

Ministeriet for Sundhed og Forebyggelse
LMK J.nr. 2008-1307-386

Notat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse for lægemidlet til sjældne sygdomme "Vidaza – azacitidin"

. / . 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 15. december 2008.

Vidaza (azacitidin) er et nyt kræftmiddel af klassen pyrimidin analoger, som skal bruges til behandling af voksne patienter, som ikke er egnede til hæmatopoietisk stamcelletransplantation (tidligere benævnt knoglemarvstransplantation), og som lider af MDS klassificeret efter IPSS:

- intermediær-2 og højrisiko myelodysplastiske syndromer (MDS) i henhold til *International Prognostic Scoring System* (IPSS),
- kronisk myelomonocyt leukæmi (CMML) med 10-29 pct. blaster i marv uden myeloproliferativ sygdom,
- akut myeloid leukæmi (AML) med 20-30 pct. blaster og multilinie dysplasi i henhold til klassifikationen fra *World Health Organisation* (WHO).

Sygdomsgruppen myelodysplastiske syndromer (MDS) består af en heterogen gruppe af ondartede knoglemarvssygdomme karakteriserede ved ineffektiv dannelse af røde blodlegemer, hvide blodlegemer og blodplader samt en øget risiko for transformation til akut myeloid leukæmi.

Vidaza injiceres subkutan dagligt i 7 dage, efterfulgt af en hvileperiode på 21 dage (28 dages behandlingscyklus). Det anbefales, at patienterne behandles i mindst 6 cyklusser. Behandling bør fortsætte, så længe patienten drager fordel heraf, eller indtil sygdommen progredierer.

Vidaza er sammenlignet med hidtidig standardbehandling for patienter med MDS. I en fase III undersøgelse øges medianoverlevelsen fra 15 mdr. (standardbehandling) til 24 mdr. (Vidaza).

Bivirkningerne er de forventede for en pyrimidin analog, knoglemarvspåvirkning med risiko for alvorlige infektioner og blødning.

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

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.