

22. november 2013
Sagsnr: 2013111157

Forslag til indstilling

Revurdering af tilskudsstatus for lægemidler i ATC- gruppe A09- digestiva, inkl. enzymer, A11-vitaminer, A12- mineralpræparater og A16 - andre midler til fordøjelsesorganer og stofskifte

Baggrund og indhold

Vi har revurderet tilskudsstatus for lægemidler i ATC- gruppe A09- digestiva, inkl. enzymer, A11-vitaminer, A12- mineralpræparater og A16 - andre midler til fordøjelsesorganer og stofskifte.

Bilag A er en grafisk oversigt over lægemiddelstofferne. I ATC-gruppe A16 er der en række lægemidler, som er begrænset til udlevering til sygehuse (udleveringsgruppe "BEGR"). Disse lægemidler er ikke omfattet af indstillingen.

Denne indstilling er en samlet indstilling for alle lægemidler i ATC-gruppe A09, A11, A12 og A16, der fremgår af bilag B, og som er godkendt til markedsføring i Danmark, og som per den 22. november 2013 er eller har været markedsført i Danmark.

Nedenfor følger først vores indstilling til lægemidlernes fremtidige tilskudsstatus, derefter en kort gennemgang af revurderingsforløbet samt vores begrundelser i relation til den anbefalede fremtidige tilskudsstatus.

Bilag B er en oversigt over lægemiddelstofferne med angivelse af hvilke lægemidler, der er omfattet af denne revurdering, de godkendte indikationer for de pågældende lægemidler, udleveringsgruppe, gældende tilskudsstatus, årligt forbrug i årene 2008-2012 samt antal ansøgninger om enkelttilskud, hvor dette er relevant.

Indstilling til fremtidig tilskudsstatus

Vi indstiller følgende til Sundhedsstyrelsen:

1. Lægemidler i ATC-gruppe A09 (digestiva, inkl. enzymer) med indhold af

pancreatin (amylase, lipase, protease) (A09AA02)

bevarer gældende tilskudsstatus: ikke generelt tilskud.

2.

Lægemidler i ATC-gruppe A11CA (vitamin A, usammensatte) med indhold af lægemiddelstoffet

retinol (vitamin A) (A11CA01)

bevarer gældende tilskudsstatus: ikke generelt tilskud.

3.

Lægemidler i ATC-gruppe A11CC (vitamin D og analoger) med indhold af lægemiddelstofferne

alfacalcidol (A11CC03)

colecalfiferol (A11CC05)

bevarer gældende tilskudsstatus: ikke generelt tilskud.

4.

Lægemidler i ATC-gruppe A11E (vitamin B-kompleks, inkl. kombinationer) med indhold af lægemiddelstoffet

*vitamin B-kompleks (A11E**)*

bevarer gældende tilskudsstatus: ikke generelt tilskud.

5.

Lægemidler i ATC-gruppe A11H (andre usammensatte vitaminpræparater) med indhold af lægemiddelstoffet

tocofersolan (A11HA08)

bevarer gældende tilskudsstatus: ikke generelt tilskud.

6.

Lægemidler i ATC-gruppe A12A (calcium) med indhold af lægemiddelstofferne

calciumglubionat (A12AA02)

calciumlactogluconat (A12AA06)

*calcium, kombinationer med D vitamin (A12AX**)*

bevarer gældende tilskudsstatus: ikke generelt tilskud.

7.

Lægemidler i ATC-gruppe A12B (kalium) med indhold af lægemiddelstoffet

kaliumchlorid (A12BA01)

bevarer gældende tilskudsstatus: generelt klausuleret tilskud med følgende klausul:

”Hypokaliæmi. Forebyggelse ved behandling med diuretika”.

8.

Lægemidler i ATC-gruppe A16 (andre midler til fordøjelsesorganer og stofskifte) med indhold af lægemiddelstofferne

mercaptamin (A16AA04)

betain (A16AA06)

imiglucerase (A16AB02)

natriumphenylbutyrat (A16AX03)

nitisinon (A16AX04)

miglustat (A16AX06)

sapropterin (A16AX07)

bevarer gældende tilskudsstatus: ikke generelt tilskud.

Revurderingsforløb

Lægemiddelstyrelsen orienterede i brev af 13. juni 2005 samtlige virksomheder med markedsføringstilladelse til humane lægemidler¹ om, at man ville indlede revurderingsprocessen med at revurdere tilskudsstatus for lægemidler i ATC-grupperne A, C og J. Den 19. oktober 2007² orienterede Lægemiddelstyrelsen om, at man ville begynde revurderingen af ATC-gruppe A, hvor A09, A11, A12 og A16 ville følge efter de først planlagte undergrupper. Den 17. oktober 2007 blev relevante videnskabelige selskaber orienteret. Den 11. juli 2012 orienterede Sundhedsstyrelsen om, at man sideløbende med andre grupper ville fortsætte revurderingsarbejdet med de resterende undergrupper i ATC-gruppe A³.

Vi har drøftet tilskudsstatus for disse lægemidler på vores møde den 19. november 2013.

Begrundelser

Overordnet mener vi, at udgifter til vitaminer og mineraler bør være selvfinansierede i de tilfælde, hvor sufficente mængder kan sikres gennem kosten eller i form af et almindeligt kosttilskud.

Ad 1.

Lægemidler med indhold af pancreatin/pancreaszymer (amylase, lipase, protease)

Behandling med pancreaszymer er godkendt ved malabsorption forårsaget af nedsat pancreassekretion (1). Et af de markante symptomer ved eksokrin pancreasinsufficiens er steatoré, og derudover er symptomerne bl.a. smerter og vægttab. Før behandling iværksættes, er det vigtigt at verificere mistanken, hvilket kan gøres ved forskellige undersøgelser, og det vil som hovedregel være en specialstopgave (2). Disse lægemidler er i håndkøb, og 3.750 personer indløste recept herpå i 2012.

Vi anbefaler, at pancreaszymer fortsat ikke bør have generelt klausuleret tilskud, idet iværksættelse af behandlingen kræver særlig undersøgelse. Vi mener, generelt klausuleret tilskud til pancreaszymer vil medføre risiko for, at nogle patienter sættes i behandling uden at have verificeret nedsat pancreassekretion, hvilket vil være meget uhensigtsmæssigt og udenfor den godkendte indikation.

¹ Med undtagelse af virksomheder med markedsføringstilladelse til lægemidler med begrænset udlevering, naturlægemidler, stærke vitamin- og mineralpræparater og radioaktive lægemidler.

² <http://sundhedsstyrelsen.dk/da/nyheder/2007/revurdering-af-tilskudsstatus-for-atc-gruppe-a-fordoejelsesorganer-og-stofskifte>

³ <http://sundhedsstyrelsen.dk/da/nyheder/2012/revurdering-af-tilskudsstatus-for-laegemidler-mod-epilepsi-atc-gruppe-n03-mfl>

Ad 2.

Lægemidler med indhold af retinol (vitamin A)

Vitamin A er godkendt til behandling af A-vitaminmangel (1). Vitamin A indgår i synspigmentet rhodopsin i øjets nethinde og er nødvendigt for synsprocessen. A-vitaminmangel viser sig ved natteblindhed, xerofthalmi (øjentørsot) og nedsat infektionsresistens og kan forekomme ved fx nedsat intestinal absorption (2).

Der er markedsført ét lægemiddel med indhold af vitamin A med en styrke på 15 mg, hvilket er en meget høj dosis, hvorfor behandlingsvarigheden er sat til 5 dage. 1.390 personer indløste recept i 2012.

Vi anbefaler, at vitamin A fortsat ikke bør have generelt tilskud eller generelt klausuleret tilskud, da vi mener, der vil være risiko for anvendelse til personer, som ikke har behov for denne meget høje dosis, men i stedet for kan indtage et almindeligt kosttilskud eller få dækket deres behov gennem kosten.

Ad 3.

Lægemidler med indhold af alfacalcidol og colecalciferol

Colecalciferol er vitamin D₃ og alfacalcidol er den aktive metabolit, der i kroppen dannes ved hydroxylering i lever og nyre. Vitamin D er nødvendig for normal knoglemineraldannelse og spiller en vigtig rolle i regulationen af calciumkoncentrationen i blodet. D vitaminmangel medfører rakitis hos børn og osteomalaci hos voksne (2). For patienter med nyresvigt er lægemidlerne omfattet af ordningen om vederlagsfri udlevering af medicin til særlige ikke-indlagte patientgrupper, der er i fortsat sygehusbehandling.

I 2012 indløste 3.108 personer recept på alfacalcidol og 41 på colecalciferol.

Vi anbefaler, at alfacalcidol og colecalciferol fortsat ikke bør have generelt tilskud eller generelt klausuleret tilskud. Vi mener, at der vil være risiko for, at lægemidlerne anvendes som førstevalg ved behov for tilskud af vitamin D, hvor der som hovedregel bør anvendes et almindeligt kosttilskud. For alfacalcidol mener vi, at det kun bør anvendes til patienter, der ikke selv kan omdanne vitamin D₃ til aktive metabolitter.

Ad 4.

Lægemidler med indhold af vitamin B-kompleks

Vitamin B-kompleks er godkendt til forebyggelse af symptomgivende mangel på vitamin B₆, vitamin B₁₂ og folinsyre ved utilstrækkelig fødeindtagelse eller malabsorption (1). 2.823 personer indløste recept i 2012.

Vi anbefaler, at vitamin B-kompleks fortsat ikke bør have generelt tilskud eller generelt klausuleret tilskud. Vi mener, at der er risiko for, at vitamin B-kompleks vil blive anvendt til personer, der kun har behov for tilskud af vitamin B₁₂ eller til personer, som i stedet kan indtage et almindeligt kosttilskud eller få dækket deres behov gennem kosten. Vitamin B₁₂ (ATC-gruppe B03BA01) har generelt klausuleret tilskud til pernicios anæmi og B12-vitaminmangeltilstande som følge af indgreb på mavetarmkanalen eller "sprue".

Ad 5.

Lægemidler med indhold af tocofersolan

Tocofersolan er et prodrug til vitamin E, der er godkendt ved mangel på vitamin E som følge af malabsorption hos pædiatriske patienter med kronisk kongenit kolestase eller arvelig kronisk kolestase (1). I 2012 indløste 2 personer recept.

Vi anbefaler, at tocofersolan fortsat ikke bør have generelt tilskud eller generelt klausuleret tilskud, idet iværksættelse af behandlingen kræver særlig undersøgelse.

Ad 6.

Lægemidler med indhold af calciumglubionat, calciumlactogluconat og calcium + vitamin D

Calciumglubionat findes som injektionsvæske til behandling af hypocalcæmi. Calciumacetogluconat og calcium + vitamin D anvendes forebyggende bl.a. til patienter med osteoporose. For patienter med nyresvigt er lægemidlerne omfattet af ordningen om vederlagsfri udlevering af medicin til særlige ikke-indlagte patientgrupper, der er i fortsat sygehusbehandling.

Idet calciumglubionat kun findes som injektionsvæske, mener vi, at dette lægemiddel hovedsagelig anvendes som led i sygehusbehandling, og derfor mener vi, at det fortsat ikke bør have generelt eller generelt klausuleret tilskud.

For calciumacetogluconat og calcium + vitamin D mener vi, at når disse lægemidler anvendes i forbindelse med osteoporoseforebyggelse/-behandling, bør de være helt selvfinansieret, idet sufficente mængder af calcium og D-vitamin kan sikres med kosten eller i form af kosttilskud. Vi mener, at der vil være risiko for, at disse lægemidler vil blive anvendt som førstevalg til disse patienter og derfor anbefaler vi, at de fortsat ikke bør have generelt klausuleret tilskud.

Ad 7.

Lægemidler med indhold af kaliumchlorid

Kaliumchlorid er godkendt til behandling af hypokaliæmi og til forebyggelse ved behandling med saluretika (1). Kalium er bl.a. nødvendigt for normal nerve-, muskel og nyrefunktion (2). Der er tale om håndkøbslægemidler, der aktuelt har generelt klausuleret tilskud til hypokaliæmi og forebyggelse ved behandling med diuretika. 165.046 personer indløste i 2012 recept på kaliumchlorid.

Vi mener, at kaliumtilskud er vigtig for patienter med verificeret hypokaliæmi og forebyggende for mange patienter i behandling med diuretika. Vi anbefaler derfor, at kaliumchlorid bevarer generelt klausuleret tilskud til hypokaliæmi og forebyggelse ved behandling med diuretika.

Ad 8.

Lægemidler med indhold af mercaptamin, betain, imiglucerase, natriumphenylbutyrat, nitisinon, miglustat og sapropterin

Der er tale om lægemidler, der anvendes til behandling af en række forskellige sjældne stofskiftesygdomme. De bruges alle af meget få patienter. Som det højeste indløste 21 personer recept på sapropterin i 2012.

Vi anbefaler, at disse lægemidler fortsat ikke bør have generelt tilskud eller generelt klausuleret tilskud, idet iværksættelse af behandlingen kræver særlig undersøgelse.

På nævnets vegne



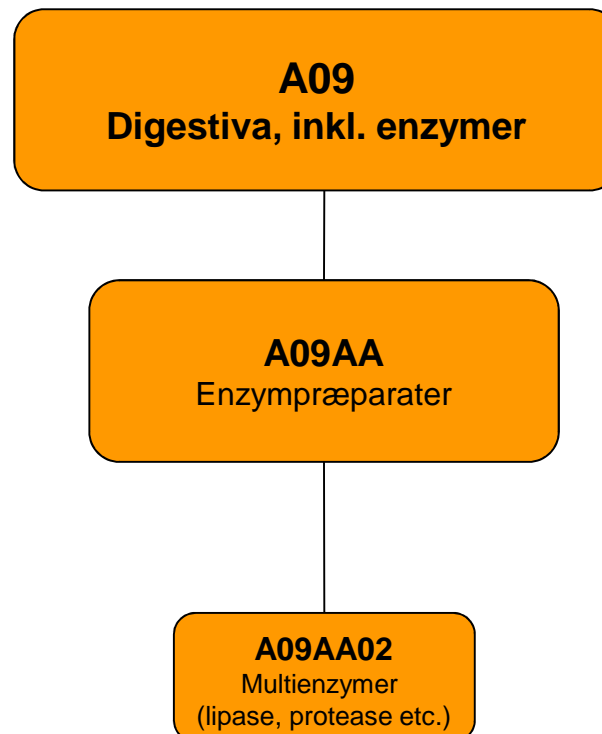
Palle Mark Christensen
Formand

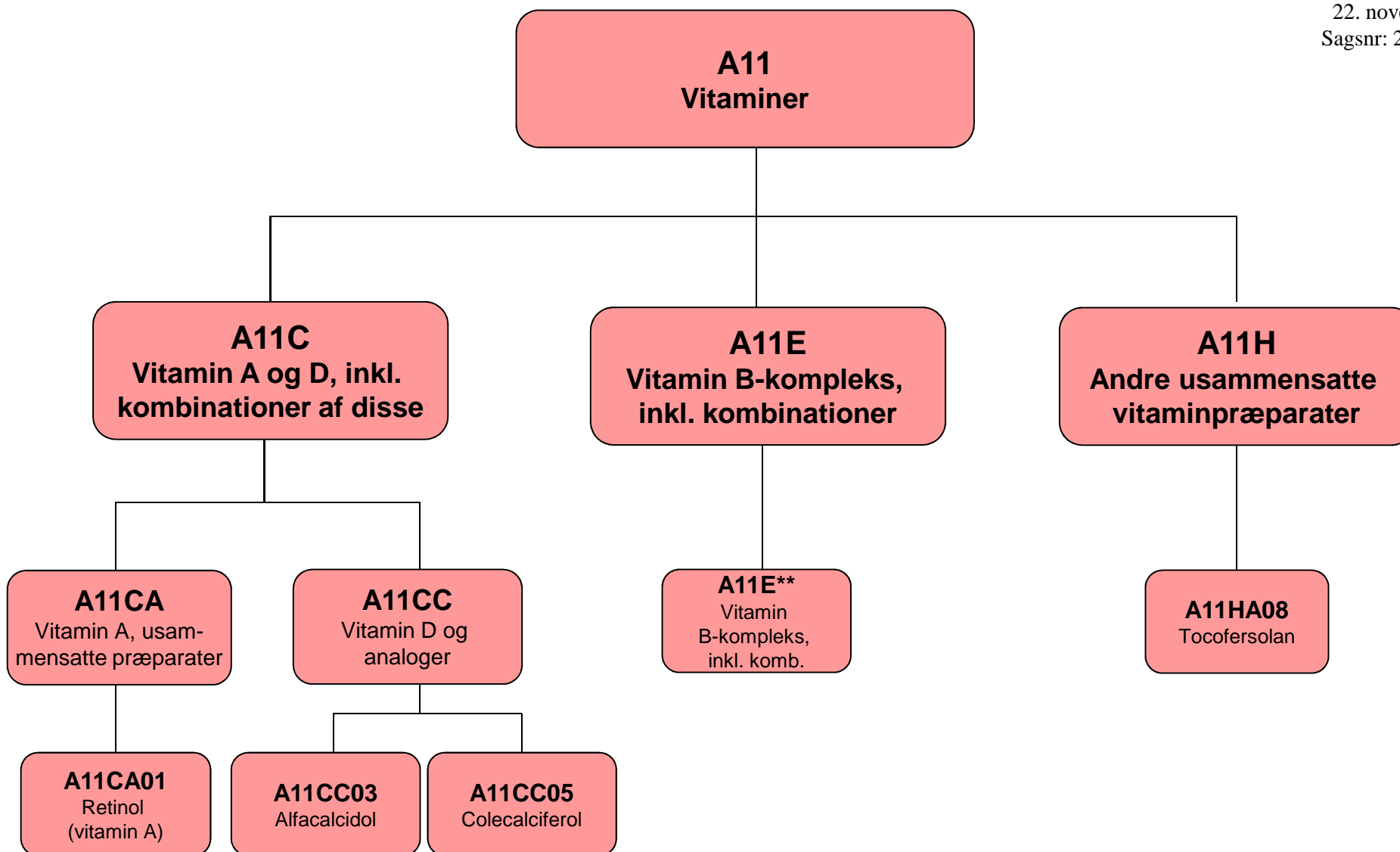
Bilag

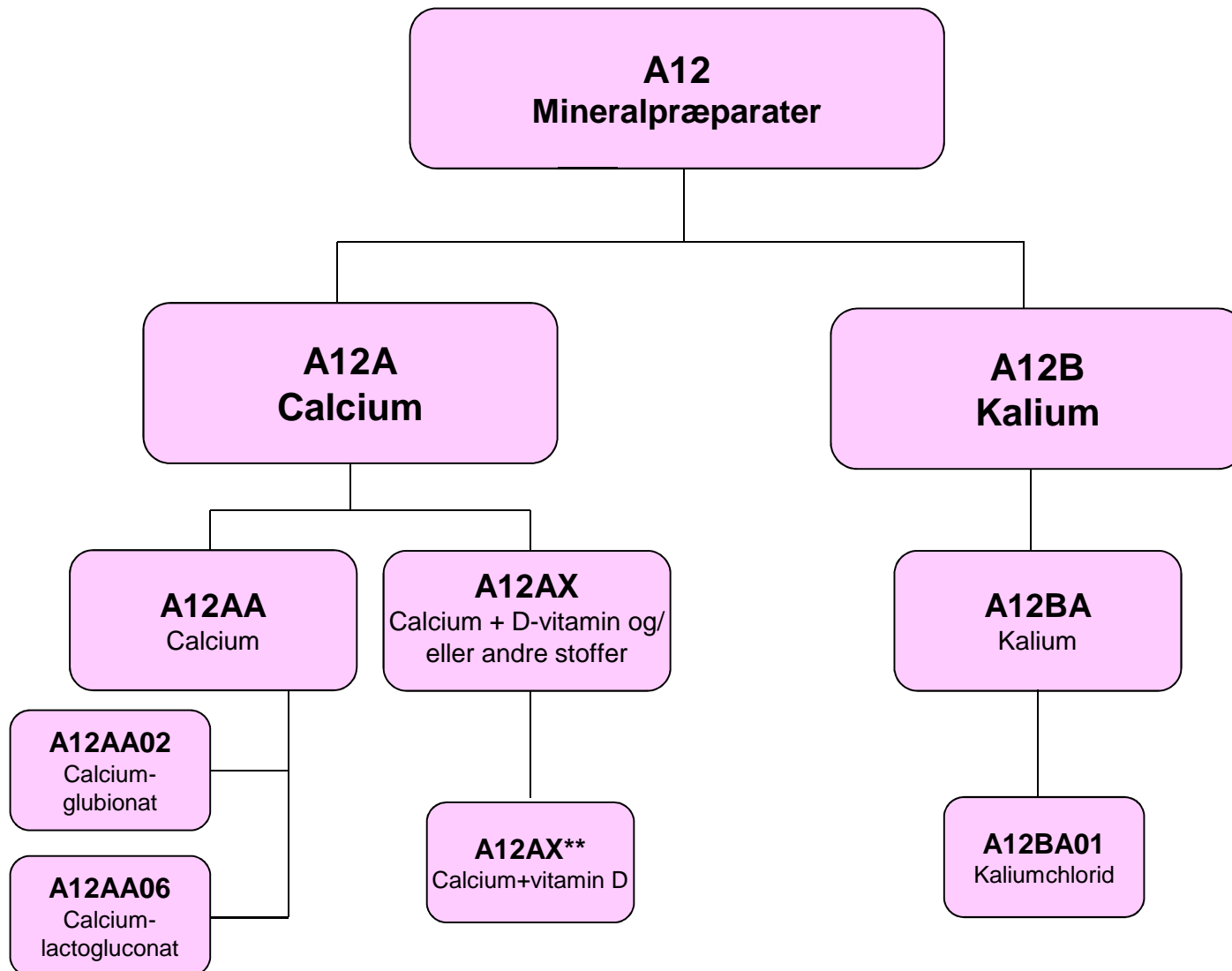
- A. Grafisk oversigt af 22. november 2013 over ATC-gruppe A09, A11, A12 og A16.
- B. Oversigt af 22. november 2013 over de lægemidler, der er omfattet af denne revurdering, de godkendte indikationer, udleveringsgruppe, gældende tilskudsstatus, årligt forbrug i årene 2008-2012 samt antal ansøgninger om enkelttilskud, hvor dette er relevant.

Referencer

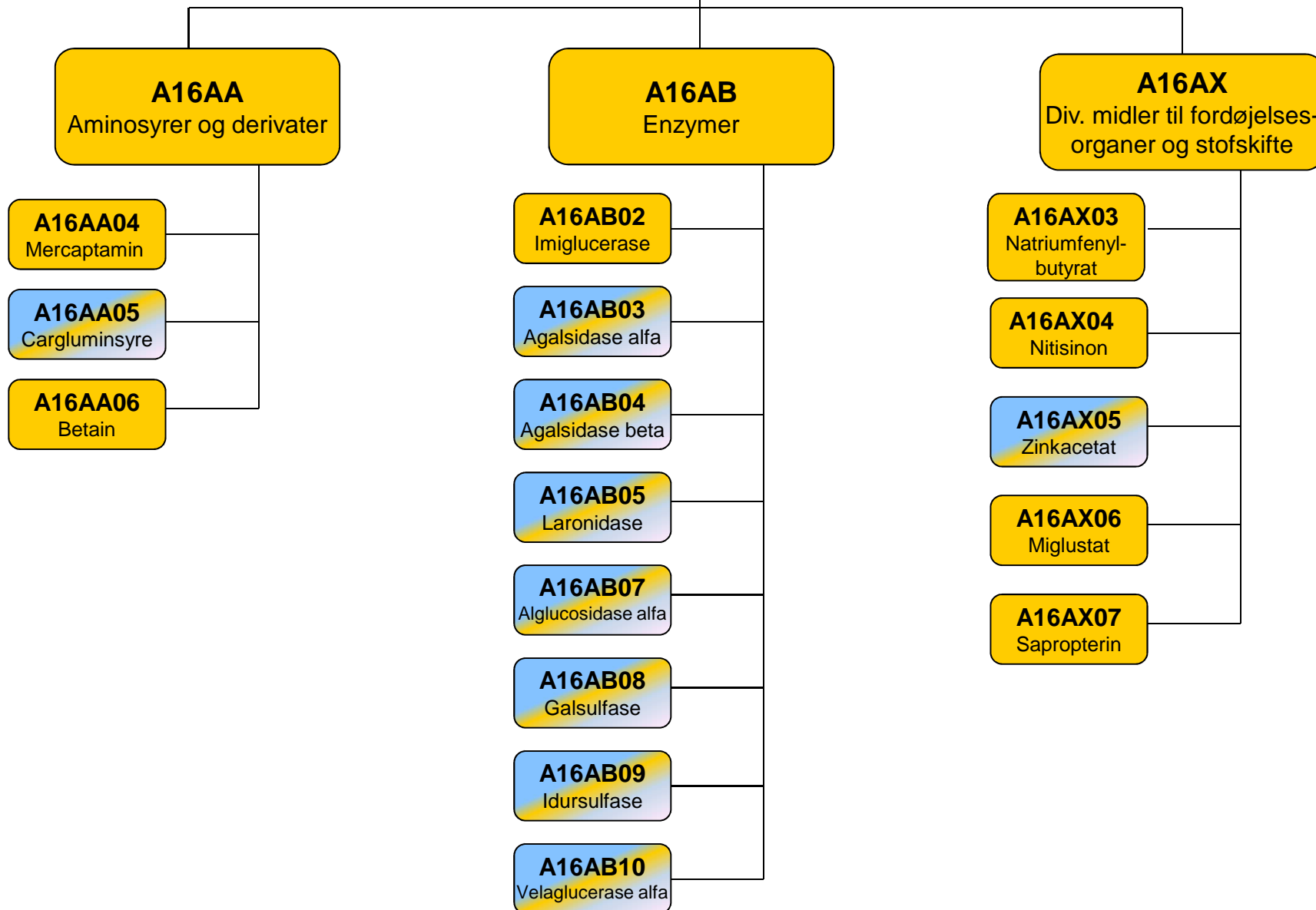
1. Sundhedsstyrelsen. Produktresuméer for de enkelte lægemidler. <http://www.produktresume.dk>
2. Dansk Lægemiddel Information A/S. pro.medicin.dk. <http://pro.medicin.dk>







A16
Andre midler til
fordøjelsesorganer og stofskifte



**Lægemidler i ATC- gruppe A09 - digestiva, inkl. enzymer,
A11 - vitaminer, A12 - mineralpræparater og
A16 - andre midler til fordøjelsesorganer og stofskifte**

Læsevejledning til skemaer nedenfor

Lægemidler: Det eller de lægemidler, med indhold af det pågældende indholdsstof, der er omfattet af denne revurdering af tilskudsstatus for digestiva, vitaminer, mineraler og andre midler til fordøjelsesorganer og stofskifte.

Revurderingen omfatter alle styrker og pakningsstørrelser af det enkelte lægemiddel, som er eller har været markedsført per den 22. november 2013.

Godkendt indikation: Den eller de godkendte indikationer for de pågældende lægemidler, jf. de gældende produktresumeeer for de enkelte lægemidler¹. Der kan være tale om en sammenskrivning.

Udleveringsgruppe: Beskrivelse af betydningen af de forskellige udleveringsgrupper "A", "B" etc. fremgår af § 63 i bekendtgørelse om recepter nr. 361 af den 23. april 2012².

Tilskudsstatus: Lægemidlets gældende tilskudsstatus.

Forbrug: Antallet af personer i behandling er fra lægemiddelstatistikregister, jf. www.medstat.dk, og omfatter patienter i primærsektoren.

Enkelttilskud: Oplysninger om antallet af ansøgninger om enkelttilskud og bevillingsprocent.

A09 - Digestiva, inkl. enzymer

A09AA, enzympræparater

A09AA02	MULTIENZYMER (LIPASE, PROTEASE ETC.)
Lægemidler	Creon enterokapsler, hårde Creon 10.000 enterokapsler, hårde Creon 25.000 enterokapsler, hårde Creon 40.000 enterokapsler, hårde Kreon enterokapsler, hårde Kreon 10.000 enterokapsler, hårde Kreon 25.000 enterokapsler, hårde Kreon 40.000 enterokapsler, hårde Kreon Forte enterokapsler, hårde Pancrease MicroTabs enterokapsler, hårde

¹ <http://www.produktresume.dk>

² <https://www.retsinformation.dk/forms/R0710.aspx?id=141515>

Godkendt indikation	Malabsorption forårsaget af nedsat pancreassekretion.
Udleveringsgruppe	HA
Tilskudsstatus	Ikke generelt tilskud
Forbrug (antal personer i behandling)	2008: 3.287 2009: 3.347 2010: 3.435 2011: 3.513 2012: 3.750
Enkelttilskud	2012: 692 ansøgninger, 616 bevilget (89 %)

A11- Vitaminer

A11CA, vitamin A, usammensatte præparater

A11CA01	RETINOL (VITAMIN A)
Lægemidler	A-vitamin "Medic" fillovertrukne tabletter
Godkendt indikation	Behandling af A-vitaminmangel.
Udleveringsgruppe	B
Tilskudsstatus	Ikke generelt tilskud
Forbrug (antal personer i behandling)	2008: 2.357 2009: 2.097 2010: 1.921 2011: 1.532 2012: 1.390
Enkelttilskud	2012: 0 ansøgning

A11CC, vitamin D og analoger

A11CC03	ALFACALCIDOL
Lægemidler	Alfacalcidol "Alternova" kapsler, bløde Alfacalcidol "Orifarm" kapsler, bløde Alfacalcidol "Paranova" injektionsvæske Etalpha injektionsvæske Etalpha kapsler, bløde Etalpha orale dråber, opløsning One-Alpha orale dråber, opløsning
Godkendt indikation	Forstyrrelser i calcium-phosphat-omsætningen forårsaget af nedsat produktion af 1,25-dihydroxyvitamin D ₃ . De vigtigste indikationer er følgende: <ul style="list-style-type: none"> • renal osteodystrofi • hypoparathyreoidisme (idiopatisk og postoperativ) • forskellige årsager til rakitis og osteomalaci (D-vitaminmangel) • rakitis og osteomalaci med pseudo-D-vitaminmangel (D-

	vitamin-afhængig) <ul style="list-style-type: none"> • rickets og osteomalaci med hypophosphatæmisk D-vitamin-resistens
Udleveringsgruppe	B
Tilskudsstatus	Ikke generelt tilskud
Forbrug (antal personer i behandling)	2008: 3.801 2009: 3.393 2010: 3.218 2011: 3.066 2012: 3.108
Enkelttilskud	2012: 187 ansøgninger, 152 bevilget (81 %)

A11CC05	COLECALCIFEROL
Lægemidler	Detremin orale dråber, opløsning
Godkendt indikation	<ul style="list-style-type: none"> • Behandling af D-vitaminmangel eller D-vitamininsufficiens • Profylakse og behandling af D-vitamininsufficiens ved malabsorption • Behandling af rickets hos spædbørn og børn • Behandling af osteomalaci forårsaget af D-vitaminmangel • Understøttende behandling ved osteoporose kombineret med calcium og, når det er indiceret, sammen med et specifikt antiosteoporotisk middel • Profylakse hos patienter med øget risiko for osteoporotiske frakturer, f.eks. ældre patienter og patienter i behandling med glucocorticoide, i kombination med calcium • Behandling af sekundær hyperparathyroidisme
Udleveringsgruppe	B
Tilskudsstatus	Ikke generelt tilskud
Forbrug (antal personer i behandling)	2008: - 2009: - 2010: - 2011:- 2012: 41
Enkelttilskud	2012: 0 ansøgning

A11E, vitamin B-kompleks, inkl. kombinationer

A11E*** (Ufuldstændig ATC-kode)	VITAMIN B-KOMPLEKS, INCL. KOMBINATIONER
Lægemidler	TrioBe tabletter
Godkendt indikation	Forebyggelse af symptomgivende mangel på vitamin B ₆ , vitamin B ₁₂ og folinsyre ved utilstrækkelig fødeindtagelse eller malabsorption, hovedsageligt hos ældre.
Udleveringsgruppe	B
Tilskudsstatus	Ikke generelt tilskud

Forbrug (antal personer i behandling)	2008: 4.127 2009: 3.269 2010: 3.183 2011: 2.980 2012: 2.823
Enkelttilskud	2012: 8 ansøgninger, 0 bevilget (0 %)

A11H, andre usammensatte vitaminpræparater

A11HA08	TOCOFERSOLAN
Lægemidler	Vedrop oral opløsning
Godkendt indikation	Vedrop er indiceret ved mangel på vitamin E som følge af mala Sorption hos pædiatriske patienter med kronisk kongenit kolestase eller arvelig kronisk kolestase, fra fødslen (hos nyfødte, der fødes til terminen) op til 18-års-alderen.
Udleveringsgruppe	NBS
Tilskudsstatus	Ikke generelt tilskud
Forbrug (antal personer i behandling)	2008: - 2009: - 2010: 1 2011: 1 2012: 2
Enkelttilskud	2012: 1 ansøgning, 1 bevilget (100 %)

A12 – Mineralpræparater

A12AA, calcium

A12AA02	CALCIUMGLUBIONAT
Lægemidler	Calcium-Sandoz injektionsvæske, opløsning
Godkendt indikation	Hypocalcæmi. Tilstande, hvor calciumtilførsel i øvrigt skønnes indiceret.
Udleveringsgruppe	B
Tilskudsstatus	Ikke generelt tilskud
Forbrug (antal personer i behandling)	2008: 18 2009: 10 2010: 10 2011: 15 2012: 10
Enkelttilskud	2012: 0 ansøgning

A12AA06	CALCIUMLACTOGLUCONAT
Lægemidler	Calcium-Sandoz brusetabletter
Godkendt indikation	<ul style="list-style-type: none"> • Forebyggelse og behandling af calciummangel • Calcium supplement som tilskud til adjuverende specifik terapi i forebyggelse og behandling af osteoporose • Som tilskud til vitamin D₃ behandling af rickets og osteomalaci
Udleveringsgruppe	HF
Tilskudsstatus	Ikke generelt tilskud
Forbrug (antal personer i behandling)	2008: 2.045 2009: 2.009 2010: 1.853 2011: 1.850 2012: 1.756
Enkelttilskud	2012: 75 ansøgninger, 63 bevilget (84 %)

A12AX, calcium, kombinationer med D-vitamin og/eller andre stoffer

A12AX** (Ufuldstændig ATC-kode)	CALCIUM, KOMBINATIONER MED D-VITAMIN OG/ELLER ANDRE STOFFER
Lægemidler	Calcichew-D3 tyggetabletter Calcichew-D3 Forte tyggetabletter Calcichew-D3 Forte Flex filmovertrukne tabletter Calcichew-D3 Ultra Forte tyggetabletter Calcichew-D3 X-Forte Lemon tyggetabletter Calfovit D3 pulver til oral suspension Ideos tyggetabletter
Godkendt indikation	Forebyggelse og behandling af vitamin D- og calciummangel. Vitamin D og calciumtilskud gives som adjuverende behandling i forbindelse med behandling af osteoporose hos patienter, der har risiko for vitamin D- og calciummangel.
Udleveringsgruppe	HA
Tilskudsstatus	Ikke generelt tilskud
Forbrug (antal personer i behandling)	2008: 25.021 2009: 22.918 2010: 20.192 2011: 17.838 2012: 15.828
Enkelttilskud	2012: 273 ansøgninger, 247 bevilget (90 %)

A12B, kalium

A12BA01	KALIUMCHLORID
---------	---------------

Lægemidler	Kaleorid depottabletter Kaliumklorid "PS" oral opløsning
Godkendt indikation	Hypokaliæmi. Forebyggelse ved behandling med saluretika.
Udleveringsgruppe	HA
Tilskudsstatus	Klausuleret tilskud: Hypokaliæmi og forebyggelse ved behandling med diuretika.
Forbrug (antal personer i behandling)	2008: 159.887 2009: 159.241 2010: 160.565 2011: 162.240 2012: 165.046
Enkelttilskud	2012: 10 ansøgninger, 0 bevilget (0 %)

A16 - Andre midler til fordøjelsesorganer og stofskifte

A16AA, aminosyrer og derivater

A16AA04	MERCAPTAMIN
Lægemidler	Cystagon kapsler, hårde
Godkendt indikation	Behandling af diagnosticeret nephropatisk cystinosis. Cysteamin reducerer cystin akkumuleringen i visse celler (f.eks. leukocyter, muskelceller og leverceller) hos patienter med nephropatisk cystinosis, og hvor behandlingen iværksættes tidligt forsinker det udviklingen af nyresvigt.
Udleveringsgruppe	NBS
Tilskudsstatus	Ikke generelt tilskud
Forbrug (antal personer i behandling)	2008: 5 2009: 5 2010: 5 2011: 5 2012: 4
Enkelttilskud	2012: 0 ansøgning

A16AA06	BETAIN
Lægemidler	Cystadane oralt pulver
Godkendt indikation	Adjuverende behandling af homocystinuria, hvilket inkluderer mangler eller defekter i: <ul style="list-style-type: none"> • Cystationin beta-syntase (CBS), • 5,10-metylen-tetrahydrofolat reductase (MTHFR), • cobalamin cofaktor metabolismen (cbl). <p>Cystadane bør benyttes som supplement til andre behandlinger som fx vitamin B6 (pyridoxin), vitamin B12 (cobalamin), folinsyre og en målrettet diæt.</p>

Udleveringsgruppe	NBS
Tilskudsstatus	Ikke generelt tilskud
Forbrug (antal personer i behandling)	2008: 14 2009: 13 2010: 16 2011: 14 2012: 13
Enkelttilskud	2012: 2 ansøgninger, 2 bevilget (100 %)

A16AB, enzymer

A16AB02	IMIGLUCERASE
Lægemidler	Cerezyme pulver til infusionsvæske, opløsning
Godkendt indikation	Langvarig enzymerstatningsbehandling hos patienter med en bekræftet diagnose lydende på ikke-neuronopatisk (Type 1) eller kronisk neuronopatisk (Type 3) Gauchers sygdom, der udviser klinisk signifikante, ikke-neurologiske manifestationer af sygdommen. Ikke-neurologiske manifestationer af Gauchers sygdom omfatter én eller flere af følgende tilstande: <ul style="list-style-type: none"> • Anæmi efter udelukkelse af andre årsager, f.eks. jernmangel. • Trombocytopeni. • Knoglesygdomme efter udelukkelse af andre årsager, f.eks. D-vitaminmangel. • Hepatomegali eller splenomegali.
Udleveringsgruppe	B
Tilskudsstatus	Ikke generelt tilskud
Forbrug (antal personer i behandling)	2008: - 2009: - 2010: - 2011: - 2012: -
Enkelttilskud	2012: 0 ansøgning

A16AX, div. midler til fordøjelsesorganer og stofskifte

A16AX03	NATRIUMPHENYLBUTYRAT
Lægemidler	Ammonaps granulat Ammonaps tabletter
Godkendt indikation	Adjuvant behandling til den kroniske kontrol af urinstofcyklusdefekter, som involverer mangel på carbamylphosphatsyntetase, ornithintranscarbamylase eller argininosuccinatsyntetase. Det er indiceret til alle patienter med <i>neonatalt indsættende</i> sygdom (komplet enzymmangel, som viser sig inden for 28 dage post partum). Det er også indiceret til patienter med sent indsættende sygdom.

	dom (partiel enzymmangel, som viser sig efter den første måned post partum), som har tidligere tilfælde af hyperammonæmisk encefalopati.
Udleveringsgruppe	NBS
Tilskudsstatus	Ikke generelt tilskud
Forbrug (antal personer i behandling)	2008: 4 2009: 6 2010: 5 2011: 6 2012: 8
Enkelttilskud	2012: 2 ansøgninger, 2 bevilget (100 %)

A16AX04	NITISINON
Lægemidler	Orfadin kapsler, hårde
Godkendt indikation	Behandling af patienter med en bekræftet diagnose på arvelig tyrosinæmi type 1 (HT-1) i kombination med kostmæssige restriktioner af tyrosin og fenylalanin.
Udleveringsgruppe	NBS
Tilskudsstatus	Ikke generelt tilskud
Forbrug (antal personer i behandling)	2008: - 2009: - 2010: 1 2011: - 2012: -
Enkelttilskud	2012: 1 ansøgning, 0 bevilget (0 %)

A16AX06	MIGLUSTAT
Lægemidler	Zavesca kapsler, hårde
Godkendt indikation	Til oral behandling af voksne patienter med let til moderat Gauchers sygdom, type 1. Zavesca må kun bruges til behandling af patienter, hvor enzymsubstitutionsterapi ikke er egnet. Zavesca er indiceret til behandling af progressive neurologiske manifestationer hos voksne patienter og pædiatriske patienter med Niemann-Picks sygdom, type C.
Udleveringsgruppe	NBS
Tilskudsstatus	Ikke generelt tilskud
Forbrug (antal personer i behandling)	2008: - 2009: - 2010: - 2011: - 2012: -
Enkelttilskud	2012: 0 ansøgning

A16AX07	SAPROPTERIN
Lægemidler	Kuvan opløselige tabletter
Godkendt indikation	Til behandling af hyperfenylalaninæmi (HPA) hos voksne og pædiatriske patienter fra 4 år og opefter med fenyلكetonuri (PKU), som har vist at respondere på behandling. Kuvan er også indiceret til behandling af hyperfenylalaninæmi (HPA) hos voksne og pædiatriske patienter med tetrahydrobiopterin (BH4) mangel, som har vist at respondere på behandling.
Udleveringsgruppe	NBS
Tilskudsstatus	Ikke generelt tilskud
Forbrug (antal personer i behandling)	2008: - 2009: - 2010: 3 2011: 11 2012: 21
Enkelttilskud	2012: 12 ansøgninger, 12 bevilget (100 %)