

## **Behandling av SMA i dagsläget och framtidsplaner**

Spinala muskelatrofier (SMA) är en grupp ärftliga sjukdomar som kännetecknas av att motoriska nervceller i mellanhjärnan, förlängda märgen och ryggmärgen bryts ned.

SMA förekommer i olika svårighetsgrader, men oftast är symtomen likartade inom samma familj.

Det är en ovanlig sjukdom som varje år drabbar ett tiotal barn i Sverige.

Att ta hand om och behandla barn med SMA är i nuläget kostsamt och kräver stora resurser för både sjukvården och barnens familjer.

Förra året blev behandling med Zolgensma, som visat kliniskt betydelsefull effekt både innan symtom har uppträtt och när väl symtom dyker upp vid SMA typ 1, godkänd som första genterapin mot spinal muskelatrofi i EU.

Det är ett viktigt framsteg för patienterna och deras familjer och för forskningen som har haft en viktig roll i att arbetet har drivits framåt.

Sjukdomen ökar i många länder och regioner. Forskningen jobbar intensivt att försöka hitta medicin för de som drabbar av SMA.

### **Med anledning av detta vill jag fråga regionstyrelsens ordförande Mikaela Waltersson**

- Hur ser ut sjukdomens utbredning ut i Halland?
- Vilka typer av behandlingar finns att tillgå i Halland?
- Vilket förebyggande arbete planerar regionen för att förebygga sjukdomens förekomst?

Halmstad den 18 juni 2021

Huseyin Mirza Karagöz, ledamot i regionfullmäktige