



Helsedirektoratet
PB 220 Skøyen
0213 Oslo

Vår ref.: 2019/98

Deres ref.: 19/13511-3

Dato: 12.09.2019

Godkjenning av genterapi - Zynteglo

Bestillerforum RHF har besluttet at det skal gjøres en hurtig metodevurdering av genterapien Zynteglo til behandling av den arvelige blodsykdommen beta-talassemi. I den forbindelse har Sekretariatet for Nye metoder bedt Helsedirektoratet om å vurdere behandlingen etter bioteknologiloven.

Pasienter med beta-talassemi har en genfeil som gjør at det ikke lages nok betaglobin, et protein i røde blodceller som frakter oksygen rundt i kroppen. Disse pasientene har derfor lavt hemoglobinnivå og behov for hyppige blodoverføringer. Ved behandling med Zynteglo høstes blodstamceller fra pasienten. Deretter overføres en funksjonell kopi av betaglobin-genet ved hjelp av et lentivirus, før blodstamcellene gis tilbake til pasienten. Zynteglo er en engangsbehandling. Zynteglo brukes til behandling av pasienter over 12 år som ikke fullstendig mangler betaglobin og som er egnet for stamcelletransplantasjon, men hvor det ikke finnes en matchende donor for beinmargstransplantasjon.

Kliniske studier har vist god effekt av Zynteglo. Elleve av 14 pasienter i den aktuelle gruppen fikk tilstrekkelig økning i nivået av funksjonelle røde blodceller så de ikke trengte blodoverføring i minst ett år etter behandling. Effekten antas å være livslang, men grunnet små pasientgrupper og mangel på langtidsdata er dette ikke dokumentert. Som med alle genterapier som benytter denne typen virus er det en teoretisk risiko for kreftutvikling fordi integrering av det tilførte genet kan gi utilsiktede genetiske endringer. Det er imidlertid ikke dokumentert noen tilfeller så langt, og sikkerhetsprofilen ved genterapier i forhold til kreftrisiko er med dagens teknologi generelt god.

Zynteglo har nylig fått markedsføringstillatelse i EU, med betingelse om at det fortsatt skal samles inn data om effekt og sikkerhet. Europeiske legemiddelmyndigheter gjør en årlig evaluering.

Brev fra Helsedirektoratet ble oversendt Bioteknologirådet den 08.07.2019, i tråd med bioteknologilovens § 6-3.

Bioteknologirådet anser at genterapien Zynteglo oppfyller bioteknologilovens kriterier for godkjenning, og har ingen ytterligere merknader.

Med vennlig hilsen

A handwritten signature in blue ink that reads "Sign".

Ole Frithjof Norheim

leder

A handwritten signature in black ink that reads "Ole Johan Borge".

Ole Johan Borge

direktør

Saksbehandler: Seniorrådgiver Sigrid Bratlie