

SKRIFTLIG FRÅGA TILL STATSRAÅD

Från Riksdagsförvaltningen
2020-02-06
Besvaras senast
2020-02-12 kl. 12.00

Till socialminister Lena Hallengren (S)

2019/20:897 Genterapi för att bota sällsynta genetiska sjukdomar

De första läkemedlen som baseras på genterapi, där patientens genom ändras på något sätt, är på väg att kunna användas kliniskt i Sverige. Kliniska fas 3-studier kommer snart att ansökas om. Sedan saknas endast marknadsgodkännande. Befintliga studieresultat är lovande.

Tidigare har genterapiläkemedel för behandling av näthinnan godkänts. Först ut för genterapi av hela kroppens celler är läkemedel som potentiellt kommer att kunna bota patienter med sjukdomen Duchennes muskeldystrofi. Det är en grym sjukdom som drabbar barn. Muskulerna blir successivt allt svagare tills den drabbade dör. Under tiden orsakar sjukdomen stort lidande. Det finns ännu ingen botande behandling, och även om det finns lindrande behandling som också fördröjer sjukdomsförloppet är prognosen dålig för dem som drabbats. De nya teknikerna erbjuder hopp för dem som drabbats av sällsynta genetiska sjukdomar.

Med tanke på att metoden genterapi är förhållandevis ny, åtminstone för allmänheten, kan det komma att skapas opinion mot användningen. Det kan om det vill sig illa leda till spridning av felaktiga fakta och mytbildning, en situation som kan vara svår att vända när det väl har hänt. Därför är det viktigt att informera allmänheten och att uppmuntra till diskussion. Annars kan användningen av läkemedel baserade på genterapi stanna upp i onödan, med mycket lidande för de drabbade som följd. Lagstiftning och vårdsektorns rutiner kan också behöva en översyn för att det ska fungera smidigt med de nya verktygen.

Med anledning av detta vill jag fråga socialminister Lena Hallengren:

Vilka förberedelser kommer ministern och regeringen att göra för att underlätta användningen av och motverka onödig fördröjning av läkemedel baserade på genterapi när sådana har godkänts?

.....

Staffan Eklöf (SD)

Överlämnas enligt uppdrag

Johan Welanders