

Ministeriet for Sundhed og Forebyggelse

Dato: 8. juni 2009

Sagsnr.: 0905040

Sagsbeh.: SUMPBR / Lægemiddelkontoret

Dok nr: 58486

Notat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse med betingelser for lægemidlet til sjældne sygdomme Nymusa® (koffeincitrat)

. / . 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 18. juni 2009.

Nymusa® indeholder koffeincitrat, som har været anvendt 'off label' gennem længere tid til primær apnø (ufrivillige lange pauser i vejrtrækningen) hos præmature (for tidligt fødte) nyfødte. Den præcise virkningsmekanisme kendes ikke, men antages at være både en direkte virkning på centralnervesystemet såvel som hjertelunge-kredsløbet og respirationsmuskulaturen. Placebo-kontrollerede forsøg har godtgjort, at behandling med koffeincitrat kan reducere sværhedsgraden og varigheden af primær apnø blandt præmature nyfødte og også nedsætte forekomsten af kroniske følger af tilstanden (misdannelser i lungetræet) samt forbedre overlevelsen blandt de præmature børn.

De hyppigste bivirkninger er relateret til injektionsstedet med rødme og risiko for overfladisk infektion. Desuden har behandlingen været mistænkt for at kunne øge hyppigheden af blødende tarmbetændelse hos det nyfødte barn, men data fra et stort placebo-kontrolleret forsøg med 2.000 børn har ikke kunnet bekræfte en sådan sammenhæng.

Overdosering medfører kramper, opkastninger, temperaturstigning, hurtig og evt. uregelmæssig hjerterytme samt påvirkning af mave-tarm-slimhinden og ændringer i blodets indhold af livsvigtige salte. Dosering af koffeincitrat kræver derfor præcis dosering baseret på vurdering af graden af udvikling af det præmature barns nyre- og i et vist omfang leverfunktion. Dette er en specialistopgave. Derfor er markedsføringstilladelsen tilknyttet et risikominimeringsprogram, som pålægger medlemsstaterne at tilse, at producenten udarbejder og implementerer et informationsmateriale rettet mod de intensive neonatalafdelinger, som ønsker at anvende Nymusa®, jf. artikel 127a i direktiv 2001/83/EF. Dette informationsmateriale skal indeholde oplysninger om korrekt dosering og administration af Nymusa® samt korrekt overvågning og håndtering af evt. overdosering hos det præmature barn.

Behandlingen gives som intravenøse infusioner og skal forstås af en læge med særligt kendskab til intensiv behandling af præmature nyfødte børn. Nymusa® må kun udleveres efter begrænset recept og vil kun kunne udleveres til sygehuse i Danmark.

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 forslagene en bedring af sundhedsbeskyttelsen.

Regeringen kan på denne baggrund støtte Kommissionens forslag.