

**Yttrande**

Datum  
2018-06-13  
Ert datum  
2018-05-21

Vårt dnr  
062/2018-4.1.1.  
Ert dnr  
5.1-2018-38816

Sidnr  
1(2)

Läkemedelsverket  
Att: Dariush Mokhtari  
e-post:  
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 eller virusvektorn skulle påverka miljön negativt är försumbar och har i det sammanhanget inga invändningar mot att den kliniska prövningen genomförs.

### **Bakgrund**

Företaget Kite Pharma Inc har ansökt om att få genomföra en klinisk prövning för behandling av vuxna patienter med cancerformen storcelligt B-cellslymfom. Patienternas egna T-celler tas ut ur kroppen och 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 tumörcellernas yta. Vid överföringen används ett modifierat retrovirus, en så kallad virusvektor.

Syftet med studien är att jämföra effekten av behandling med immunterapi jämfört med gängse behandling.

### **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.

Den aktuella behandlingen marknads godkändes i USA 2017 och en ansökan om marknads godkännande är under behandling inom EU.

### **Etisk bedömning**

Nämnden anser att risken för att de genetiskt modifierade T-cellerna skulle påverka miljön är etisk acceptabel.

Beslut i detta ärende har efter föredragning av kanslichefen Marie Nyman fattats av ledamöterna Birgitta Eilemar, Marianne Pettersson, Emma Nohrén, Kristina Yngwe, Jens Holm, Lars Tysklind, Stellan Welin, Jens Sundström, Tina D'Hertefeldt och Lars Ährlund-Richter samt tjänstgörande ersättarna Betty Malmberg och Paula Bieler. Vid ärendets slutliga handläggning utan att delta i avgörandet deltog även ersättarna Kew Nordqvist och Birger Lahti samt kanslisekreteraren Birgit Postol.

Birgitta Eilemar

Marie Nyman