

Handläggare  
Mia Olsson

Mottagare  
Dariush Mokhtari  
Enheten för Effekt och Säkerhet  
Läkemedelsverket  
e-post: [registrator@mpa.se](mailto:registrator@mpa.se)

## **Ansökan om att få utföra en klinisk fas 3 prövning av en CAR-T-cellterapi för behandling av multipelt myelom**

### Yttrande

Gentekniknämnden bedömer att risken för att den virusvektor som planeras användas i den kliniska prövningen, eller de genetiskt modifierade cellerna, skulle påverka miljön negativt är försumbar och har, utifrån sitt uppdrag, inga invändningar mot att den kliniska prövningen utförs.

### Bakgrund

Multipelt myelom är en obotlig cancerform som utgår från B-celler i benmärgen. Sjukdomen kännetecknas av ett återkommande mönster av bättre och sämre perioder, remissioner och återfall. Varje år diagnosticeras ungefär 800 personer i Sverige.

Företaget *Celgene Corporation* (med *Bristol-Myers Squibb AB* som lokal representant) ansöker om att få pröva en CAR-T-cellterapi i en fas 3 studie som planeras pågå parallellt i flera EU-länder. Ungefär fyra patienter planeras rekryteras till prövningen i Sverige.

Behandlingsstrategin är att modifiera patientens egna T-celler med en chimär antigen receptor (CAR) som känner igen myelomceller. T-cellerna modifieras med hjälp av en lentivirusvektor som är självinaktiverande och saknar förmåga att replikera (dela sig och spridas).

Inom EU finns idag sex godkända CAR-T-cellterapi som visats ge god behandlingseffekt för särskilt svårbehandlade och återfallsbenägna cancerformer.

### Överväganden

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 i studien är ett lentivirus som modifierats så att det saknar förmåga att replikera (dela sig) och är självinaktiverande.

De genetiskt modifierade cellerna överlever endast *in vivo* eller under särskilda betingelser i laboratoriemiljö, och inte i miljön vid eventuell spridning.

### Etisk bedömning

Gentekniknämnden anser att det är viktigt att nya behandlingar utvecklas för patienter med multipelt myelom. I ansökan beskrivs hur prövningen kommer att genomföras av sjukvårds- och säkerhetsutbildad personal i en kontrollerad klinisk miljö. Vidare beskrivs rutiner för att säkerställa en säker transport och hantering av avfall. Nämnden bedömer att risken för att de genetiskt modifierade cellerna eller virusvektorn sprids och påverkar miljön negativt är försumbar.

Beslut om yttrandet fattades vid Gentekniknämndens sammanträde 2024-12-04, se protokoll från sammanträdet.

Stefan Reimer, ordförande

Mia Olsson, föredragande i ärendet.