

Helse- og omsorgsdepartementet
Postboks 8011 Dep.
0030 Oslo

Kopi:
Helsedirektoratet

Vår ref.: 2024/33-9

Deres ref.: 22/4601

Dato: 20-12-2024

Genterapi

Denne uttalelsen er en del av Bioteknologirådet sin evaluering av bioteknologiloven. Bioteknologirådet uttaler seg her om bioteknologiloven kapittel 6 om genterapi.

Uttalelsen har vært drøftet på møtene den 24. oktober og 5. desember 2024.

1 Oppsummering av Bioteknologirådet sine anbefalinger

Et samlet Bioteknologiråd mener at særregulering av genterapier i bioteknologiloven ikke lenger er nødvendig. Medlemmene begrunner dette med at klinisk utprøving og godkjenning av nye genterapier er – som andre legemidler – regulert gjennom etablerte regulatoriske prosesser i Norge og EU.

Rådets medlemmer mener at en eventuell fjerning av kapittel 6, forutsetter at det opprettholdes en bestemmelse i bioteknologiloven som erstatter § 6-2 og ivaretar artikkel 13 i biomedisinkonvensjonen slik at bruk begrenses til behandling eller forebygging av sykdom, og at forbud mot å gjøre arvelige genetiske endringer opprettholdes.

Dersom genterapi fortsatt skal reguleres i bioteknologiloven, mener et samlet Bioteknologiråd at det er nødvendig å justere følgende paragrafer:

§ 6-1 Definisjon:

Hvis lovens hensikt er å ha et forbud mot arvelig genterapi og forbedring, er det viktig å sikre at definisjonen er dekkende for *alle* genredigerings terapier, siden det er disse som har størst potensial til å gjøre endringer som *forbedrer* mennesket eller som kan gå i *arv*.

At loven referer direkte til EU-regelverk med lenker kan, etter Rådets mening, også være problematisk. Dersom EU skulle implementere et nytt legemiddeldirektiv med en ny definisjon, ville det kreve en umiddelbar endring i § 6-1.

§ 6-4 Samtykke:

Et enstemmig bioteknologiråd mener at kravet om skriftlig samtykke bør utgå også dersom genterapi fortsatt skal reguleres i bioteknologiloven. Medlemmene begrunner dette med at samtykkekrav for godkjente behandlinger bør være som for andre legemidler for øvrig, der et muntlig samtykke er tilstrekkelig. Når det gjelder kliniske studier med genterapi, er kravet om skriftlig samtykke ivaretatt av annen lovgiving.

2 Bakgrunn

Genterapi er en form for medisinsk behandling der genetisk materiale (DNA eller RNA) overføres til mennesker for å behandle eller forebygge sykdom. Det har skjedd en stor utvikling på genterapifeltet de siste årene: fra å være ansett som en høyst usikker og eksperimentell behandlingsform på 90-tallet, er det i dag flere godkjente genterapibehandlinger i EU, hvorav noen også er innført som offentlig behandlingstilbud i Norge. Det forventes også at antallet av nye genterapier vil stige i de kommende årene og at nye innovative behandlinger basert på genredigering, vil komme på markedet.

Genterapi har vært regulert i bioteknologiloven siden loven for første gang ble vedtatt i 1994. Kapittel 6 fikk en rekke endringer som følge av bioteknologiforliket i 2020 og omfatter i dag bestemmelser rundt definisjon, vilkår for genterapi og samtykke.

2.1 Regulering i Norge

I Norge er bruken av genterapier regulert i legemiddelovgivningen og bioteknologiloven. Klinisk utprøving av genterapi omfattes også av helseforskningsloven og for noen genterapier genteknologiloven.

2.1.1 Godkjenning av genterapier i EU og Norge

Norge har gjennom EØS-avtalen forpliktet seg til å følge EUs direktiver for legemidler. EUs legemiddeldirektiv (direktiv 2001/83) ble implementert i 2001 og genterapier reguleres i dag innenfor regelverk for avanserte terapier, også kalt ATMP (Advanced Therapy Medicinal Products)¹.

Markedsføringstillatelse for avanserte terapier gis gjennom en sentral godkjenning i EU (EMA og EU-kommisjonen) og godkjennes på samme måte som andre legemidler gjennom legemiddeldirektivet. Det betyr at genterapier vurderes etter kriterier for kvalitet, sikkerhet og effekt som andre legemidler for øvrig. Godkjenningen definerer for hvilken medisinsk tilstand(er) genterapien kan benyttes (indikasjon). Hvilke behandlinger som skal tilbys gjennom spesialisthelsetjenesten i Norge, besluttes gjennom systemet for nye metoder.

2.1.2 Klinisk utprøving av genterapier i Norge

Klinisk utprøving av legemidler er først og fremst regulert av felles europeisk regelverk². I Norge omfattes klinisk utprøving av legemidler også av helseforskningsloven. Utprøvinger som skal utføres i Norge må godkjennes av Direktoratet for Medisinske Produkter (DMP) og av etikkomiteen

¹ Forordning om avanserte terapier (EU) Nr. 1394/2007

² Forordning (EU) Nr. 536/2014

REK klinisk utprøving av legemidler og medisinsk utstyr (REK KULMU), som vil gjøre vurderinger rundt vitenskapelige kvalitet, etisk forsvarlighet og sikkerhet.

Utprøving av legemidler som består av eller inneholder genmodifiserte organismer – såkalte GMO-legemidler – skal også godkjennes etter genteknologiloven, som stiller krav til bærekraftig utvikling, samfunnsmessig nytteverdi og etisk forsvarlighet, i tillegg til en vurdering av miljørisiko.

2.1.3 Regulering av genterapi i bioteknologiloven

Bioteknologiloven regulerer både klinisk utprøving av genterapi og bruk av godkjente genterapier som etablert behandling.

Det ble vedtatt å utforme særskilt regulering for genterapi i 1994, i forbindelse med at Norge fikk bioteknologiloven. På dette tidspunktet var det ingen nasjonal lovregulering av genterapi på plass hverken i Norge eller andre land og det fantes heller ikke relevant regelverk på EU-nivå. Bakgrunnen for å lovregulere genterapi kommer frem i lovens forarbeider: dette var blant annet knyttet til stor usikkerhet rundt metodens sikkerhet, samt en bekymring for at metoden kunne benyttes til å forbedre menneskets egenskaper og til å gjøre arvelige genetiske endringer³. Regulering av genterapi ble videreført da en ny bioteknologilov ble vedtatt i 2003 og ble lite endret de påfølgende årene.

I juli 2020 vedtok stortinget flere endringer i bioteknologilovens bestemmelser om genterapi vedrørende definisjon, vilkår for bruk og godkjenning av genterapier⁴. Paragraf 6.3 om departementets godkjenning av behandlingsformer som regnes som genterapi, ble opphevet. I dagens lov er følgende regulert:

- *§ 6-1 Definisjon:*

Med genterapi menes i denne loven legemidler som er omfattet av definisjonen i forordning om avanserte terapier (EU) nr. 1394/2007 artikkel 2, jf. direktiv 2001/83 (legemiddeldirektivet) bilag 1 del IV pkt. 2.1.

Definisjonen av genterapi ble i 2020 endret for å harmonisere med EU-definisjonen.

- *§ 6-2 Vilkår for genterapi mv.:*

Genterapi kan bare benyttes for behandling av sykdom eller for å hindre at sykdom oppstår. Genterapi og annen overføring av genetisk materiale til humane celler, foster og befruktede egg som medfører genetiske endringer som går i arv i kjønnseller er forbudt.

Genterapier skal ifølge loven «... bare benyttes for behandling av sykdom eller for å hindre at sykdom oppstår», men det er ikke lenger krav om at sykdommen skal være **alvorlig**. I tillegg er det er forbud mot genterapier som medfører arvelige genetiske endringer.

- *§ 6-4 Samtykke:*

Før genterapi igangsettes må den som skal behandles, gi skriftlig samtykke. Før det igangsettes genterapi på barn under 16 år, skal det gis skriftlig samtykke fra foreldrene eller andre med foreldreansvar.

³ Ot.prp.nr. 37 (1993-1994) og Ot.prp. nr. 64 (2002-2003)

⁴ Helsedirektoratet: <https://www.helsedirektoratet.no/tema/bioteknologi/genterapi>

2.2 Regulering av genterapi i Norden

I de nordiske landene reguleres genterapier gjennom europeisk legemiddellovgivning, som beskrevet i 2.1.1. Både i Sverige og Danmark er det lite særregulering av genterapi, som er plassert i ulike lover:

- **Sverige** har et forbud mot klinisk utprøving eller behandling med genterapier som medfører arvelige genetiske endringer (Lag (2006:351) om genetisk integritet m.m.),
- **Danmark** har ingen særskilt regulering for genterapi, men har også et forbud mot å gjøre genetiske endringer som kan gå i arv (jf. Lov om kunstig befrugtning nr. 460 af 10. juni 1997).

2.3 Utviklingen av genterapi

Genterapi ble for første gang brukt på mennesker i 1990. De påfølgende årene ble flere genterapier testet på mennesker. De kliniske utprøvingene fokuserte i starten på ulike former for immunsviktsykdom og rapporterte lovende resultater. Senere viste det seg imidlertid at flere av de tidlige genterapibehandlingene hadde dårlig effekt, og noen av pasientene utviklet også alvorlige bivirkninger [1].

Flere av bivirkningene var direkte knyttet til leveringsverktøyet (vektoren) som ble brukt for å få genmaterialet inn i cellene. For eksempel viste det seg at noen av vektorene aktiverte kreftfremkallende gener (onkogener), som gjorde at flere pasienter fikk leukemi. Én pasient døde også som direkte resultat av genterapibehandlingen han fikk, fordi virusvektoren forårsaket en kraftig immunrespons. De mange alvorlige hendelsene førte til at feltet stoppet opp, noe som medførte en pause i utviklingen av nye genterapier [1, 2].

Det er blitt gjort flere metodiske fremskritt de siste årene. Blant annet har forskere utviklet bedre leveringsverktøy, som mer presist kan leveres til spesifikke celler i kroppen og som ikke aktiverer immunsystemet på samme måte. Forskningen har også vist at genterapi kan benyttes som behandling av et bredt spekter av sykdommer [3].

I dag er der flere genterapibehandlinger som er godkjent for bruk: per i dag (november 2024) er det 16 godkjente genterapier i EU. På verdensbasis er det registrert over 3900 kliniske studier med genterapier, hvor flere er i fase 3 i det kliniske utviklingsprogrammet [4]. Dette gir grunn til å tro at vi i de kommende årene vil se en økning i godkjente genterapier.

Som for legemidler generelt, er forskning på genterapi fortsatt forbundet med usikkerhet. Det er flere nyere eksempler på kliniske studier hvor genterapier ikke oppnår ønsket effekt, eller hvor behandlingen fører til uforutsette hendelser [5, 6].

2.3.1 Nye typer genterapi med genredigering

I en uttalelse fra 2023 drøftet Bioteknologirådet de medisinske og etiske aspektene ved genredigering i mennesker [7]. Genredigering er en genteknologisk metode som gjør det mulig å gjøre mer presise genetiske endringer *direkte* i cellenes arvemateriale. Dette er i motsetning til

tradisjonell genterapi hvor genetisk materiale leveres fra utsiden. Det finnes flere ulike metoder for genredigering, hvor Crispr-metoden⁵ er den mest anvendte.

I dag er det en rekke nye genredigerings terapier på trappene, hvor over 60 nye kliniske studier er registrert i Verdens Helseorganisasjons (WHOs) register for kliniske studier. I februar 2024 ble verdens første genredigerings terapi, Casgevy⁶, godkjent i EU.

Alle genterapibehandlinger som utvikles i dag, er gjort på ulike kroppsceller (alle celler utenom kjønnsceller og befruktede egg) og omtales ofte som somatisk genterapi. Genredigering kan i prinsippet også rettes mot kjønnsceller og embryo (befruktede egg). Dersom man endrer på genene i disse cellene, vil endringene være arvelige og videreføres til kommende generasjoner. Det er bred internasjonal enighet om at slik arvelig genredigering på nåværende tidspunkt hverken er etisk eller teknisk forsvarlig og er derfor forbudt i alle land med lovregulering. Muligheten for å gjøre arvelige genetiske endringer er omstridt og reiser flere etiske spørsmål som Bioteknologirådet har drøftet i tidligere uttalelser, hvor et enstemmig råd mente at dagens forbud mot å gjøre arvelige genetiske endringer må opprettholdes [7, 8].

Ved somatisk genredigering vil det være en mulighet – om enn marginal – for at kjønnsceller eller deres forløpere endres utilsiktet når genredigering gjøres direkte i kroppen. Bioteknologirådet har i en tidligere uttalelse påpekt at det viktig at denne risikoen inngår i den generelle nytte-risikovurderingen dersom det er snakk om en *in vivo* behandling [7].

3 Bioteknologirådets vurderinger og anbefalinger

I evalueringen av bioteknologiloven kapittel 6 har Bioteknologirådet lagt vekt på å drøfte om genterapier fremdeles bør reguleres særskilt i bioteknologiloven, eller om regulering er tilstrekkelig dekket andre steder (3.1). Rådet har i tillegg drøftet lovens bestemmelser i detalj, og vurdert behovet for å justere lovparagrafene dersom kapittel 6 består (3.2).

3.1 Behov for fortsatt regulering av genterapier i bioteknologiloven?

Spørsmålet om genterapier krever særskilt regulering, har vært reist ved flere anledninger, for eksempel i Helsedirektoratets evaluering av bioteknologiloven i 2015 [9] og i Bioteknologirådets evalueringer av loven i 2012 [10] og 2015 [11].

I tidligere evalueringer har Bioteknologirådet vektlagt usikkerheten rundt behandlingene, og i tillegg til at ingen andre regelverk regulerer ikke-medisinsk bruk [10, 11]. Det kan være flere momenter som gjør at disse hensynene vektles annerledes i dag. Blant annet har vi fått mer erfaring med genterapi og metoden er knyttet til mindre usikkerhet.

Argumenter for å beholde genterapi under dagens lovgivning er at behandlingen omfatter endringer av menneskets genetiske materiale og hører derfor naturlig inn under bioteknologiloven. I tillegg gjør

⁵ Crispr er en forkortelse for «Clustered regularly interspaced short palindromic repeats» og er et system som bakterier bruker for å beskytte seg mot virus. I 2012 viste forskere hvordan det var mulig å isolere Crispr og gjøre det om til en programmerbar «gensaks» som kan kutte hvor som helst i genomet.

⁶ Crispr-terapien, Casgevy, er rettet mot to alvorlige, arvelige blodsykdommer: Sigdcelleanemi og betatalassemi, som skyldes ulike mutasjoner i genet som koder for hemoglobin.

teknologien det i prinsippet mulig å gjøre arvelige genetiske endringer og endringer som forbedrer menneskets egenskaper. Bioteknologiloven kan derfor være viktig for å sikre at genterapi – også i fremtiden – foregår innenfor ønskede rammer.

Andre kan mene at særregulering for genterapier ikke lenger er nødvendig. Bioteknologilovens bestemmelser om genterapi ble utarbeidet på et tidspunkt da genterapi ikke var etablert som behandlingsform, og hvor klinisk utprøving med genterapi var forbundet med større risiko og usikkerhet. Ettersom genterapier i dag vurderes og godkjennes gjennom EUs legemiddellovgivning, kan man argumentere at regulering er tilstrekkelig dekket andre steder. Andre avanserte terapier, som celleterapi og vevsterapi, er heller ikke særregulert i norsk lov.

Dersom særskilt regulering av genterapi ikke lenger ansees nødvendig, bør kapittel 6 fjernes. Mulige konsekvenser av dette vurderes under punkt 3.1.1.

3.1.1 Konsekvenser ved å fjerne bioteknologilovens kapittel 6

Bioteknologirådet har sett på bestemmelsene som gjenstår i loven og drøftet hvilke konsekvenser det vil få om disse eventuelt fjernes.

§ 6-2 Vilkår for genterapi:

Paragraf § 6-2 har vært en sentral del av lovgivningen fordi den skal sikre at bruken av genterapi foregår innenfor ønskede rammer og hindre at genterapi benyttes til andre formål enn medisinske. Dette dekkes på ulikt vis av EUs regelverk, kapittel 3 i bioteknologiloven og Europarådets konvensjon om menneskerettigheter og biomedisin.

EU-forordningen for klinisk utprøving har et forbud mot utprøving av genterapier som resulterer i arvelige genetiske endringer (jf. forordning (EU) Nr. 536/2014). Bioteknologilovens kapittel § 3-2 har også et forbud mot forskning som medfører genetiske forandringer som kan gå i arv hos mennesker (Vilkår for bruk av overtallige befruktede egg til forskning).

Norge har også ratifisert Europarådets konvensjon om menneskerettigheter og biomedisin (biomedisinkonvensjonen), hvor artikkel 13 er relevant for regulering og vilkår for genterapi:

Artikkel 13 Endring av menneskets arveanlegg

En inngripen som søker å modifisere menneskets arveanlegg, kan bare foretas til preventive, diagnostiske eller terapeutiske formål, og bare dersom den ikke har som siktemål å skape en modifikasjon i eventuelle etterkommeres arveanlegg.

Dette taler også for at en egen paragraf i Bioteknologiloven kan være overflødig. Men da vil ikke disse begrensingene lenger framkomme eksplisitt i bioteknologiloven.

§ 6-4 Skriftlig samtykke:

Ifølge bioteknologiloven skal pasienten gi skriftlig samtykke⁷ før behandling med genterapi. For barn under 16 år, stiller loven krav om skriftlig samtykke fra foreldre eller andre med foreldreansvar. Kravet om skriftlig samtykke gjelder både ved klinisk utprøving av nye genterapier, og ved

⁷ Samtykke til helsehjelp kan ha ulike former og er regulert under pasient- og brukerrettighetsloven. Pasientens samtykke kan etter loven gis uttrykkelig eller stilltiende og departementet kan også gi forskrifter om krav til skriftlighet ved visse former for helsehjelp (jf. lov om pasient- og brukerrettigheter).

behandling med etablerte genterapier. Det er kun et fåtall av medisinske inngrep som i dag krever pasientens skriftlige samtykke: som assistert befruktning, organdonasjon, sterilisering og elektrokonvulsiv terapi.

Ved klinisk utprøving av legemidler, er krav om skriftlig samtykke ivaretatt av andre regelverk (forordning (EU) Nr. 536/2014). Når det gjelder behandling med *godkjente* genterapier, vil kravet om skriftlig samtykke falle bort om kapittel 6 fjernes, da et muntlig samtykke er tilstrekkelig for legemidler generelt.

Et spørsmål er om det er nødvendig å innhente skriftlig samtykke til *godkjente* behandlinger med genterapi eller om de bør behandles som andre typer medisinsk behandling. Gitt at genterapier reguleres og godkjennes på samme måte som andre legemidler, kan man mene at et særlig skriftlig samtykke ikke er nødvendig.

Under forrige evaluering av bioteknologiloven (2015-2019) anbefalte et enstemmig bioteknologiråd at kravet om skriftlig samtykke ved genterapi, bør utgå. Dette var begrunnet med at «krav om skriftlig samtykke for både barn og voksne ved kliniske utprøvinger er ivaretatt i helseforskningsloven. Ved bruk av godkjente genterapier med markedsføringstillatelse er muntlig samtykke tilstrekkelig, slik bestemmelsene er for andre godkjente behandlingsformer»[11].

3.1.2 Bioteknologirådets anbefalinger om behov for fortsatt regulering av genterapier

Et samlet Bioteknologiråd mener at særregulering av genterapier i bioteknologiloven ikke lenger er nødvendig. Medlemmene begrunner dette med at både klinisk utprøving og godkjenning av nye genterapier er regulert gjennom etablerte regulatoriske prosesser i Norge og EU, i likhet med andre legemidler.

Rådets medlemmer mener at en eventuell fjerning av kapittel 6, forutsetter at det opprettholdes en bestemmelse i bioteknologiloven som erstatter § 6-2 og ivaretar artikkel 13 i biomedisinkonvensjonen. Dette er for å sikre at genterapier - eller andre inngrep som endrer på menneskets arvemateriale - utelukkende benyttes for behandling eller forebygging av sykdom, og bare dersom inngrepet ikke har som hensikt å gjøre arvelige genetiske endringer. Dette kan for eksempel sikres i en ny lovparagraf som tydelig forbyr behandlinger som resulterer i genetiske endringer som går i arv eller til brukes for menneskelig forbedring.

3.2 Fortsatt regulering av genterapi - behov for justering

Dersom genterapi fortsatt skal reguleres i bioteknologiloven, mener et samlet Bioteknologiråd subsidiært at det er nødvendig å revidere flere av lovens paragrafer.

3.2.1 Bioteknologirådets anbefaling om § 6-1 Definisjon

§ 6-1 refererer direkte til forordning om avanserte terapier ((EU) nr. 1394/2007) og direktiv 2001/83/EC, bilag 1 del IV pkt. 2.1. At definisjonen for genterapi er harmonisert med EU-regelverket er, etter Rådets mening, positivt. Rådet ønsker imidlertid å påpeke at måten loven henviser til EU-

regelverk kan være misvisende. EU-definisjonen for genterapi ble formulert av EU først i 2009 og står i et *endret* vedlegg til direktiv 2001/83/EC⁸, noe som ikke fremkommer tydelig i dagens § 6-1.

Et viktig spørsmål er om EU-definisjonen for genterapi – som den står i dag – er dekkende for hva bioteknologiloven eventuelt skal regulere. I EU defineres en genterapi slik:

Gene therapy medicinal product means a biological medicinal product which has the following characteristics:

(a) it contains an active substance which contains or consists of a recombinant nucleic acid used in or administered to human beings with a view to regulating, repairing, replacing, adding or deleting a genetic sequence;

(b) its therapeutic, prophylactic or diagnostic effect relates directly to the recombinant nucleic acid sequence it contains, or to the product of genetic expression of this sequence.

Gene therapy medicinal products shall not include vaccines against infectious diseases.

Definisjonen av genterapi er altså begrenset til *biologiske* legemidler som består av *rekombinant*⁹ DNA eller RNA. Legemidler som består av genetisk materiale som er *syntetisk fremstilt*, vil derfor falle utenfor EU-definisjonen. Ett eksempel er antisense-oligonukleotider (ASOs), som er enkelttrådet genetisk materiale som kan endre måten RNA prosesseres, og dermed også genuttrykket. Legemiddelet nusinersen (Spinraza), til behandling av spinal muskelatrofi (SMA), er et eksempel på en antisense-terapi som ikke vil falle inn under definisjonen genterapi. Zolgensma – som er et annet legemiddel til behandling av SMA – anses derimot som en genterapi fordi den består av rekombinant DNA.

Når det gjelder genredigeringsterapier (omtalt i 2.3.1), er det heller ikke gitt at alle vil falle inn under EU-direktivets definisjon for genterapi, selv om de innebærer en endring av cellenes arvemateriale. Dette er også blitt påpekt av det europeiske legemiddelagentur, EMA, i sin horizon scan fra 2021 [12]:

The majority of ex vivo genome editing medicinal products will fulfil the ATMP definition as GTMP or cell therapies; all in vivo approaches will be medicinal products, including some being GTMPs, some being biologicals and some that could be considered as small molecules. The situation in the US is slightly more straightforward: all genome editing products (in vivo and ex vivo) are considered by FDA as gene therapy products.¹⁰

Det pågår for tiden et arbeid om å lage et nytt legemiddeldirektiv i EU, som skal erstatte Direktiv 2001/83/EC¹¹. Utkastet til det nye direktivet inkluderer en ny definisjon for genterapi, som sannsynligvis vil favne bredere.

⁸ COMMISSION DIRECTIVE 2009/120/EC of 14 September 2009 amending Directive 2001/83/EC of the European Parliament and of the Council on the Community code relating to medicinal products for human use as regards advanced therapy medicinal products: <https://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:L:2009:242:0003:0012:EN:PDF>

⁹ DNA/RNA som er delt opp og satt sammen fra ulike kilder.

¹⁰ ATMP (Advanced Therapy Medicinal Product); GTMP (Gene Therapy Medicinal Product)

¹¹ Proposal for a DIRECTIVE OF THE EUROPEAN PARLIAMENT AND OF THE COUNCIL on the Union code relating to medicinal products for human use, and repealing Directive 2001/83/EC and Directive 2009/35/EC: [EUR-Lex - 52023PC0192 - EN - EUR-Lex](#)

Et samlet Bioteknologiråd mener at dersom en av lovens hensikter er å ha et forbud mot arvelig genterapi og forbedring, er det viktig å sikre at definisjonen er dekkende for *alle* genredigerings terapier, siden det er disse som har størst potensial til å gjøre endringer som *forbedrer* mennesket eller som kan gå i *arv*.

At loven referer direkte til EU-forordning og direktiv med lenker kan, etter Rådets mening, også være problematisk. Dersom EU skulle implementere et nytt legemiddeldirektiv med en ny definisjon, ville det kreve en umiddelbar endring i § 6-1.

3.2.2 Bioteknologirådets anbefaling om § 6-2 Vilkår for genterapi:

I lys av diskusjonen over (3.1.1), mener et samlet bioteknologiråd at bestemmelsene i § 6-2 kan videreføres dersom genterapi fortsatt skal reguleres i bioteknologiloven.

3.2.3 Bioteknologirådets anbefaling om § 6-4 Samtykke:

I lys av diskusjonen over (3.1.1), mener et enstemmig bioteknologiråd at kravet om skriftlig samtykke bør utgå, også dersom genterapi fortsatt skal reguleres i bioteknologiloven. Medlemmene begrunner dette med at samtykkekrav for godkjente behandlinger med genterapi bør være som for andre legemidler for øvrig, der et muntlig samtykke er tilstrekkelig. Når det gjelder kliniske studier med genterapi, vil kravet om skriftlig samtykke være ivaretatt av annen lovgiving.

Med vennlig hilsen



Marianne Aasen
Leder

Petter Frost
Direktør

Saksbehandler: Caroline Bianchi Strømme, seniorrådgiver

Referanser:

1. Conroy, G., *How gene therapy is emerging from its "dark age"*. Nature, 2022. **612**: p. S24-S26.
2. Dunbar, C.E., et al., *Gene therapy comes of age*. Science, 2018. **359**(6372): p. eaan4672.
3. Kohn, D.B., Y.Y. Chen, and M.J. Spencer, *Successes and challenges in clinical gene therapy*. Gene Therapy, 2023. **30**(10): p. 738-746.
4. Ginn, S.L., et al., *Gene therapy clinical trials worldwide to 2023—an update*. The Journal of Gene Medicine, 2024. **26**(8): p. e3721.
5. Spuler, S., G.D. Borasio, and U. Grittner, *Lessons from a negative gene therapy trial for Duchenne muscular dystrophy*. Nature Medicine, 2024.
6. Kaiser, J., *Gene therapy dilemma: Treatment that halts brain disease can also cause cancer*. Science 2024.
7. Bioteknologirådet, *Bioteknologirådets uttalelse: Genredigering i mennesker 2023*.
8. Bioteknologirådet, *Målrettet genmodifisering av kjønnsceller og overtallige befruktede egg i forskning og genterapi 2015*.
9. Helsedirektoratet, *Evaluering av bioteknologiloven 2015*. 2015.
10. Bioteknologinemda, *Innspill til evalueringen av bioteknologiloven: Kapittel 6 – genterapi*. 2012.
11. Bioteknologirådet, *Genterapi - Evaluering av bioteknologiloven kapittel 6*. 2015.
12. EMA, *Genome Editing: EU-IN Horizon Scanning Report 2021*.