

Yttrande

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

Vårt dnr
003/2018-4.1.1
Ert dnr
5.1-2017-97435

Sidnr
1(2)

Läkemedelsverket
Enheten för Farmaci och Bioteknik
Att: Dariush Mokhtari
e-post: registrator@mpa.se

Ansökan om att få genomföra kliniska försök med genetiskt modifierade virus

Yttrande

Remissen avser miljörisksbedömning enligt direktiv 2001/18/EG om avsiktlig utsättning av genetiskt modifierade organismer i miljön. Nämnden anser att risken för att den virusvektor som används vid försöken skulle påverka miljön negativt är försumbar och har i det sammanhanget inga invändningar mot att den kliniska prövningen genomförs.

Bakgrund

Företaget Novartis har ansökt om att få genomföra en klinisk prövning för behandling av ögonsjukdomen retinitis pigmentosa.

Retinitis pigmentosa, är ett samlingsnamn för ett hundratal ärftliga sjukdomar som drabbar ögats näthinna. Näthinnan innehåller celler som är känsliga för ljus. Dessa sinnesceller kallas tappar och stavar och bryts ner av sjukdomen. Den genetiska orsaken till sjukdomen kan variera. Det finns över 60 gener där en mutation kan leda till retinitis pigmentosa.

De patienter som är tänkta att behandlas vid den kliniska prövningen bär på en mutation i båda kopiorna av en gen som kallas RLBP1.

Behandlingen består av att den korrekta humana genen injiceras under näthinnan på patienterna. Som bärare av genen används en så kallad virusvektor. Genens startsekvens gör att den bara uttrycks (producerar protein) i de celler i näthinnan som normalt producerar RLBP1-proteinet.

Den kliniska prövningen kommer att utföras vid St. Eriks ögonsjukhus i Stockholm.

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. Även om virus inte är en organism i biologisk mening har lagstiftningen tolkats så att den typ av virusvektorer som är tänkt att användas vid den kliniska prövningen omfattas av lagstiftningen.

Virus i allmänhet saknar egen ämnesomsättning och måste därför infektera en levande cell för att kunna föröka sig. Det virus som används som bärare av den korrekta RLBP1-genen är modifierat så att det saknar de gener som krävs för förökning i levande celler.

Vid en eventuell spridning av virusvektorn utanför patienten kommer den med största sannolikhet att brytas ner.

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 ersättarna Bengt Eliasson och 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