

Iktatószám: OGYÉI/18238-10/2023
Ügyintéző: Bátainé dr. Jäger Krisztina
Tárgy: engedélyező határozat

Janssen-Cilag Kft.
1123 Budapest
Nagyenyed u. 8-14.
Magyarország
Adószám: 13216281

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 **2023. március 09.** napján, **OGYÉI/18238/2023** ügyszámon a **Janssen-Cilag Kft** (a továbbiakban: Kérelmező) kérelmére géntechnológiával módosított szervezetek nem forgalomba hozatali célú kibocsátása iránt 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 – **a kérelemben foglaltak betartása mellett** – az alábbiak szerint

engedélyezem,

azzal a feltétellel, hogy a betegek kórházból történő távozását követően a génterápiás készítménnyel kezelt személyek kapjanak megfelelő tájékoztatást az otthoni helyes

gyakorlatról (személyes higiénia; lehetséges érintkezés családon belül; a kontamináció elkerülésének módzatai) a géntechnológiával módosított mikroorganizmus környezetben való terjedésének minimalizálása céljából.

A Kérelmező köteles az előírt feltétel megvalósulását a Hatóság által ellenőrizhető módon dokumentálni.

1.) A hasznosító adatai:

Janssen-Cilag Kft.
1123, Budapest, Nagyenyed utca 8-14., Magyarország

Szponzor: Janssen Cilag International NV
Turnhoutseweg 30, B-2340 Beerse, Belgium

Tárgy: GMO engedély kérése a JNJ-81201887 (AAVCAGsCD59) génterápiás készítmény klinikai vizsgálatára Magyarországon

Tervezett tevékenység: Klinikai vizsgálat

Vizsgálati készítmény: JNJ-81201887 (AAVCAGsCD59) egy rekombináns, 2-es szerotípusú adenoasszociált vírus (rAAV2), amely az oldható CD59-et (sCD59) kódoló transzgént tartalmazza.

2b. fázisú, randomizált, kettősen maszkolt, többközpontú, dóziskereső, színlelt beavatkozással kontrollált klinikai vizsgálat az időskori makuladegeneráció (AMD) talaján kialakuló geografikus atrófia (GA) kezelésére alkalmazott intravitreális JNJ-81201887 (AAVCAGsCD59) értékelésére.

Protocol szám: 81201887MDG2001 Amnd 3

EudraCT-szám: 2022-500746-16-00

2.) A géntechnológiával módosított szervezetre vonatkozó információk:

A csomagoló plazmid, rekombináns plazmid és a helper plazmid szerkezetét leírták. A transzfer vektor egy AAV2 alapú replikációra képtelen vektor, amelyben töröltek a cap/rep géneket és helyükre illesztették az oldható CD59 génjének expressziós kazettáját. A gén mérete miatt az AAV a részecskébe csomagolási képesség határán van, ezért ha véltelenül extra DNS szakaszt venne fel a klinikai vektor homológ rekombináció révén, akkor nem lenne képes vírus részecske létrehozására.

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

a) A klinikai próba tervezett színhelye:

- Nozologen Kft. Ganglion Orvosi Központ
7621 Pécs, Váradi Antal u. 10/A fszt. 5

Vizsgálatvezető: Dr. Varsányi Balázs

- Észak-Pesti Centrumkórház – Honvédkórház; Szemészeti osztály
1062 Budapest, Podmaniczky utca 109

Vizsgálatvezető: Dr. Vogt Gábor

- Zala Vármegyei Szent Rafael Kórház és Rendelőintézet; Szemészeti osztály
8900 Zalaegerszeg, Zrínyi Miklós utca 1. 313. számú „Kisműtő”

Vizsgálatvezető : Dr. Aradi Etelka

Tervezett dózis: egyetlen intravitrealis dózis, kis dózis: $8,2 \times 10^{10}$ vg dózis; nagy dózis: $4,1 \times 10^{11}$ vg

b) Bevont betegek száma:

300 fő

c) A kibocsátás tervezett időszaka:

2023. március –2025. december

4.) Az engedély érvényessége:

2023. július 08 – 2033. július 07.

A Gtv 6. §-a az alábbiakról rendelkezik:

„6. § (2) A géntechnológiai hatóság a 3. § (1) bekezdése szerinti engedélyeket - amennyiben az e törvény felhatalmazása alapján kiadott jogszabály vagy az Európai Unió általános hatályú, közvetlenül alkalmazandó jogi aktusa másként nem rendelkezik - a géntechnológiai tevékenység jellegére és céljára tekintettel az engedélyben meghatározott jogosultsági időre, de legfeljebb 10 évre adja ki az adott tevékenységen belül azonos szempontok alapján.”

A Gtv. 7. § (1) bekezdése alapján a jogosult kérelmezheti az engedély érvényességének meghosszabbítását:

„7. § (1) Amennyiben a hasznosító az engedélyben meghatározott jogosultsági idő lejártá után is folytatni kívánja a géntechnológiai tevékenységet,

a) nem forgalomba hozatali célú kibocsátásra vonatkozó engedély esetében az engedélyben meghatározott jogosultsági idő lejártá előtt legkésőbb 120 nappal,

...

kérelmet köteles benyújtani a géntechnológiai hatósághoz az engedély megújítása iránt.”

5.) Éves jelentés benyújtásának időpontja:

A géntechnológiával módosított szervezetek kibocsátásának kezdetét követően minden év január 31-éig.

Abban az esetben, ha a tárgyév során nem történik géntechnológiával módosított szervezetek nem forgalomba hozatali célú kibocsátása, úgy arról a Kérelmezőnek elegendő a tárgyévre vonatkozó nyilatkozatot beadnia. Éves jelentés beküldése az engedélyező határozatban rögzített tartalommal és formában csak a kibocsátás megkezdését követően szükséges.

6.) Az éves jelentés tartalmi követelménye:

Jelentés a kezelések helyszínéről, a betegek számáról, akik kezelés alatt állnak (patients enrolled) valamint frissített (up to date) adatokat és azok kockázati értékelését a környezetbe kerülésről (shedding) valamint a váratlan eseményekről, balesetekről (véletlen kiömlés, készítmény beadása/bejutása a páciensen kívüli személybe) és azok következményeiről ill. kezelt személyből vett minták GMO tartalmáról.

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. § (1)** 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 2023. március 09. napján, OGYÉI/18238/2023 ügyszámon kérelmezte a géntechnológiával módosított szervezetek nem forgalomba hozatali célú kibocsátásának engedélyezését az OGYÉI-től.

A benyújtott dokumentáció áttanulmányozását követően az OGYÉI a kérelmet 2023. március 21. napján megküldte a Géntechnológiai Eljárásokat Véleményező Bizottságnak (a továbbiakban: Géntechnológiai Bizottság), aki a kérelmet megvizsgálta és megállapította, hogy az elbírálásához további információra volt szüksége. Kérdéseket fogalmazott meg a kérelmező részére, melyeket az eljáró hatóságon keresztül küldött meg a kérelmezőnek, illetve meghallgatás keretében tett fel. A válaszokat a Géntechnológiai Bizottság megvitatta 2023. március 29-én és GA-2023-10 számú jegyzőkönyvében minden tekintetben kielégítőnek találta.

Az OGYÉI szakhatósági állásfoglalás kialakítása céljából 2023. március 30. 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) bekezdés a)** pontjában foglaltakra.

Az Agrárminisztérium 2023. április 21. napján kelt, BGMF/304-1/2023 ügyiratszámú szakhatósági állásfoglalásában hozzájárulását adta a géntechnológiával módosított szervezetek és az azokból előállított termékek nem forgalomba hozatali célú kibocsátásához azzal a

feltétellel, hogy a betegek kórházból történő távozását követően a génterápiás készítménnyel kezelt személyek kapjanak megfelelő tájékoztatást az otthoni helyes gyakorlatról (személyes higiénia, lehetséges érintkezés családon belül; a kontamináció elkerülésének módzatai) a géntechnológiával módosított mikroorganizmus környezetben való terjedésének minimalizálása céljából.

Valamint megállapította, hogy az adott géntechnológiával módosított szervezetek nem forgalomba hozatali célú kibocsátása a környezetre elhanyagolható kockázatot jelent.

A kérelem GMOB-2023-14060 bejelentési számon feltöltésre került a vonatkozó jogszabályoknak megfelelően az Európai Bizottság által fenntartott elektronikus felületre (SNIF) más, az Európai Unió tagállamainak illetékes hatóságai számára, amelyre észrevétel nem érkezett.

Az OGYÉI a kérelem tartalmi vizsgálata során megállapította, hogy a JNJ-81201887 egy AAV2 (adenoassociated virus 2) alapú készítmény, a vírus vektor a humán CD59 gént hordozza. A génterápiát szemészeti indikációban, időskori száraz makuladegeneráció ellen fejlesztik. A gént hordozó AAV2 vírustörzs genetikai beavatkozásoknak következtében nem képes replikációra (rep, gap gének hiánya). Replikációs képességének visszanyerésére az esély gyakorlatilag nulla (még a helper vírusok (AV vagy herpes vírus) jelenlétében is gátolt), esetleges környezetbe kerülés esetén terjedőképességgel nem rendelkezik. Vizelettel és más testnedvekkel a környezetbe kerülő mennyiség jelentéktelen. A készítmény adminisztrációja során a leírtak alapján megfelelő kórházi higiéniai előírásokat alkalmaznak. A JNJ-81201887 felhasználása a tervezett klinikai vizsgálat során nem jelent kockázatot sem humánegészségügyi, sem környezeti szempontból.

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

Az OGYÉI a Géntechnológiai Bizottság véleménye, az Agrárminisztérium jóváhagyó szakhatósági állásfoglalása, valamint a humán egészségügyi értékelés alapján megállapította, hogy a kérelem megfelel a hatályos jogszabályokban előírt rendelkezéseknek.

Gtv. 5. § (1) szerint:

„A géntechnológiai hatóság az engedély iránti kérelmet a Géntechnológiai Bizottság véleményére figyelemmel bírálja el. A géntechnológiai hatóság az engedély iránti kérelmet a Géntechnológiai Bizottság véleménye ellenére is elutasíthatja vagy az engedélyt megadhatja.”

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.

Tekintettel arra, hogy a hatósági ügy a sommás eljárás szabályai szerint nem kerülhetett elbírálásra, mert a kérelem nem felelt meg az **Ákr. 41. § (1)** bekezdésében foglaltaknak, a hatóság az ügy teljes eljárásban történő lefolytatásáról döntött.

A hatóság az ügy teljes eljárásban történő elbírálásáról szóló tájékoztatási kötelezettségének az ügyfél által kérelmében rendelkezésre bocsátott e-mail címre kiküldött értesítéssel tett eleget,

melyre felhatalmazást az **Ákr. 43. § (2)** bekezdésében foglaltak, illetve az elektronikus ügyintézés és a bizalmi szolgáltatások általános szabályairól szóló **2015. évi CCXXII. törvény** (a továbbiakban: Eüsztv.) **15. § (5)** bekezdésében foglaltak adnak.

Budapesten, az időbélyegzőben foglalt időpontban