

EUROPAUDVALGET

alm. del bilag 469 (offentligt)

Medlemmerne af Folketingets Europaudvalg
og deres stedfortrædere



Bilag
1

Journalnummer
400.C.2-0

Kontor
EU-sekr.

14. januar 2003

KOMITÉSAG

Til underretning for Folketingets Europaudvalg vedlægges Indenrigs- og Sundhedsministeriets notat samt grundnotat om forslag til kommissionsbeslutning om ændring af markedsføringsstilladelse for lægemidlet "Carbaglu - carbaminsyre".

Medlemslandenes stillingtagen skal være formanden for forskriftskomiteen i hænde senest den 19. januar 2003.

Anders Fogh Rasmussen

Indenrigs- og Sundhedsministeriet

Kontor: 4.s.kt.
J.nr.: 2003-1307-1
Sagsbeh.: beh
Fil-navn: NOTAT OG GRUNDNOTAT
CARBAGLU.DOC
Sum. nr: 0338

MODTAGET I UDENRIGSMINISTERIET/EU-SEKRETARIATET
DEN 14 JANUAR 2003

Notat til Folketingets Europaudvalg om forslag til kommissionsbeslutning om ændring af markedsføringstilladelse for lægemidlet "Carbaglu - carbaminsyre".

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 19. januar 2003.

Carbaglu skal anvendes til behandling af patienter med hyperammonæmi (forhøjet niveau af ammonium i blodet) grundet mangel af enzymet N-acetylglutamatsyntase. N-acetylglutamatsyntasemangel er en sjælden medfødt arvelig stofskiftesygdom.

Behandlingen med Carbaglu sigter efter at sænke ammoniumsniveauet i blodet. Foruden diætetisk restriktion af protein har det ikke tidligere været muligt at behandle for sygdommen.

Carbaglu 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 kommissionsbeslutning om udstedelse af markedsføringstilladelse for lægemidlet "Carbaglu - carbaminsyre".

1. Indledning

Kommissionens forslag (EU/1/02/246/001-002 (EMEA/H/C/461)) til den ovenfor nævnte beslutning er fremsendt til medlemsstaterne den 19. december 2002.

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 19. januar 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 Carbaglu-carbaminsyre, som giver adgang til at markedsføre lægemidlet i samtlige 15 medlemslande.

Kort beskrivelse af lægemidlet

Carbaglu skal anvendes til behandling af patienter med hyperammonæmi (forhøjet niveau af ammonium i blodet) grundet mangel af enzymet N-acetylglutamatsyntase. N-acetylglutamatsyntasemangel er en sjælden medfødt arvelig stofskiftesygdom (hyppighed 0.125 per 1 million individer).

Manglen af N-acetylglutamatsyntase bevirker hyperammonæmi som medfører neurologiske og mave-tarmmæssige symptomer hos patienterne. Sygdommens sværhedsgrad afhænger af, hvor udpræget enzymmanglen er. I over halvdelen af tilfældene manifesterer sygdommen sig hos nyfødte ved kramper og koma indenfor den første leveuge, fulgt af død. Lidelsen kan også manifestere sig senere i livet ved mindre udpræget enzymmangel med variable, akutte eller kroniske mave-tarmmæssige, neurologiske eller psykiatriske symptomer.

Behandlingen med Carbaglu sigter efter at sænke ammoniumsniveauet. Carbaminsyre er beslægtet med N-acetylglutamat og har vist sig at kunne aktivere leverens carbamoylfosfatsyntetase.

Hidtil fandtes der, udover diætetisk restriktion af protein, ingen behandling af sygdommen.

Carbaglu indgives dagligt som tablet(ter). Følgende bivirkninger blev rapporteret blandt de 20 patienter som er blevet behandlet: øget sveden hos 2 patienter og øgede leverenzymmer hos 1 patient.

Carbaglu 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

N-acetylglutamatsyntasemangel er en yderst sjælden sygdom, og uden behandling er den dødelig i over halvdelen af tilfældene hos spædbørn. Udover diætetisk proteinrestriktion 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 Carbaglu 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.

