

Yttrande

Datum:
2020-12-09
Ert datum
2020-10-30

Vårt dnr
Dnr 036/2020 – 4.1.1
Ert dnr
5.1-2020-90900

Sidnr
1(2)

Läkemedelsverket
Enheten för Effekt och Säkerhet
Att: Dariush Mokhtari
e-post: registrator@mpa.se

Ansökan om att få genomföra en klinisk prövning med en genetiskt modifierad virusvektor för behandling av Hemofili A

Yttrande

Nämnden bedömer att risken för att den virusvektor som kommer att användas skulle påverka miljön negativt är försumbar och har därför inga invändningar mot att den kliniska prövningen genomförs.

Bakgrund

Företaget Pfizer har ansökt om att få genomföra en klinisk fas III prövning av genterapiprodukten *Giroctocogene fitelparvovec* (PF-07055480) för att utvärdera dess effekt vid behandling av medelsvår och svår Hemofili A. I en fas III-studie är syftet att utvärdera behandlingens effekt och säkerhet.

Hemofili A är en form av blödarsjuka som orsakas av en genförändring i den gen som kodar för koagulationsfaktor VIII, som är viktig för att hindra blodförlust vid skador. Hos en patient med hemofili A uppstår smärtsamma blödningar lätt i leder och muskler. Om blödningarna inte förebyggs orsakar de så småningom bestående förändringar i ledkapsel, ledbrosk och ben som med tiden kan ge funktionsnedsättningar och kronisk smärta. I Sverige, och på många andra håll i världen, behandlas patienter redan från tidig ålder med injektioner av koagulationsfaktorer flera gånger i veckan.

Genterapiprodukten från Pfizer består av ett genetiskt modifierat adenovirus, en så kallad virusvektor, som bär på den humana genen för koagulationsfaktor VIII. Syftet med genterapin i den aktuella kliniska prövningen är att patientens egna celler ska börja producera koagulationsfaktor VIII. Virusvektorn har även modifierats så att den inte kan replikera (sprida sig) och är inte sjukdomsalstrande.

Inom ramen för den kliniska studien planeras en patient i Sverige att motta genterapibehandlingen. Patienten behandlas vid Skåne universitetssjukhus, och parallellt testas produkten på ytterligare 62 patienter i USA, Belgien, Tyskland, Spanien, Frankrike, Italien och Grekland.

Yttrande

Datum:
2020-12-09

Vårt dnr
Dnr 036/2020 – 4.1.1

Sidnr
2(2)

Remissen avser miljöriskbedömning enligt direktiv 2001/18/EG om avsiktlig utsättning av genetisk modifierade organismer i miljön.

Övervägande

Vid flertalet fall av svår och medelsvår hemofili A injiceras koagulationsfaktor VIII i förebyggande syfte cirka två gånger per vecka från ett års ålder. PF-07055480 är tänkt som en mer bestående behandling där koagulationsfaktor VIII kontinuerligt produceras av kroppens egna celler. Den kliniska prövningen kommer att utföras i en kontrollerad klinisk miljö av säkerhetsutbildad personal. Virusvektorn kan inte sprida sig eller orsaka sjukdom hos människor eller andra organismer i miljön.

Etisk bedömning

Nämnden anser att det är viktigt att nya behandlingar som underlättar för patienter med hemofili A utvecklas och att risken för att virusvektorn ska sprida sig och påverka miljön negativt är försumbar. I ansökan beskrivs dessutom rutiner för att förhindra en eventuell spridning. Nämnden ser därför inga oacceptabla risker med försöken.

Beslut i detta ärende har efter föredragning av Mia Olsson fattats av ledamöterna Mari Andersson, Stefan Johansson, Malin Larsson, Johan Hultberg, Josef Fransson, Daniel Bäckström, Magnus Oscarsson, Stellan Welin, Ulrika Egertsdotter, Stefan Jansson, Martin Weih samt tjänstgörande ersättare Birger Lahti, Marianne Åhman, Emma Nohrén, Britt Berglund, Per Sandin. Vid ärendets slutliga handläggning utan att delta i avgörandet deltog även ersättarna Staffan Eklöf, Helena Vilhelmsson, Sven Ove Hansson, Christina Dixelius samt tjänstemännen Marie Nyman och Mia Olsson.

Mari Andersson

Marie Nyman