

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

Ansökan om klinisk prövning för immunoterapibehandling av b-cellslymfom

Yttrande

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

Bakgrund

Företaget *Celgene Corporation* har ansökt om att få genomföra en klinisk prövning för behandling av en form av b-cellslymfom. De patienter som är tänka att delta i studien svarar inte på gängse behandling eller har fått återfall.

De flesta lymfom utgår från B-celler som omvandlats till cancerceller. B-celler är en typ av immunceller som på sin yta har proteinet CD19. Behandlingen (JCAR017) är en så kallad CAR-T-cellbehandling, där patientens egna T-celler (en annan typ av immunceller) genmodifieras att uttrycka en receptor som upptäcker CD19. På så sätt blir T-cellerna specialiserade på att hitta och döda cancercellerna.

Inför behandlingen isoleras T-celler ur ett blodprov från patienten. Genen som kodar för den receptor som upptäcker CD19 förs in i T-cellernas arvs massa med hjälp av en så kallad virusvektor. Efter att de genmodifierade T-cellerna förökats upp på laboratoriet återförs de till patienten.

Företaget planerar att utföra kliniska prövningar av JCAR017 i tio länder. Inom EU har hittills två CAR-T-cellbehandlingar godkänts, en för behandling av leukemi och en för en form av b-cellslymfom. Båda har liksom JCAR017, CD19-proteinet på B-cellerna som måltavla.

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.

De genmodifierade T-cellerna överlever bara i kroppen eller i en kontrollerad laboratoriemiljö och kan därför inte spridas till andra organismer eller miljön. Virusvektorn som fört in det nya genetiska materialet till T-cellerna har modifierats så att den inte kan föröka sig (replikera) och är själv-inaktiverande. Virusvektorn testas innan den används så att den inte har ändrat egenskaper under tillverkningen.

Yttrande

Datum
2020-03-25
Ert datum
2020-03-11

Vårt dnr
015/2020-4.1.1.
Ert dnr
5.1-2020-17171

Sidnr
2(2)

Den kliniska prövningen kommer att utföras i kontrollerad klinisk miljö av utbildad sjukvårdspersonal. I ansökan beskrivs åtgärder för en säker transport, förvaring och hantering av avfall. JCAR017 förväntas ge effekter när det injiceras i blodet och inte vid eventuellt spill på hud eller i ögon vid hantering. Skulle JCAR017 oavsiktligt nå blodomloppet hos annan person än patienten förväntas den personens immunförsvar döda de främmande cellerna.

Etisk bedömning

Nämnden anser att det är viktigt att främja utvecklingen av nya behandlingar som förbättrar prognosen för denna patientgrupp och anser att risken för att T-cellerna eller virusvektorn ska sprida sig och påverka miljön negativ är försumbar. I ansökan beskrivs dessutom rutiner för att förhindra eventuell spridning.

Beslut i detta ärende har fattats av ledamöterna Mari Andersson, Stefan Johansson, Josef Fransson, Daniel Bäckström, Martin Weih, Malin Larsson, Magnus Oscarsson, Lars Ährlund-Richter, Ulrika Egertsdotter, Britt Berglund, Stefan Jansson, Johan Hultberg, Stellan Welin, Maria Björkman och tjänstgörande ersättare Birger Lahti, Emma Nohrén och Tina Acketoft.

Mari Andersson

Marie Nyman