

SKRIFTLIG FRÅGA TILL STATSRAÅD

Från Riksdagsförvaltningen
2025-12-12
Besvaras senast
2025-12-29

Till sjukvårdsminister Elisabet Lann (KD)

2025/26:315 Sällsynta sjukdomar, tillgång till behandling och ökad kunskap inom den europeiska läkemedelsmyndigheten

Sällsynta sjukdomar drabbar tillsammans hundratusentals människor i Sverige, men varje enskild diagnos har få patienter och får därför ofta för lite uppmärksamhet, för lite forskning och för långsamma beslutsvägar. En av dessa diagnoser är Duchennes muskeldystrofi (DMD) – en allvarlig, progressiv och livshotande muskelsjukdom som främst drabbar pojkar.

Trots stora forskningsframsteg de senaste åren, där nya behandlingar utvecklats och i flera fall godkänts av den europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA), dröjer det ofta år innan svenska patienter får faktisk tillgång till dessa behandlingar. Väntan beror bland annat på nationella bedömningar, kostnadsvärderingar och olika tolkningar av evidens – vilket leder till att barn och unga i Sverige riskerar att förlora värdefull tid i en sjukdom som snabbt förvärras.

För patienter med Duchennes muskeldystrofi är tid bokstavligen avgörande; varje månad utan behandling kan innebära ytterligare förlust av muskelstyrka och funktion som inte kan återställas. När EMA redan bedömt ett läkemedel som säkert och effektivt för användning inom EU bör vägen till svensk vård och finansiering vara så kort och samordnad som möjligt.

Samtidigt krävs också ökad kunskap inom EMA och dess underkommittéer om sällsynta diagnoser och deras unika förutsättningar. Bedömningsprocesser och krav på klinisk evidens behöver anpassas till verkligheten för sjukdomar med mycket små patientgrupper, där traditionella stora fas 3-studier inte alltid är möjliga. En bättre förståelse för dessa förhållanden kan leda till snabbare godkännanden och mer rättvisa utvärderingar av behandlingseffekt.

För att patienter med Duchenne och andra sällsynta sjukdomar inte ska hamna i kläm mellan EU-godkännande och nationell implementering krävs ett stärkt samarbete mellan Sverige, EMA och övriga medlemsländer. Sverige har som forskningsnation, med stark medicinsk kompetens och välutvecklad vårdstruktur, alla möjligheter att ta ledningen i detta arbete – men det kräver politisk prioritering och konkret handlingskraft.

Därför vill jag fråga sjukvårdsminister Elisabet Lann:

Vilka åtgärder har ministern och Sverige hittills vidtagit, eller avser att vidta, för att förkorta tiden mellan europeiskt godkännande (EMA) av behandlingar mot sällsynta sjukdomar som Duchennes muskeldystrofi och tillgänglighet för patienter i Sverige, och hur har Sverige agerat för att bidra till att öka kunskapen och kompetensen inom EMA gällande sällsynta diagnoser, som Duchennes muskeldystrofi, så att bedömningsprocesser bättre speglar de särskilda förutsättningarna för dessa sjukdomar?

.....

Matilda Ernkrans (S)

Överlämnas enligt uppdrag

Rebecca Heinemann