

## Yttrande från Gentekniknämnden

Datum: 2023-02-15

Dnr: 4.1.1-2023-008

### Mottagare

Läkemedelsverket, Enheten för effekt och säkerhet

Att: Dariush Mokhtari

Ert datum: 2023-01-29

Ert Dnr: 5.1-2023-7648

## Ansökan om att få genomföra en klinisk prövning av en CAR-T-cellterapi för behandling av B-cellslymfom

### Yttrande

Nämnden bedömer att risken för att den virusvektor som planeras att användas i den kliniska prövningen, eller de genetiskt modifierade cellerna, skulle påverka miljön negativt är försumbar. Nämnden har inga invändningar mot att den kliniska prövningen genomförs.

### Bakgrund

Institutionen för immunologi, genetik och patologi vid Uppsala universitet har ansökt om att få genomföra en klinisk fas 1/2a-prövning av genterapin CAR20(NAP)-T för behandling av återfallsbenäget och behandlingsresistent B-cellslymfom.

Cancer som uppstår i lymfsystemet kallas lymfom och är en av de vanligaste cancerformerna hos vuxna i Sverige. Omkring 2 500 personer insjuknar varje år. Vid B-cellslymfom är det B-celler, en typ av immunceller, som har omvandlats till cancerceller.

CAR20(NAP)-T är en CAR-T-cellterapi där immunsystemets T-celler modifieras genetiskt för att mer effektivt upptäcka och döda cancerceller. Vid själva modifieringen används en virusvektor för att transportera in en ny receptor, chimär antigen receptor (CAR), i patientens T-celler. Inom EU finns fem godkända CAR-T-cellsterapier som visats ge god behandlingseffekt för särskilt svårbehandlade och återfallsbenägna former av lymfom och leukemi. I behandlingen CAR20(NAP)-T modifieras patientens T-celler med en CAR som upptäcker proteinet CD20 som finns på B-celler (som omvandlats till cancerceller). T-cellerna har även modifierats att uttrycka ett bakterieprotein (NAP) när CAR känner igen en cancercell. Uttrycket av NAP aktiverar fler delar av immunsystemet som riktas mot cancerceller.

---

#### Postadress

c/o Vetenskapsrådet, Box 1035  
11 64 Stockholm

#### Webb/E-post:

[www.genteknik.se](http://www.genteknik.se)  
[genteknik@genteknik.se](mailto:genteknik@genteknik.se)

#### Telefonnummer:

08-546 44 081

### **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.

Den virusvektor som används för att föra in *CAR* och *NAP* i cellerna är ett retrovirus som modifierats så att det är självinaktiverande, och inte kan replikera (föröka sig) och orsaka sjukdom hos människor eller andra organismer i miljön. De genetiskt modifierade T-cellerna överlever endast *in vivo* (inuti kroppen) och inte i miljön vid eventuell spridning.

### **Etisk bedömning**

Gentekniknämnden anser att det är viktigt att nya behandlingar för patienter med B-cellslymfom utvecklas. Risken för att de genetiskt modifierade cellerna, eller virusvektorn ska sprida sig och påverka miljön negativt är försumbar. I ansökan beskrivs hur prövningen kommer att genomföras av sjukvårds- och säkerhetsutbildad personal i en kontrollerad klinisk miljö. Vidare beskrivs åtgärder för att säkerställa säker transport, förvaring och hantering av avfall. Gentekniknämnden, utifrån sitt uppdrag, ser därför inga oacceptabla risker med den kliniska prövningen.

Beslut i detta ärende har fattats av ledamöterna Céline Holmberg, Malin Larsson, Josef Fransson, Stina Larsson, Andrea Andersson Tay, Magnus Oscarsson, Katarina Luhr, Madeleine Hayenhjelm, Christina Dixelius, Gabriella Lindgren, Stefan Jansson, Martin Weih, Lars Åhrlund-Richter och tjänstgörande ersättare Marie-Louise Hänel Sandström och Jakob Olofsgård. Medverkade på mötet gjorde också ersättare Staffan Eklöf, Maria Eriksson, Sven-Ove Hansson, Jens Sundström och från kansliet Annelie Carlsbecker och Mia Olsson.

.....  
Céline Holmberg, vice ordförande

.....  
Mia Olsson, föredragande