

**Yttrande**

Datum  
2020-06-10  
Ert datum  
2020-06-09

Vårt dnr  
022/2020-4.1.1.  
Ert dnr  
5.1-2020-49773

Sidnr  
1(2)

Dariush Mokhtari  
Enheten för Effekt och Säkerhet  
Läkemedelsverket

## **Ansökan om att få genomföra en 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 Janssen Cilag International NV har ansökt om att få genomföra en klinisk prövning för behandling av multipelt myelom, en kronisk cancerform som uppstår i benmärgen.

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 modifieringen av patientens T-celler används en så kallad virusvektor.

I Sverige kommer den kliniska prövningen att utföras vid Karolinska universitetssjukhus i Huddinge.

### **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 arvsmassa saknar gener som är nödvändiga för att viruset ska kunna infektera eller föröka sig.

### **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 fattats av ledamöterna Mari Andersson, Josef Fransson, Daniel Bäckström, Bengt Eliasson, Martin Weih, Malin Larsson, Magnus Oscarsson, Lars Åhrlund-Richter, Ulrika Egertsdotter, Stefan Jansson, Johan Hultberg, Stellan Welin, Maria Björkman, Ilona Szatmari Waldau och tjänstgörande ersättare Emma Nohrén och Britt Berglund. Med vid sammanträdet var även icke tjänstgörande ersättare Staffan Eklöf, Christina Dixelius, Per Sandin och Birger Lahti, samt från kansliet Marie Nyman och Mia Olsson.

Mari Andersson

Marie Nyman