

Helsedirektoratet  
v/ Anne Forus  
PB 7000 St. Olavs Plass  
0130 Oslo

Vår ref.: 2018/5

Deres ref.: 18/3980-1

Dato: 26.02.2018

## Godkjenning av genterapi Spinraza til behandling av Spinal Muskelatrofi (SMA).

Spinraza er et legemiddel til behandling av Spinal muskelatrofi (SMA). SMA er en arvelig, nevrologisk sykdom som fører til gradvis tap av muskelfunksjon og tap av muskelmasse. Den vanligste årsaken til SMA er en genforandring som gir mangel på et protein som er viktig for vedlikehold av nerveceller. Barn med alvorlig muskelatrofi har de vanskeligheter med å svelge og puste, og dør som regel innen toårsalderen.

Spinraza er en genterapi som benytter såkalt antisense RNA til å øke produksjonen av et annet protein som kompenserer for genfeilen. Effekten er midlertidig, og det gjøres ingen endringer i cellenes DNA.

Kliniske utprøvinger har vist at behandlingen er trygg og har signifikant effekt for ulike subtyper av SMA, men at effekten var bedre desto tidligere behandlingen startet. Det er imidlertid usikkerhet knyttet til langtidseffekten av behandlingen grunnet mangel på relevant datagrunnlag.

Spinraza fikk markedsføringstillatelse av de europeiske legemiddelmyndighetene (EMA) sommeren 2017. Statens legemiddelverk (SLV) gjorde en hurtig metodevurdering høsten 2017, og konkluderte med at kriteriene for sykdommens alvorlighet samt klinisk effekt er oppfylt. De mente imidlertid at kriteriet for kostnadseffektivitet ikke er oppfylt. Beslutningsforum vedtok i februar 2018 at Spinraza skal tilbys gjennom spesialisthelsetjenesten til barn under 18 år, etter gjentatte runder med prisforhandlinger med produsenten Biogen.

Helsedirektoratet har ikke mottatt søknad om godkjenning av Spinraza etter bioteknologiloven, men har valgt å sette i gang en formell godkjenningsprosess etter bioteknologiloven på bakgrunn av Beslutningsforums uttalelse. De har gått gjennom metodevurderingen og annen aktuell dokumentasjon, og mener at vilkårene for å gi godkjenning etter bioteknologiloven § 6-3 er oppfylt.

Brev ble oversendt Bioteknologirådet den 16.02.2018, i tråd med Bioteknologilovens §6-3 annet ledd. Rådet har ingen særskilte merknader, og mener i likhet med Helsedirektoratet at vilkårene for godkjenning etter Bioteknologiloven er oppfylt.

Med vennlig hilsen

Kristin Halvorsen  
leder

Ole Johan Borge  
direktør

Saksbehandler: Seniorrådgiver Sigrid Bratlie