

Yttrande

Datum
2019-02-13
Ert datum
2019-02-01

Vårt dnr
012/2019-4.1.1.
Ert dnr
5.1-2018-001023-38

Sidnr
1(2)

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

Ansökan om klinisk prövning för behandling av multipelt myelom

Yttrande

Nämnden anser att risken för att de genetiskt modifierade T-cellerna eller virusvektorn skulle påverka miljön är försumbar och har i det sammanhanget inga invändningar mot att den kliniska prövningen genomförs.

Bakgrund

Företaget Celegene Corporation i samarbete med Bluebird bio Inc. har ansökt om att få genomföra en klinisk prövning för behandling av multipelt myelom.

Multipelt myelom är en kronisk och elakartad form av bencmörghscancer. I Sverige drabbas cirka 600 personer årligen av sjukdomen.

Behandlingen bygger på att patientens egna T-celler (en del av immunförsvaret) modifieras genetiskt. T-cellerna tas ut ur patienten, modifieras, förökas upp och förs därefter tillbaka in i patienten.

T-cellerna modifieras med en så kallad CAR-receptor. Det gör att T-cellerna känner igen ett specifikt protein på tumörcellernas yta och kan hitta och bekämpa dem. Vid överföringen används ett modifierat virus, en så kallad virusvektor.

De patienter som kommer att ingå i studien har fått återfall och svarar inte på annan 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 odlingsmedium, temperatur och koldioxidhalt.

Den virusvektor som tillsammans med CAR-receptorn integreras i T-cellernas arvs massa saknar gener som är nödvändiga för att viruset ska kunna infektera eller föröka sig.

Under 2018 marknads godkändes två immunterapier för behandling av cancer. De bygger båda på genetiskt modifierade T-celler.

Etisk bedömning

Multipelt myelom är en kronisk cancerform som är mycket svårbehandlad och risken för att de genetiskt modifierade T-cellerna eller virusvektorn skulle påverka miljön negativt är försumbar. Nämnden anser därför att den kliniska prövningen är etiskt acceptabel.

Beslut i detta ärende har efter föredragning av kanslichefen Marie Nyman fattats av ledamöterna Birgitta Eilemar, Stefan Johansson, Malin Larsson, Josef Fransson, Daniel Bäckström, Ilona Szatmári Waldau, Magnus Oscarsson, Bengt Eliasson, Stellan Welin, Ulrika Egertsdotter, Patrice Humblot, Stefan Jansson, Martin Weih och Lars Ährlund-Richter samt tjänstgörande ersättarna Betty Malmberg, Emma Nohrén och Per Sandin. Vid ärendets slutliga handläggning utan att delta i avgörandet deltog även ersättarna Staffan Eklöf och Sven Ove Hansson samt kanslisekreteraren Birgit Postol och handläggaren Mia Olsson.

Birgitta Eilemar

Marie Nyman