

Yttrande

Datum
2018-03-21
Ert datum
2018-03-14

Vårt dnr
038/2018-4.1.1.
Ert dnr
5.1-2018-19937

Sidnr
1(2)

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

Klinisk prövning för behandling av spinal muskelatrofi**Yttrande**

Nämnden anser att den kliniska prövning som ansökan gäller inte kommer att påverka miljön negativt och att det är viktigt att kliniska prövningar för svåra sjukdomar som spinala muskelatrofier genomförs.

Bakgrund

Företaget AveXis Inc. har ansökt om att få genomföra klinisk prövning, fas 3, för behandling av spinal muskelatrofi.

Spinala muskelatrofier är en grupp ärftliga sjukdomar som leder till muskelförvining och muskelsvaghet (atrofi). Sjukdomen förekommer i olika svårighetsgrader. SMA I är den svåraste formen och ger symptom inom de första sex månaderna. SMA II är en medelsvår form och ger symptom vid 6 till 18 månaders ålder.

Genterapibehandlingen består av ett så kallat adenoassocierat virus som fungerar som bärare (vektor) av den korrekta versionen av den genen som är muterad hos patienter med spinal muskelatrofi. Vektorn saknar förmåga att replikera (kopiera sig).

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.

Etisk bedömning

Spinala muskelatrofier är allvarliga ärftliga sjukdomar och tidigare kliniska prövningar av den genterapibehandling som ansökan gäller har visat på mycket positiva resultat.

Riskerna för att försöken ska påverka miljön negativt är försumbara och nämnden har därför inte några invändningar mot den kliniska prövningen genomförs.

Beslut i detta ärende har efter föredragning av kanslichefen Marie Nyman fattats av ledamöterna Birgitta Eilemar, Marianne Pettersson, Josef Fransson, Emma Nohrén, Kristina Yngwe, Lars Tysklind, Lars-Axel Nordell, Lotta Rydhmer, Jens

Sundström, Rishi Bhalerao, Tina D'Hertefeldt och Lars Ährlund-Richter samt tjänstgörande ersättarna Betty Malmberg, Birger Lahti och Sven Ove Hansson. Vid ärendets slutliga handläggning utan att delta i avgörandet deltog även ersättarna Paula Bieler, Kew Nordqvist, Åsa Strand och Laura Parducci samt kanslisekretären Birgit Postol.

Birgitta Eilemar

Marie Nyman