

## Yttrande från Gentekniknämnden

Datum: 2023-10-25

Dnr: 4.1.1-2023-031

### Mottagare

Läkemedelsverket, Enheten för effekt och säkerhet

Att: Dariush Mokhtari

Ert datum: 2023-09-12

Ert Dnr: 5.1-2023-73860

## Ansökan om att få genomföra en klinisk prövning av en CAR-T-cellterapi för behandling av akut myeloid leukemi

### Yttrande

Gentekniknämnden 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 utifrån sitt uppdrag inga invändningar mot att den kliniska prövningen genomförs.

### Bakgrund

Företaget Advesya har ansökt om att få genomföra en klinisk fas 1/2a-prövning av genterapin CCTx-001 för behandling av återfallsbenäget och behandlingsresistent akut myeloid leukemi (AML). Prövningen planeras att genomföras parallellt i Sverige, Tyskland, Spanien och Frankrike.

AML är en form av blodcancer som uppstår i blodbildande stamceller i benmärgen. Sjukdomen har ett mycket snabbt och akut förlopp, en person med AML som inte behandlas brukar avlida inom bara några veckor eller månader. Den behandling som sätts in i dagsläget är en kombination av olika cellgifter som syftar till att få bort alla cancerceller. Behandlingen är påfrestande och ges vanligtvis inte till äldre personer. Omkring 350 personer diagnosticeras årligen med AML i Sverige.

CCTx-001 är en CAR-T-cellterapi där immunsystemets T-celler modifieras genetiskt för att mer effektivt upptäcka och döda cancerceller. Patientens egna T-celler isoleras och modifieras med hjälp av en virusvektor innan de återförs som behandling. Själva modifieringen består av en gen som kodar för en ny receptor, chimär antigen receptor (CAR). Den CAR som används i CCTx-001 uttrycks på T-cellernas yta och har proteinet IL-1RAP som måltavla. IL-1RAP finns på flera olika typer av cancerceller.

T-cellerna har även modifierats med en gen (rapaCasp9) så att de har en rapamycin-inducerad säkerhetsfunktion om de behöver elimineras.

---

#### Postadress

Gentekniknämnden c/o Vetenskapsrådet  
Box 1035, 101 38 Stockholm

#### Hemsida och e-post

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

#### Telefonnummer

08-271254

### **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.

De genetiskt modifierade T-cellerna överlever endast *in vivo* (inuti kroppen) eller med tillgång till rätt temperatur, koldioxidhalt och i korrekt sammansatt näringslösning. Cellerna överlever inte i miljön vid eventuell spridning. Den virusvektor som används för att föra in CAR är ett lentivirus som modifierats så att det är självinaktiverande, och kan inte replikera (föröka sig) och orsaka sjukdom hos människor eller andra organismer i miljön.

### **Etisk bedömning**

Gentekniknämnden anser att det är viktigt att nya behandlingar för patienter med AML 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 ser därför inga oacceptabla risker med den kliniska prövningen.

.....  
Stefan Reimer, ordförande

.....  
Mia Olsson, föredragande