

Yttrande

Datum
2019-10-02
Ert datum
2019-09-13

Vårt dnr
093/2019-4.1.1. 1(2)
Ert dnr
2018-003086-33

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

Ansökan om att få genomföra en klinisk prövning med en genetiskt modifierad virusvektor för behandling av hemofili B

Yttrande

Nämnden bedömer att risken för att den virusvektor som kommer att användas skulle påverka miljön negativt är försumbar och har därför inga invändningar mot att den kliniska prövningen genomförs.

Bakgrund

Företaget Pfizer har ansökt om att få genomföra en klinisk prövning av genterapiprodukten PF-06838435 för behandling av medelsvår till svår hemofili B. Den kliniska prövningen är en fas III-studie där syftet är att utvärdera behandlingens effekt och säkerhet.

Hemofili B beror på en mutation i genen för koagulationsfaktor IX, ett protein som är nödvändigt för att blodet ska levra sig.

PF-06838435 består av ett modifierat adenoassocierat virus, en så kallad virusvektor. Virusvektorn bär på den humana genen för koagulationsfaktor IX och saknar de gener som gör att viruset i sin naturliga form kan föröka sig. Genen för koagulationsfaktorn styrs av en startsekvens som gör att den bara uttrycks i levern.

Totalt kommer cirka 50 försökspersoner att ingå i studien, varav 1–2 personer kommer att behandlas vid Skånes universitetssjukhus.

Remissen avser miljöriskbedömning enligt direktiv 2001/18/EG om avsiktlig utsättning av genetiskt modifierade organismer i miljön.

Övervägande

Svår och medelsvår hemofili B kännetecknas av smärtsamma blödningar i framför allt leder och muskler. Blödningarna kan uppstå spontant eller efter en mindre skada. Om blödningarna inte förebyggs orsakar de så småningom bestående skador på ledkapsel, ledbrosk och ben. Det kan i sin tur leda till minskad rörlighet, stelhet och kronisk smärta. Vid flertalet fall av svår och medelsvår hemofili B injiceras koagulationsfaktor IX i förebyggande syfte cirka två gånger per vecka från ett års ålder. PF-06838435 är tänkt som en mer bestående behandling där koagulationsfaktor IX kontinuerligt produceras under en längre period.

Företaget har rapporterat positiva resultat från den kliniska prövningen, fas I/II.

Den kliniska prövningen kommer att utföras i kontrolleras klinisk miljö och virusvektorn kan inte föröka sig.

Etisk bedömning

Nämnden anser att det är viktigt att nya behandlingar som underlättar för patienter med hemofili B utvecklas och att risken för att virusvektorn ska sprida sig och påverka miljön negativt är försumbar. I ansökan beskrivs dessutom rutiner för att förhindra en eventuell spridning. Nämnden ser därför inga oacceptabla risker med försöken.

Beslut i detta ärende har efter föredragning av kanslichef Marie Nyman fattats av ledamöterna Mari Andersson, Stefan Johansson, Josef Fransson, Daniel Bäckström, Ilona Szatmári Waldau, Magnus Oscarsson, Bengt Eliasson, Stellan Welin, Ulrika Egertsdotter, Patrice Humblot, Martin Weih, Lars Åhrlund-Richter, samt tjänstgörande ersättare Isak From och Per Sandin. Vid ärendets slutgiltiga handläggning, deltog även ersättaren Helena Vilhelmsson samt tjänstemännen Marie Nyman och Birgit Postol.

Mari Andersson

Marie Nyman