

Iktatószám: OGYÉI/41364-10/2019

Ügyintéző: Varga Dóra

Tárgy: engedélyező határozat

Baxalta Innovations GmbH
Industriestraße 67, 1221 Wien
Ausztria

Képviseli:

IQVIA RDS Magyarország Kft.
1117 Budapest, Budafoki út 91-93.

Adószám: 11950411

HATÁROZAT

A géntechnológiai tevékenységről szóló **1998. évi XXVII. törvény** (a továbbiakban: Gtv.) **4. § (1) bekezdés a)** pontjában, valamint a humán-egészségügy, humán gyógyszergyártás területén, és az emberi testtel közvetlenül érintkező vegyi anyagok esetében géntechnológiai tevékenység végzését engedélyező géntechnológiai hatóság, valamint a mezőgazdaság és az élelmiszeripar területén, illetve egyéb ipari célú felhasználás esetében géntechnológiai tevékenység végzését engedélyező eljárásban közreműködő géntechnológiai szakhatóság kijelöléséről szóló **14/2008. (IV. 17.) EüM rendelet 1. § (1) bekezdésében** foglalt felhatalmazás alapján az Országos Gyógyszerészeti és Élelmezés-egészségügyi Intézet (a továbbiakban: OGYÉI) előtt a **2019. július 4. napján, OGYÉI/41364/2019** ügyszámon, a **Baxalta Innovations GmbH** (a továbbiakban: Kérelmező) kérelmére géntechnológiával módosított szervezetek nem forgalomba hozatali célú kibocsátására vonatkozó engedély megadása iránt kérelemre indult eljárásban 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 az Agrárminisztérium szakhatósági állásfoglalására, a géntechnológiával módosított szervezetek nem forgalomba hozatali célú kibocsátását **kérelemben foglaltak betartása mellett** az alábbiak szerint

engedélyezem:

1.) A hasznosító adatai:

Baxalta Innovations GmbH
Industriestraße 67, 1221 Wien
Ausztria

Meghatalmazott:

IQVIA RDS Magyarország Kft.
1117 Budapest, Budafoki út 91-93., Magyarország

Tervezett tevékenység:

Hepatociták transzdukciója genetikailag módosított Adeno Associated Vírussal (AAV). A transzdukció után a vektor kifejezi a véralvadás faktor IX fehérje egy módosított változatát (naturally occurring hyperfunctional Padua F9 (R338L) transgene, CpG depleted to minimize cytotoxic T cell response, codon optimized), melyet hemofília B betegek gyógyítására szánnak. A készítmény 5 ml vagy 10 ml mennyiségben kerül betöltésre egy 10R injekciós üvegbe.

2.) A géntechnológiával módosított szervezetre vonatkozó információk:

A genetikai módosítás röviden:

A vírus szerkezeti fehérjéit (cap, rep) kódoló teljes szekvenciákat törölték, ennek helyébe inzertálták a májszövet specifikus promotert, véralvadásfaktor IX szekvenciát és egy szintetikus polyA szekvenciát. A megmaradó egyetlen virális összetevő a transzgénnel szomszédos ITR szekvencia, mely AAV2 szerotípusból származik. Egy ilyen virion semmilyen körülmények között sem tud replikálódni és proliferálódni.

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

a) A kibocsátás várható időszaka:

2020. január- 2023. május

b) A kibocsátás helyszíne:

Principal Investigator's name	Institution name, address	Contact details of Principal Investigator
Dr. Takács István	Semmelweis Egyetem 1.sz. Belgyógyászati Klinika, Farmakológiai Osztály, Fázis 1 Centrum 1083 Budapest Korányi Sándor u. 2/a.	Tel: +36 30 474 6416 +36 1 459 1500 Fax: +36 1 313 0250 E-mail: takacs.istvan@med.semmelweis-univ.hu

4.) Az engedély érvényessége:

2020. január1.- 2023. május 31.

5.) Az éves jelentés benyújtásának időpontja:

A kibocsátás kezdetét követő minden év február 28-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 az általános közigazgatási rendtartásról szóló 2016. évi CL. törvény (továbbiakban: Ákr.) 116. § (4) bekezdésének d) pontja szerint közigazgatási eljárás keretében fellebbezésnek helye nincs, azonban a vitatott közigazgatási cselekmény közlésétől számított 30 napon belül, jogsérelemre hivatkozással, az Ákr. 114. § (1) bekezdése alapján a véglegessé vált döntés ellen közigazgatási per indítható a közigazgatási perrendtartásról szóló 2017. évi I. törvény 13. § (3) bekezdésében meghatározott bíróság előtt. A keresetlevelet az illetékes bíróságnak címezve, az OGYÉI-hez kell benyújtani.

Megállapítom, hogy az igazgatási szolgáltatási díj megtérítésre került. Az igazgatási szolgáltatási díj az Ügyfelet terheli. Jelen eljárás során egyéb eljárási költség nem merült fel.

I n d o k o l á s

A Kérelmező 2019. július 4. napján géntechnológiával módosított szervezetek nem forgalomba hozatali célú kibocsátásának engedélyezését kérte az OGYÉI-től.

A benyújtott dokumentáció áttanulmányozását követően az OGYÉI a kérelmet 2019. július 18. napján megküldte a Géntechnológiai Eljárásokat Véleményező Bizottságnak (a továbbiakban: Géntechnológiai Bizottság), aki a kérelmet megvizsgálta, 2019. augusztus 29. napján elektronikusan megtárgyalta és GA-2019-04 számú jegyzőkönyvében elfogadásra javasolta.

Az OGYÉI szakhatósági állásfoglalás kialakítása céljából 2019. július 17. napján megkereste az Agrárminisztériumot, tekintettel a géntechnológiai tevékenységről szóló 1998. évi XXVII. törvény 4. § (1)-(3) bekezdésében valamint a földművelésügyi hatósági és igazgatási feladatokat ellátó szervek kijelöléséről szóló 383/2016. (XII. 2.) Korm. rendelet 28. § (1) a) pontjában foglaltakra.

Az Agrárminisztérium 2019. augusztus 26. napján kelt, BGMF/527-1/2019 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/19/01 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 az SHP648, egy rekombináns, vírusvektor (módosított Adeno Associated Virus) szuszpenzió. A vírusvektor hordoz egy humán eredetű gén szekvenciát (módosított véralvadás faktor IX). Az SHP648 intravénás infúziója után a hordozott fehérje májsejtekben fejeződik ki. Maga a klinikai vektor nem hoz létre fertőző képes virionokat, nem replikatív, emberre nézve nem patogén. Toxikus hatást a módosított vírusra nem ismernek. A klinikai vektor nem jelent kockázatot sem humánegészségügyi, sem környezeti szempontból. Az eredeti vírus (AAV8) 1-es veszélyességi besorolással rendelkezik, ezt a besorolást a genetikai módosítás nem változtatja meg. Specifikus, célzott, nem forgalomba hozatali engedélyű kibocsátása a GMO előírások alapján engedélyezhető.

Az OGYÉI az eljárás során lefolytatta a Gtv.-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 Génteknológiai Bizottság véleménye és az Agrárminisztérium 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 az Ákr. 116. § (4) bekezdésének d) pontja zárja ki, míg a közigazgatási per indítására vonatkozó lehetőséget az Ákr. 114 § (1) bekezdés állapítja meg.

Budapest

A határozatot kapják:

1. IQVIA RDS Magyarország Kft. (cégkapu) útján Baxalta Innovations GmbH, Industriestraße 67, 1221 Wien, Ausztria
2. Agrárminisztérium Biodiverzitás- és Génmegőrzési Főosztály (1055 Budapest Kossuth Lajos tér 11.)
3. Génteknológiai Eljárásokat Véleményező Bizottság, Nemzeti Élelmiszerlánc-biztonsági Hivatal
Állatgyógyászati Termékek Igazgatósága, Oltóanyag Engedélyezési Osztály,
1107 Budapest, Szállás u. 8.
4. Pest Megyei Kormányhivatal, Élelmiszerlánc-biztonsági, Földhivatali, Növény- és Talajvédelmi,
Erdészeti Főosztály (1135 Budapest, Lehel utca 43-47.)