

Vår ref.:

Saksbeh.:

Dato:

31.07.20

Oppgis ved all henvendelse

Høringssvar fra Barne- og ungdomsklinikken, OUS vedr. Forslag til endringer i genteknologiloven - GMO legemidler

Vi viser til høringsbrev av 11.05.2020 med forslag til endringer i genteknologiloven. Vi er glade for at Klima- og miljødepartementet har iverksatt en prosess for å modernisere genteknologilovens bestemmelser om legemidler som inneholder genmodifiserte organismer (GMO-legemidler). Lovforslaget er svært viktig for medisinsk behandling av alvorlig syke pasienter i Norge, inkludert barn, og vi er glade for at det er sendt på høring.

Vi er overrasket over Klima- og miljødepartementets valg av høringsinstanser. Ingen pasientorganisasjoner, ingen regionale helseforetak eller sykehus og ingen universiteter er angitt som høringsinstanser. Høringen er derimot sendt til flere miljø- og landbruksorganisasjoner. Vi ble kjent med høringen ad omveier. Med høringsfrist 5. august er vi bekymret for om dette vil være en representativ høring for en så viktig sak. Forslagene til endringer i genteknologiloven påvirker pasientenes tilgang til behandling og sykehusenes gjennomføring av kliniske legemiddelutprøvinger, og vi burde vært tydelig hørt. Dette synliggjør også en nødvendig rolleavklaring mellom helse- og miljølinjene innen dette feltet.

Det pågår internasjonalt en rivende utvikling innen genetikk generelt og innen ulike former for genterapi spesielt. Dette er svært viktig for barn med kreft og for barn med mange ulike alvorlige, arvelige sykdommer.

150-200 barn får kreft hvert år i Norge. Overlevelsen har ligget stabilt på over 80 % i flere år. For å forbedre resultatene ytterligere, trengs nye former for behandling. Innføringen av CAR-T behandling (genmodifiserte T-lymfocytter), og nylig godkjenning av første CART behandling som legemiddel Kymriah har bedret mulighetene for helbredelse av barn med gjentatt tilbakefall av akutt leukemi (ALL). Tidligere stod disse barna uten et virksomt behandlingstilbud. Vi var med i utprøvingen av slik behandling i forkant av godkjenningen som eneste nordiske senter. Dette gav nordiske barn tilgang til en livreddende behandling de ellers ikke kunne fått, og vårt fagmiljø betydelig erfaring som både har vært viktig for å ta i bruk CART behandlingen når den senere ble godkjent, og for å kunne delta i videre utprøving av CAR-T (flere studier pågår med nye pasientgrupper) og annen avansert cellerterapi. Deltakelse i utprøving av CART og annen genterapi vil være svært sentralt fremover for at

norske barn skal få tilgang til den beste kreftbehandlingen.

Man kjenner rundt 7000 ulike sjeldne diagnoser hvorav ca 80 % regnes som genetisk betinget. Selv om andelen av disse diagnosene som kan behandles med målrettet genterapi fortsatt er lav, øker antallet stadig. Etter en lang periode i startgropa, tiltar nå antallet kliniske studier med genterapi raskt. Dette må norske pasienter kunne ta del i; fasen fra ny behandling prøves ut i studier frem til den er godkjent og tatt i bruk i Norge er ofte lang.

Det er en tydelig definert målsetting å øke antallet kliniske studier i Norge; nettopp for å sikre norske pasienter tilgang til ny behandling. OUS har etablert en klinisk forskningspost for barn, og vi er med i en rekke utprøvningsprosesser. For å kunne delta i slike utprøvningsprosesser, må vi være konkurransedyktige, gjennom høy kvalitet og forutsigbar implementering og gjennomføring. Selv om vi er et lite land, har Norge mange fortrinn bl. a. et oversiktlig og godt helsevesen med god oversikt over og god oppfølging av våre pasienter og vel etablerte kliniske forskningsposter.

En forutsigbar og rimelig rask formell prosess når muligheten for å delta i en ny utprøvende behandling melder seg, er imidlertid helt avgjørende. Uten dette vil vi ofte ikke bli valgt som et av stedene for utprøving. Norske pasienter vil da i mindre grad få tilgang til ny behandling, Norge vil få færre kliniske studier og norske fagmiljøer vil svekkes.

Når man nå vil endre genteknologilovens bestemmelser om GMO-legemidler, må man derfor gjøre det på en måte som legger til rette for en så rask, forutsigbar og målrettet saksgang som det er forsvarlig å få til for nye kliniske studier med GMO-legemidler, enten det er et nytt legemiddel eller utvidet indikasjon for et allerede tillatt omsatt legemiddel.

Vi er kjent med Kreftforeningens grundige høringssvar i denne saken og støtter alle deres 8 punkter. Vi vil poengtere viktigheten også utenfor kreft, nemlig til pasienter med sjeldne, arvelige sykdommer, og viktigheten av at Norge kan være en attraktiv partner i kliniske genterapiforsøk.

Oppsummert så støtter vi forslaget om å formalisere unntak fra genteknologilovens krav om utsettingstillatelse for GMO-legemidler som har markedsføringstillatelse. Vi støtter også forslaget om at kliniske studier med GMO-legemidler skal unntas genteknologilovens krav om vurdering av samfunnsnytte, bærekraft og etikk.

Vi mener det kreves ytterligere vesentlige endringer i regelverket for å ha et tilstrekkelig effektivt, hensiktsmessig og forutsigbart godkjenningssystem for kliniske studier med GMO-legemidler. Særlig trengs forenklinger og unntak fra krav om helse- og miljørisikovurdering etter utsettingsbestemmelsene i genteknologiloven.

Vi ønsker spesielt å fremheve

1. Legemiddelverket bør ha beslutningsmyndighet om klassifisering
2. Krav til godkjenning for kliniske studier bør differensieres for ulike typer GMO-legemidler:
 - a) Studier med GMO-celleterapi (f.eks. CART eller andre humane genmodifiserte T-celler o.l.) som oppfyller de samme kriteriene som tidligere er brukt for å gjøre unntak fra utsettingsbestemmelsene, bør generelt unntas krav om utsettingsgodkjenning

- b) Kliniske studier med andre GMO-legemidler med dokumentert neglisjerbar risiko bør også unntas krav om utsettingsgodkjenning
 - c) GMO-legemidler med markedsføringstillatelse som benyttes i kliniske studier bør også generelt unntas krav om utsettingsgodkjenning
 - d) Klassifisering av andre GMO-legemidler som det ikke enkelt kan avgjøres at ikke kommer i kontakt med eller overlever i miljøet, bør gjøres av helsemyndighetene fra sak til sak.
3. Unntak fra krav om offentlig høring: Alle kliniske studier med GMO-legemidler, uavhengig av om de klassifiseres som innesluttet bruk eller utsetting og om det kreves godkjenning eller melding, bør unntas krav om offentlig høring.

Det bør gjøres en helhetlig gjennomgang av regelverkene og godkjenningsprosessen som gjelder for legemidler, spesielt avanserte behandlinger, med sikte på ytterligere harmonisering og forenkling. For å fremstå som en tilforlatelig og attraktiv partner i kliniske studier, særlig i LMI-initierte medikamentutprøvnings, er det helt avgjørende at søknader om kliniske studier med GMO-legemidler (og kliniske studier generelt) vurderes innen rimelige og definerte tidsfrister og med koordinerte løp. I dette arbeidet bør pasientforeninger og fagmiljøene være aktive parter. Kreftpasienter og pasienter med arvelig, alvorlig sykdom fortjener et regelverk som sikrer at de får strømlinjeformet tilgang til nye, lovende behandlinger og persontilpasset medisin.

Avslutningsvis henviser vi til Klima- og miljødepartementets egne vurderinger i ny høring om Covid-19 legemidler datert 28. juli 2020.

«Videre er det en risiko for at Norge ikke vil bli valgt for gjennomføring av kliniske studier av covid-19 legemidler og vaksiner dersom kravene etter GMO-regelverket fortsatt er gjeldende for oss, men ikke i resten av EU. Da vil heller ikke norske borgere kunne delta i de kliniske studiene.»
«Tilgangen til nye og lovende legemidler og vaksiner mot covid-19 sikres i først rekke gjennom deltakelse i kliniske studier.»

«Videre vil nye legemidler og vaksiner i all hovedsak først plasseres på markedet i verdensdelene hvor de kliniske studiene er gjennomført. Derfor er det viktig for Europa å tiltrekke seg kliniske studier.»

Vi støtter disse vurderingene fullt ut og mener de også gjelder i normalsituasjonen for pasienter med kreft og alvorlig arvelig sykdom.

Med vennlig hilsen

Terje Rootwelt
Klinikkleder, professor, dr. med.
Barne- og ungdomsklinikken
Oslo universitetssykehus og Universitet i Oslo