

Yttrande

Datum
2017-12-13
Ert datum
2017-12-08

Vårt dnr
083/2017-4.1.1.
Ert dnr
5.1-2017-91622

Sidnr
1(2)

Läkemedelsverket
Att: Dariush Mokhtari
e-post: registrator@mpa.se

Ansökan om att få genomföra klinisk prövning med genetiskt modifierat adenoassocierat virus för behandling av hemofili B**Yttrande**

Nämnden har inga invändningar mot att den kliniska prövningen med FLT180a genomförs.

Bakgrund

University College London har ansökt om att få genomföra en klinisk prövning av genterapiprodukten FLT180a. Syftet är att utvärdera en behandling av svår hemofili B.

Hemofili B är en form av blödarsjuka och beror på en mutation i genen för koagulationsfaktor IX, ett protein som är nödvändigt för att blodet ska levra sig.

Svår och medelsvår hemofili B kännetecknas av smärtsamma blödningar i fram för allt leder och muskler. Blödningarna kan uppstå spontant eller efter en mindre skada. Om blödningarna inte förebyggs orsakar de så småningom bestående skador.

Vid flertalet fall av svår och medelsvår hemofili B får patienterna koagulationsfaktorfaktor IX via dropp två till tre gånger per vecka.

FLT80a består av ett modifierat så kallat adenoassocierat virus och den humana genen för koagulationsfaktor IX. Startsekvensen för genen är specifik för leverceller. Viruset fungerar som en bärare av genen för koagulationsfaktorn. Det modifierade viruset saknar de gener som är nödvändiga för att det ska kunna föröka sig och för att det ska kunna bilda ett hölje (kapsid) kring sitt DNA.

Överväganden

Det modifierade viruset som kommer att användas vid försöken saknar två gener, vilket gör att det inte kan föröka sig eller integreras i de infekterade cellernas arvs massa.

Vid liknande kliniska prövningar har försökspersonerna endera kunnat upphöra med den förebyggande behandlingen eller behövt dropp med koaguleringsfaktor IX med längre intervall mellan behandlingarna.

Etisk bedömning

Nämnden anser att risken för att det genmodifierade viruset ska sprida sig och påverka miljön är försumbar. Nämnden ser därför inga oacceptabla risker med för-

söken. FLT180a är tänkt som en mer bestående behandling där koagulationsfaktor IX kontinuerligt produceras under en längre period. Nämnden anser att det är viktigt att nya behandlingar som underlättar för patienter med hemofili B utvecklas.

Beslut i detta ärende har efter föredragning av kanslichefen Marie Nyman fattats av ledamöterna Birgitta Eilemar, Stefan Johansson, Marianne Pettersson, Josef Fransson, Emma Nohrén, Kristina Yngwe, Lars Tysklind, Lars-Axel Nordell, Stellan Welin, Jens Sundström, Rishikesh Bhalerao, Maria Björkman och Lars Ährlund-Richter samt tjänstgörande ersättarna Betty Malmberg, Jens Holm och Laura Parducci. Vid ärendets slutliga handläggning utan att delta i avgörandet deltog även ersättarna Kew Nordqvist och Gunnar Johanson samt tjänstemannen Birgit Postol.

Birgitta Eilemar

Marie Nyman