

Yttrande

Datum:
2021-03-22
Ert datum
2021-03-01

Vårt dnr
Dnr 4.1-2021-011
Ert dnr
5.1-2021-6272

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 genetiskt modifierade T-celler för behandling av diffust storcelligt B-cellslymfom

Yttrande

Nämnden bedömer att risken för att de genetiskt modifierade T-celler som kommer att användas som genterapi skulle påverka miljön negativt är försumbar och har därför inga invändningar mot att den kliniska prövningen genomförs.

Bakgrund

Det tyska företaget *Miltenyi Biomedicine GmbH* har ansökt om att få genomföra en klinisk prövning, fas 2, av genterapiprodukten MB-CART2019.1. I en fas 2-studie är syftet främst att utvärdera behandlingens effekt och säkerhet i en mindre grupp patienter.

Genterapin är utvecklad för behandling av diffust storcelligt B-cellslymfom som drabbar ungefär 500 svenskar årligen. Det är en aggressiv form av cancer som utgår från de celler i immunförsvaret som tillverkar antikroppar, B-cellerna. Behandlingen går ut på att patientens egna immunceller (T-celler) modifieras så att de bättre känner igen och dödar cancerceller. T-cellerna modifieras med hjälp av en virusvektor så att de på sin yta får ett protein som heter chimär antigenreceptor (CAR) som känner igen cancerceller. Den här typen av behandlingar kallas därför CAR-T-cellerterapi. Virusvektorn som används för att föra in CAR i T-cellerna är ett lentivirus som har modifierats så att det inte kan replikera (föroka sig) och inte orsaka sjukdom.

Den grupp av patienter som genterapin är utvecklad för är endera en återfallsbenägen eller en behandlingsresistent form av sjukdomen. Behandlingen kommer att testas på 84 patienter i nio olika länder i Europa.

Övervägande

Enligt direktiv 2001/18/EG om avsiktlig utsättning av genetiskt modifierade organismer i miljön är en organism varje biologisk enhet som kan föröka sig eller överföra genetiskt material. Isolerade T-celler kan inte överföra genetiskt material. De kan däremot föröka sig *in vivo* (inne i kroppen) eller i ett laboratorium om förhållandena (t.ex. näringsmedium, koldioxidhalt, luftfuktighet) är de rätta. Utan dessa särskilda förhållanden kan de modifierade T-cellerna inte överleva och sprids därför inte i miljön. Den kliniska prövningen kommer att utföras i en kontrollerad klinisk miljö av sjukvårds- och säkerhetsutbildad personal. Eftersom virusvektorn som används har modifierats så att den saknar förmåga att föröka sig kan inte heller den spridas 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 återfallsbenäget och behandlingsresistent diffust storcelligt B-cellslymfom utvecklas. Risken för att virusvektorn eller de modifierade T-cellerna som används ska sprida sig och påverka miljön negativt är försumbar. I ansökan beskrivs dessutom rutiner för att förhindra en eventuell spridning till miljön. Nämnden ser därför inga oacceptabla risker med försöken.

Beslut i detta ärende har fattats per capsulam av ledamöterna Mari Andersson, Stefan Johansson, Johan Hultberg, Maria Gardfjell, Stellan Welin, Ulrika Egertsdotter, Patrice Humblot, Martin Weih, Maria Björkman, Lars Ährlund-Richter, samt tjänstgörande ersättare Staffan Eklöf.

Mari Andersson

Marie Nyman