

Kader van onderzoek en ontwikkeling voor een voorgestelde doelbewuste introductie van een genetisch gemodificeerd organisme

Janssen-Cilag International NV heeft overeenkomstig de Richtlijn 2001/18/EG inzake doelbewuste introductie kennisgeving gedaan aan het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG) in België van een voorstel om het genetisch gemodificeerde organisme (GGO), AAVCAGsCD59, vrij te geven voor de uitvoering van de klinische studie:

- **81201887MDG2001:** Een gerandomiseerde, dubbel gemaskeerde, multicentrische, dosisbepalende, placebogecontroleerde klinische fase 2b-studie ter evaluatie van intravitreale JNJ-81201887 (AAVCAGsCD59) in vergelijking met een schijnprocedure voor de behandeling van geografische atrofie (GA) secundair aan leeftijdsgebonden maculadegeneratie (LMD)

Beschrijving van het genetisch gemodificeerd organisme

De onderzochte gentherapie, AAVCAGsCD59, is een recombinant adeno-geassocieerd virus serotype 2 (rAAV2) met een transgen dat codeert voor oplosbaar CD59 (sCD59).

AAVCAGsCD59 wordt momenteel ontwikkeld voor deelnemers van 60 jaar of ouder met geografische atrofie (GA) secundair aan leeftijdsgebonden maculadegeneratie (LMD).

Het doel van de voorgestelde doelbewuste introductie

Het doel van de klinische studie 81201887MDG2001 is AAVCAGsCD59 te onderzoeken voor de behandeling van geografische atrofie secundair aan leeftijdsgebonden maculadegeneratie. Voor deze studie zullen 300 deelnemers worden geïncludeerd, waarvan naar verwachting 10 in België. AAVCAGsCD59 zal aan de patiënten worden toegediend via een intravitreale injectie. Het algemene doel is na te gaan of AAVCAGsCD59 veilig en nuttig is voor de behandeling van patiënten met geografische atrofie secundair aan leeftijdsgebonden maculadegeneratie.

De beoordeling van het potentiële risico voor de menselijke gezondheid en het milieu in verband met de doelbewuste introductie

Toediening van AAVCAGsCD59 zal alleen plaatsvinden binnen vastgelegde klinische centra door opgeleide medische zorgverleners. De klinische vector AAVCAGsCD59 kan zelfs in aanwezigheid van een replicatiecompetent (helper)virus niet zelfstandig repliceren. Virusuitscheiding van patiënten die AAVCAGsCD59 ontvangen als onderdeel van de klinische studie zal worden gecontroleerd zoals beschreven in het protocol. Zelfs indien vrijgave zou plaatsvinden, zal het GGO zich niet in het milieu kunnen verspreiden. In geval van toevallige blootstelling en overdracht van de vector aan een onbedoelde menselijke of niet-menselijke ontvanger worden de risico's verwaarloosbaar geacht, aangezien de vector zich niet kan vermenigvuldigen, recombinant adeno-geassocieerd virus (rAAV) vectorgenen met een zeer lage frequentie in gastheerchromosomen integreren, niet bekend staat als pathogeen, en de hoeveelheid deeltjes waarschijnlijk geen significante infecties bij de blootgestelde persoon zal veroorzaken. Daarom worden de milieueffecten van AAVCAGsCD59 verwaarloosbaar geacht.

81201887MDG2001

Openbare samenvatting - België, Nederlands _08feb23

De voorgestelde maatregelen om het potentiële risico te beperken, te controleren en de follow-up van de doelbewuste introductie te garanderen

AAVCAGsCD59 zal worden toegediend in klinische studiecentra door opgeleide zorgverleners overeenkomstig de plaatselijke voorschriften voor het hanteren en verwijderen van genetisch gemodificeerde organismen en biologische gevaren. Alle patiënten worden gecontroleerd op bijwerkingen zoals beschreven in het protocol van de klinische studie.

Gezien het verwaarloosbare risico voor het milieu worden specifieke plannen ter bescherming van het milieu niet nodig geacht. Virusuitscheiding van patiënten die AAVCAGsCD59 ontvangen als onderdeel van de klinische studie zal echter worden gecontroleerd.

Datum en plaats van introductie

De voorgestelde behandeling en follow-up van patiënten met AAVCAGsCD59 zal plaatsvinden in de volgende centra tussen augustus 2023 - februari 2025.

- UZ Gent: Corneel Heymanslaan 10, 9000 Gent
- UZ Leuven Gasthuisberg: Herestraat 49, 3000 Leuven
- CHU Liège: Avenue de L'Hôpital 1, 4000 Liège
- ZNA Middelheim: Lindendreef 1, 2020 Antwerpen
- Ziekenhuis Oost-Limburg: Synaps Park 1, 3600 Genk