

Medlemmerne af Folketingets Europaudvalg  
og deres stedfortrædere

Asiatisk Plads 2  
DK-1448 København K  
Tel. +45 33 92 00 00  
Fax +45 32 54 05 33  
E-mail: um@um.dk  
Telex 31292 ETR DK  
Telegr. adr. Etrangeres  
Girokonto 300-1806



Bilag

Journalnummer  
400.C.2-0

Kontor  
EU-sekr.

13. maj 2003

### KOMITÉSAG

Til orientering for Folketingets Europaudvalg vedlægges Indenrigs- og Sundhedsministeriets notat samt grundnotat om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse for lægemidler "Aldurazyme-Laronidase".

Medlemsstaternes stillingtagen skal være formanden for forskriftskomiteén i hænde senest den 29. maj 2003.

**Indenrigs- og Sundhedsministeriet**

Kontor: 4.s.kt.

J.nr.: 2003-1307-13

Sagsbeh.: tkj

Fil-navn: NOTAT OG GRUNDNOTAT

Aldurazyme.DOC

Sum. nr: 0353

MODTAGET I UDENRIGSMINISTERIET/EU-SEKRETARIATET

DEN 13/5-03

**Notat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse for lægemidlet "Aldurazyme-Laronidase".**

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 29. maj 2003.

Aldurazyme skal anvendes til behandling af de ikke-neurologiske manifestationer af Mucopolysaccharidose I.

Mucopolysaccharidose I er en sjælden arvelig stofskiftesygdom (prævalens 2-3 tilfælde per 1 million individer). Sygdommen medfører fysisk og psykisk udviklingshæmning og viser sig i muskel- og knogleforandringer, symptomer fra nervesystemet, hjerte-, lunge-, mave-, syns og høreproblemer og mental retardering.

Lægemidlet indgives som infusion en gang om ugen. Behandlingen skal overvåges af en læge med erfaring i behandling af mukopolysaccharidosis I eller andre arvelige metaboliske sygdomme og indgivelse af lægemidlet skal udføres i kliniske omgivelser med genoplivningsudstyr.

Bivirkningerne i de kliniske forsøg var milde til moderate i sværhedsgrad.

Aldurazyme må kun udleveres efter recept.

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 vil indebære behandlingsmæssige fordele.

Regeringen kan på den baggrund støtte Kommissionens forslag.

## **Grundnotat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse for lægemidlet "Aldurazyme- Laronidase"**

### **1. Indledning**

Kommissionens forslag (EU/1/03/253/001-003 (EMEA/H/C/477)) til den ovenfor nævnte beslutning er fremsendt til medlemsstaterne den 29. april 2003.

Forslaget har som retsgrundlag artikel 10, stk. 2, i Rådets forordning 2309/93 om fastlæggelse af fællesskabsprocedurer for godkendelse og overvågning af human- og veterinærmedicinske lægemidler og om oprettelse af et europæisk agentur for lægemiddelvurdering.

Forslaget behandles i skriftlig procedure, og Kommissionen har oplyst, at medlemsstaternes stillingtagen til forslaget skal være foranden for forskriftskomiteén i hænde senest den 29. maj 2003.

Efter forordning 2309/93 skal en ansøgning om udstedelse af markedsføringstilladelse til lægemidler, der fremstilles efter bioteknologiske metoder samt til produktions- og vækstfremmende veterinære lægemidler følge en central godkendelsesprocedure. Virksomhederne kan endvidere anmode om anvendelse af den centrale procedure for andre innovative lægemidlers vedkommende.

Ansøgninger, der behandles efter den centrale procedure, indsendes til Det Europæiske Agentur for lægemiddelvurdering. Agenturets 2 ekspertudvalg CPMP (Committee for Proprietary Medicinal Products) og CVMP (Committee for Veterinary Medicinal Products), hvortil hvert medlemsland har udpeget 2 medlemmer, afgiver udtalelse om ansøgninger om henholdsvis humane lægemidler og veterinære lægemidler. På grundlag af det relevante udvalgs udtalelse træffer Kommissionen beslutning om godkendelse eller nægtelse af godkendelse af udstedelse af en markedsføringstilladelse.

Kommissionens beslutning træffes efter forvaltningsproceduren i Det Stående Udvalg for Humanmedicinske Lægemidler. Hvis der er kvalificeret flertal for forslaget, vedtager Kommissionen forslaget. Opnås der ikke kvalificeret flertal, forelægger Kommissionen forslaget for Rådet, der træffer

afgørelse med kvalificeret flertal. Rådet kan forkaste forslaget ved simpelt flertal.

Har Rådet ikke inden for en frist på 3 måneder truffet nogen afgørelse, vedtager Kommissionen forslaget.

## 2. Forslagets formål og indhold

Vedtagelse af kommissionens forslag til beslutning indebærer, at der af Kommissionen kan udstedes en markedsføringstilladelse til lægemidlet til sjældne sygdomme "Aldurazyme- Laronidase", som giver adgang til at markedsføre lægemidlet i samtlige 15 medlemslande.

### Kort beskrivelse af lægemidlet

Aldurazyme skal anvendes til behandling af de ikke-neurologiske manifestationer af Mucopolysaccharidose I.

Mucopolysaccharidose I er en sjælden arvelig stofskiftesygdom (prævalens 2-3 tilfælde per 1 million individer), kendetegnet af manglen af enzymet  $\alpha$ -L-iduronidase som medvirker til nedbrydningen af glykosaminoglykaner (mukopolysaccharider). Herved ophobes disse stoffer i forskellige celler og væv.

Sygdommen har et meget bredt spektrum. Den medfører fysisk og psykisk udviklingshæmning og viser sig i muskel- og knogleforandringer, symptomer fra nervesystemet, hjerte-, lunge-, mave-, syns- og høreproblemer og mental retardering. Der findes dog også patienter med mildere udprägning af sygdommen og uden mental retardering.

Hidtil fandtes der ingen behandling udover symptomatisk behandling. I meget svære tilfælde, og især ved en alder under 2 år, har man anvendt knoglemarvstransplantation.

Det aktive stof i Aldurazyme er Laronidase, som er bioteknologisk fremstillet  $\alpha$ -L-iduronidase.

Aldurazyme indgives som infusion én gang om ugen. Behandlingen skal overvåges af en læge med erfaring i behandling af mukopolysaccharidosis I eller andre arvelige metaboliske sygdomme og indgivelse af lægemidlet skal udføres i kliniske omgivelser med genoplivningsudstyr.

Bivirkningerne i de kliniske forsøg var milde til moderate i sværhedsgrad. De hyppigst rapporterede bivirkninger i de kliniske forsøg var reaktioner på injektionsstedet (32 %), rødmen (13 %) og hududslæt (9 %), ledproblemer (11%) og ledsmerter (9%), hovedpine (7 %), mavesmerter (7%) og rygsmerter (7%).

Aldurazyme må kun udleveres på recept.

### **3. Nærheds- og proportionalitetsprincippet**

Der er tale om en gennemførelsesforanstaltning for en allerede vedtagen retsakt.

### **4. Udtalelser**

Europaparlamentet skal ikke udtale sig om forslaget.

### **5. Forslagets konsekvenser for Danmark**

Behandling af mukopolysaccharidosis I er en specialistopgave. Det skønnes, at der findes 15-20 tilfælde i Danmark.

De svære tilfælde dør i barndommen. Udover symptomatisk behandling og evt. knoglemarvstransplantation især ved en alder under 2 år i meget svære tilfælde, fandtes der hidtil ingen behandling.

I den sammenhæng udgør forslaget en bedring af sundhedsbeskyttelsen.

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.

Forslaget vil ikke have statsfinansielle konsekvenser.

Da man endnu ikke kender den pris, som Aldurazyme vil blive solgt til, kan man ikke præcist udtale sig om forslagets økonomiske konsekvenser for amtskommunerne.

En vedtagelse af Kommissionens forslag vil ikke kræve lovgivning, men indebærer pligt for administrationen til at anerkende den pågældende beslutning som bindende for Danmark.

## **6. Høring**

Ansøgninger om markedsføringstilladelser til lægemidler foreligger Lægemiddelstyrelsen ikke for andre myndigheder eller organisationer, da disse sager med ledsagende dokumentationsmateriale indeholder oplysninger om forretningshemmeligheder af sensitiv karakter.

## **7. Tidligere forelæggelse for Folketingets Europaudvalg**

Forslaget har ikke tidligere været forelagt Folketingets Europaudvalg.