



Helsedirektoratet
v/ Anne Forus
Postboks 220 Skøyen, 0213 Oslo

Vår ref.: 2019/51

Deres ref.: 19/10051

Dato: 09.04.2019

Klinisk utprøving av CTL019 (Kymriah) genterapi for barn og unge med B-ALL og minimal restsykdom

Helsedirektoratet har mottatt søknad om godkjenning av en fase II klinisk studie av genterapien CTL019 (Kymriah) etter bioteknologiloven § 6-3 fra Parexel International. Utprøvingen gjelder behandling av barn og unge med B-celle akutt lymfoblastisk leukemi (B-ALL) som har minimal restsykdom (MRD) etter konsoliderende behandling. De aktuelle barna er symptomfrie ved inklusjonstidspunktet etter standard behandling, men har fortsatt detekterbare rester av kreftceller i blodet. Denne pasientgruppen behandles videre og har betydelig risiko for tilbakefall. De som får tilbakefall har dårlig prognose.

Kymriah har allerede markedsføringstillatelse og godkjenning for behandling av refraktær eller tilbakevendende B-ALL hos barn og unge. Behandlingen benytter genmodifiserte immunceller fra pasienten til å eliminere kreftceller. Behandlingen har vist god effekt for denne pasientgruppen som ikke har blitt friske av annen behandling. Imidlertid medfører den vesentlig risiko for alvorlige bivirkninger, blant annet såkalt cytokinfrigjøringsyndrom (Cytokine Release Syndrome - CRS), en systemisk betennelsesreaksjon som kan medføre alt fra milde til alvorlige reaksjoner som i verste fall kan være livstruende.

Brev ble oversendt Bioteknologirådet den 27.03.2019, i tråd med Bioteknologilovens § 6-3 tredje ledd. Bioteknologirådet mener at vilkårene for godkjenning etter Bioteknologiloven er oppfylt, men har en merknad. Sykdommen som skal forebygges/behandles er i seg selv alvorlig, og oppfyller således alvorlighetskriteriet. Imidlertid er barna som inkluderes i studien symptomfrie på behandlingstidspunktet, og ikke alle vil få tilbakefall (tilbakefallsraten korrelerer med MRD-nivå). Dette bør tas med i vurderingen av alvorlighet, og potensiell nytte for pasientene må veies nøye opp mot den relativt høye risikoen for alvorlige bivirkninger.

Med vennlig hilsen

Kristin Halvorsen
leder

Ole Johan Borge
direktør

Saksbehandler: Seniorrådgiver Sigrid Bratlie