

**Yttrande**

Datum  
2018-01-24  
Ert datum  
2018-01-11

Vårt dnr  
002/2018-4.1.1.  
Ert dnr  
5.1-2017-10088

Sidnr  
1(2)

Läkemedelsverket  
Enheten för Farmaci och Bioteknik  
Att: Dariush Mokhtari  
e-post: [registrator@mpa.se](mailto:registrator@mpa.se)

## **Ansökan om att få genomföra klinisk prövning med genetiskt modifierade T-celler**

### **Yttrande**

Remissen avser miljöriskbedömning enligt direktiv 2001/18/EG om avsiktlig utsättning av genetiskt modifierade organismer i miljön. Nämnden anser att risken för att de genetiskt modifierade T-cellerna skulle påverka miljön negativt är försumbar och har i det sammanhanget inga invändningar mot att den kliniska prövningen genomförs.

### **Bakgrund**

Karolinska institutet har ansökt om att få genomföra klinisk prövning med genetiskt modifierade T-celler. I den kliniska prövningen kommer en form av immunterapi för behandling av cancer att användas. Patienternas egna T-celler modifieras genetiskt. Därefter förökas cellerna upp och förs tillbaka in i patienterna. T-cellerna modifieras med en så kallad CAR-receptor som gör att de känner igen ett specifikt antigen (CD19) på tumörcellerna. Vid överföringen används ett modifierat virus, en så kallad virusvektor.

Patienter med svårbehandlad eller kemoterapiresistent akut lymfoblastisk leukemi kommer att behandlas vid Astrid Lindgrens barnsjukhus.

### **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. Isolerade T-celler kan inte överföra genetiskt material. De kan däremot föröka sig om förhållandena är de rätta.

För att T-cellerna ska kunna föröka sig utanför kroppen krävs särskilda förhållanden vad gäller till exempel odlingsmedel, temperatur och koldioxidhalt.

Tillsammans med CAR-receptorn integreras virusvektorn i T-cellernas arvs massa i form av ett så kallat provirus. Proviruset saknar gener som är nödvändiga för att det ska kunna infektera eller föröka sig.

De modifierade T-cellerna kan inte sprida sig på annat sätt än via injektion.

Under 2017 marknads godkändes två liknande immunterapibehandlingar i USA. Liksom de modifierade T-celler i den aktuella ansökan baseras de godkända terapierna på CAR-receptorer som känner igen antigenet CD19.

### **Etisk bedömning**

Den kliniska prövningen är godtagbar från etisk synpunkt.

Beslut i detta ärende har efter föredragning av kanslichefen Marie Nyman fattats av ledamöterna Birgitta Eilemar, Stefan Johansson, Marianne Pettersson, Johan Hultberg, Josef Fransson, Emma Nohrén, Kristina Yngwe, Jens Holm, Lars-Axel Nordell, Stellan Welin, Lotta Rydhmer, Jens Sundström och Tina D'Hertefeldt samt tjänstgörande ersättaren Christian Munthe. Vid ärendets slutliga handläggning utan att delta i avgörandet deltog även ersättarna Paula Bieler, Kew Nordqvist, Daniel Bäckström, Sven Ove Hansson, Mariette Andersson och Laura Parducci.

Birgitta Eilemar

Marie Nyman