfaring i patienter med svært nedsat nyrefunktion, skal der udvises forsigtighed ved behandling.

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

Til markedsføringstilladelsen for Volibris er der fastsat en række betingelser og restriktioner, som angivet i artikel 127a i Europa-Parlamentets og Rådets direktiv 2001/83/EF, som medlemsstaterne er forpligtede til at implementere nationalt.

Det er bl.a. en betingelse for markedsføringstilladelsen, at indehaveren af markedsføringstilladelsen aftaler detaljerne omkring implementering af et post-marketingovervågningsstudie med de kompetente nationale myndigheder og sikrer, at studiet er klart inden markedsføring af produktet.

Desuden skal indehaveren af markedsføringstilladelsen aftale de nærmere detaljer i distributionssystemet med de kompetente nationale myndigheder og bl.a. gennemføre et nationalt program, der sikrer, at alt sundhedspersonale før ordination/distribution, er blevet oplyst om de vigtigste sikkerhedsmæssige problemer.

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.