



OGYÉI

Országos Gyógyszerészeti  
és Élelmezés-egészségügyi Intézet

1051 Budapest, Zrínyi u. 3.

Levél cím: 1372 Postafiók 450.

Tel.: (1) 8869-300, Fax: (1) 8869-460

E-mail: [ogyei@ogyei.gov.hu](mailto:ogyei@ogyei.gov.hu), Web: [www.ogyei.gov.hu](http://www.ogyei.gov.hu)

**Iktatószám:** OGYÉI/51052-11/2017

**Ügyintéző:** dr. Kovács Dóra

**Tárgy:** engedélyező határozat

**Baxalta Innovations GmbH**

**Industriestraße 67**

**1220 Vienna**

**Ausztria**

**Képviseli:**

**Quintiles Magyarország Kft.**

Budafoki út 91-93.

H-1117 Budapest

Magyarország

Adószám: 11950411

## HATÁROZAT

A géntechnológiai tevékenységről szóló **1998. évi XXVII. törvény** (a továbbiakban: Gtv.) **4. § (1) bekezdés a)** pontjában, valamint a **14/2008. (IV. 17.) EüM rendelet 1. § (1) bekezdésében** foglalt felhatalmazás alapján az Országos Gyógyszerészeti és Élelmezés-egészségügyi Intézet (a továbbiakban: OGYÉI) előtt a **2017. augusztus 31.** napján, **OGYÉ/51052/2017** ügyszámon, a **Baxalta Innovations GmbH** megbízásából a **Quintiles Magyarország Kft.** (a továbbiakban: Kérelmező) kérelmére géntechnológiával módosított szervezetek nem forgalomba hozatali célú kibocsátására vonatkozó engedély megadása iránt kérelemre indult eljárásban eljárva az alábbi

### **h a t á r o z a t o t**

hozom.

A kérelemnek és a mellékletként benyújtott dokumentációnak a Gtv., a géntechnológiai tevékenység engedélyezési eljárási rendjéről, valamint az eljárás során az Európai Bizottsággal való kapcsolattartásról szóló 132/2004. (IV. 29.) Korm. rendelet (Továbbiakban: Korm. Rendelet), a mezőgazdaság és az ipar területén folytatott géntechnológiai tevékenység egyes szabályairól szóló 142/2004. (IX. 30.) FVM-GKM együttes rendelet és a géntechnológiai tevékenységre vonatkozó nyilvántartás és adatszolgáltatás rendjéről, valamint a géntechnológiai tevékenységhez szükséges engedély iránti kérelemhez csatolandó dokumentációról szóló 82/2003. (VII. 16.) FVM rendelet szerinti vizsgálatát követően, figyelemmel a Géntechnológiai Eljárásokat Véleményező Bizottság véleményére, továbbá a Földművelésügyi Miniszter szakhatósági állásfoglalására, a géntechnológiával módosított szervezetek nem forgalomba hozatali célú kibocsátását a kérelemben foglaltak betartása mellett az alábbiak szerint

**engedélyezem:**

**1.) A hasznosító adatai:**

**Baxalta Innovations GmbH  
Industriestraße 67  
1220 Vienna  
Ausztria**

**Meghatalmazott CRO: Quintiles Magyarország Kft.  
Budafoki út 91-93. H-1117 Budapest**

**Tervezett tevékenység:**

Nyílt, multicentrikus, I/II. fázisú vizsgálat az egyszeri intravénás infúzióban alkalmazott BAX 888, törölt B-doménű VIII. faktort (BDD-FVIII) tartalmazó, 8-as szerotípusú adeno-asszociált vírusvektor (AAV8) biztonságosságának és dózis eszkalációjának értékelésére, súlyos, A típusú hemofiliában szenvedő betegek esetében

**2.) A géntechnológiával módosított szervezetre vonatkozó információk:**

A vírus szerkezeti fehérjéit (cap, rep) kódoló teljes szekvenciákat törölték, ennek helyébe inzertálták a májszövet specifikus promotert, véralvadásfaktor VIII szekvenciát (törölt B domén, mint a Refacto® készítményben) és egy szintetikus polyA szekvenciát. A megmaradó egyetlen virális összetevő a transzgénnel szomszédos ITR szekvencia (2. ábra). Egy ilyen virion semmilyen körülmények között sem tud replikálódni és proliferálódni.

AAV szerotípus 8 vektorba inzertálták a véralvadás faktor 8-at, melynek B doménje törölt.

**3.) A kibocsátás körülményeivel és a befogadó környezettel kapcsolatos információk:**

**a) A kibocsátás várható időpontjai és a kísérlet időterve:**

A tevékenység tervezett kezdete: 2018. április 4.

A tevékenység tervezett vége: 2022. március 31.

**b) A kibocsátás helyei:**

**Semmelweis Egyetem  
Általános Orvosi Kar  
1. sz. Belgyógyászati Klinika  
1083 Budapest  
Korányi S. u. 2/A**

**Kibocsátásért felelős személy:**

**Dr. Takács István**

**4.) Az engedély érvényessége:**

**2018. április 4-től 2022. december 31-ig.**

**5.) Az éves jelentés benyújtásának időpontja:**

**A kibocsátás kezdetét követő minden év április 30-ig.**

**6.) Az éves jelentés tartalmi követelménye:**

Jelentés a betegek számáról, akik kezelés alatt állnak (patients enrolled) valamint frissített (up to date) adatokat és azok kockázati értékelését biodisztribúcióról (biodistribution), környezetbe kerülésről (shedding) valamint véletlen hibás adminisztrációs eseményekről és azok következményeiről.

Jelen határozat ellen a **Gtv. 3. § (4)** bekezdése szerint közigazgatási eljárás keretében fellebbezésnek helye nincs, azonban a határozat kézhezvételétől számított 30 napon belül, jogszabálysértésre hivatkozással a közigazgatási hatósági eljárás és szolgáltatás szabályairól szóló **2004. évi CXL.** törvény (a továbbiakban: Ket.) **109. § (1)** bekezdése szerint kérhető annak bírósági felülvizsgálata a Fővárosi Közigazgatási és Munkaügyi Bíróságtól. A bírósági felülvizsgálat iránt előterjesztett kérelmet a Fővárosi Közigazgatási és Munkaügyi Bírósághoz címezve, az OGYÉI-nál kell előterjeszteni.

**I n d o k o l á s**

A Kérelmező 2017. augusztus 31. napján géntechnológiával módosított szervezetek nem forgalomba hozatali célú kibocsátásának engedélyezését kérte az OGYÉI-tól.

A benyújtott dokumentáció áttanulmányozását követően az OGYÉI a kérelmet 2017. szeptember 18. napján megküldte a Géntechnológiai Eljárásokat Véleményező Bizottságnak (a továbbiakban: Géntechnológiai Bizottság), aki a kérelmet megvizsgálta és kérdéseket fogalmazott meg a beadvánnyal kapcsolatban. Az OGYÉI a Géntechnológiai Bizottság kérdéseit továbbította a Kérelmező felé. A kérdésekre 2017. október 20. napján beérkezett válaszdokumentáció alapján a Géntechnológiai Bizottság a kérelmet 2018. február 1. napján elektronikusan megtárgyalta és GA-2018-01 számú jegyzőkönyvében elfogadásra javasolta.

Az OGYÉI szakhatósági állásfoglalás kialakítása céljából 2017. szeptember 18. napján megkereste a Földművelésügyi Minisztériumot, tekintettel a géntechnológiai tevékenységről szóló 1998. évi XXVII. törvény 4. § (1)-(3) bekezdésében valamint a Korm. Rendelet 1. § (3) bekezdésében foglaltakra. A Földművelésügyi Miniszter 2017. november 27. napján kelt, TMF/1215-3/2017 ügyiratszámú szakhatósági állásfoglalásában hozzájárulását adta a géntechnológiával módosított szervezetek és az azokból előállított termékek nem forgalomba hozatali célú kibocsátásához valamint megállapította, hogy az adott géntechnológiával módosított szervezetek nem forgalomba hozatali célú kibocsátása a környezetre elhanyagolható kockázatot jelent.

A kérelem B/HU/17/06 bejelentési számon feltöltésre került a vonatkozó jogszabályoknak megfelelően az Európai Bizottság által fenntartott elektronikus felületre (SNIF) más Európai Unió tagállamainak illetékes hatóságai számára, amelyre észrevétel nem érkezett.

Az OGYÉI a kérelem tartalmi vizsgálata során megállapította, hogy a BAX888, egy rekombináns, vírusvektor (módosított Adeno Associated Virus) szuszpenzió. A vírusvektor hordoz egy humán eredetű gén szekvenciát (módosított véralvadás faktor VIII). A BAX888 intravénás infúziója után a hordozott fehérje expressziója májsejtekre specializált, szövetspecifikus promoterek köszönhetően. Maga a vírusvektor nem hoz létre fertőző képes virionokat, nem replikatív, emberre nézve nem patogén. Toxikus hatást a módosított vírusra nem ismernek, nem jelent kockázatot sem humánegészségügyi, sem környezeti szempontból. Specifikus, célzott, nem forgalombahozatali engedélyű kibocsátása a GMO előírások alapján engedélyezhető.

Az OGYÉI az eljárás során lefolytatta a Géntv.-ben előírt társadalmi konzultációt. A társadalmi konzultáció 30 napos határideje alatt az OGYÉI-nál a határozat-tervezettel kapcsolatos észrevételt nem tettek, így módon az OGYÉI az engedély tervezetét jelen határozattal véglegesíti.

Az OGYÉI a Géntechnológiai Bizottság véleménye és a Földművelésügyi Miniszter jóváhagyó szakhatósági állásfoglalása alapján és a humánegészségügyi értékelés alapján megállapította, hogy a kérelem megfelel a hatályos jogszabályokban előírt rendelkezéseknek.

A fentiekre tekintettel határoztam a rendelkező részben foglaltak szerint.

A fellebbezés lehetőségét a **Gtv. 3.§ (4)** bekezdése zárja ki, míg a bírósági felülvizsgálat lehetőségét a **Ket. 109.§** állapítja meg.

Budapest