



NEMZETI NÉPEGÉSZSÉGÜGYI ÉS GYÓGYSZERÉSZETI KÖZPONT

Törzskönyvezési Főosztály

Iktatószám: NNGYK/ETGY/19768-9/2025

Ügyintéző: Varga Dóra

Tárgy: engedélyező határozat

AbbVie Kft.
Lechner Ödön fasor 7.
1095 Budapest,
Magyarország

Adószám: 23395675

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 a Nemzeti Népegészségügyi és Gyógyszerészeti Központ (a továbbiakban: NNGYK) előtt a **2025. július 21. napján NNGYK/ETGY/19768/2025** ügyszámon az **AbbVie 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

Cím: 1135 Budapest, Szabolcs u. 33. Tel: +36 1 886 9300

e-mail: ogyei@nngyk.gov.hu

Hivatali kapu KRID azonosító: 346558928

engedélyezem,

azzal, hogy a géntechnológiai tevékenységvégzés megkezdésének feltétele, hogy a Kérelmező az AbbVie Deutschland GmbH & Co KG és az Uzsoki Utcai Kórház közötti végleges Létesítmény-használati megállapodást benyújtsa az NNGYK-hoz.

1.) A hasznosító adatai:

Kérelmező:

AbbVie Kft.

1095 Budapest, Lechner Ödön fasor 7. Magyarország

Szponzor:

AbbVie Deutschland GmbH & Co KG

Knollstrasse 67061, Ludwigshafen, Németország

Tervezett tevékenység:

Klinikai vizsgálat

Címe:

Randomizált, kontrollált, részben maszkolt, 3.b fázisú vizsgálat a Surabgene Lomparvovec (ABBV-RGX- 314) injekció okozta megterhelés, hatásosságának, biztonságosságának és a látásélesség hosszú távú megőrzésére gyakorolt hatásának értékelésére a klinikai gyakorlatban neovaszkuláris, időskori makuladegenerációban (nAMD) szenvedő betegeknél

A vizsgálat célja:

- Az anti-VEGF injekció okozta megterhelés és a hosszú távú hatásosság értékelése a surabgene lomparvovec (ABBV-RGX- 314) szubretinális alkalmazása után, szükség esetén intravitreálisan adott ranibizumabbal összehasonlítva, amelyet a protokollban meghatározott kritériumoknak megfelelően alkalmaznak az 1. év során, majd az 1. után a klinikai gyakorlatnak megfelelően, szükség esetén intravitreálisan adott ranibizumab kezeléssel összehasonlítva.
- Az intravitreális ranibizumab injekciók éves gyakorisága a 6. héttől az 54. hétig
- A BCVA változása a kiinduláshoz képest a 3. év végén
- Az intravitreális ranibizumab injekciók éves gyakorisága a 6. héttől a 3. év végéig.

Protokollszám: M24-528

Eudra -CT szám: 2024-512298-28-00

2.) A géntechnológiával módosított szervezetre vonatkozó információk:

A surabgene lomparvovec (ABBV-RGX-314) egy nem replikálódó, 8-as szerotípusú kapszidból álló rekombináns AAV vektor, amely AAV2 fordított terminális ismétlésekkel (ITR) rendelkező expressziós kazettát és humán anti-vaszkuláris endoteliális növekedési faktor antigénkötő fragmentumot (anti-VEGF Fab) tartalmaz.

A GMO-t a humán embrionális vese (HEK) 293 MCB sejtjeinek plazmid transzfektálásával gyártják.

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

a) A klinikai vizsgálat tervezett helyszínei:

1. Budapest Retina Associates
1133 Budapest, Váci út 76. II. torony, 3. emelet Magyarország
vizsgálatért felelős személy: Dr. Seres András

Műtétek (kibocsátás) helyszíne:
Uzsoki utcai kórház Szemészeti osztály műtő
1145 Budapest, Róna utca 196-212. Magyarország
2. Ganglion Orvosi Központ - Nozolgen Kft.
7621 Pécs, Váradi Antal u. 10/A. fsz. 5 Magyarország
vizsgálatért felelős személy: Dr. Varsányi Balázs

Műtétek (kibocsátás) helyszíne:
Uzsoki utcai kórház Szemészeti osztály műtő
1145 Budapest, Róna utca 196-212. Magyarország
3. Debreceni Egyetem Klinikai Központ, Szemklinika.
4032 Debrecen, Nagyerdei körút 98. Magyarország
vizsgálatért felelős személy: Dr. Vajás Attila
4. Semmelweis Egyetem, Szemészeti Klinika, Szemészeti Klinikai Kutató Központ
1085 Budapest, Rökk Szilárd utca 13. Magyarország
vizsgálatért felelős személy: Dr. Papp András

Műtétek (kibocsátás) helyszíne:
Semmelweis Egyetem, Szemészeti Klinika műtő
1085 Budapest, Mária utca 39. Magyarország

A kibocsátandó GMO mennyisége (tervezett dózis):

Gyógyszerforma és hatáserősség: Steril fagyasztott szuszpenzió (Surabgene lomparvovec, ABBV-RGX-314), egyszeri subretinalis injekció formájában beadva mindkét betegcsoportban.

b) Bevonni tervezett betegek száma:

Körülbelül 150 vizsgálóhelyen körülbelül 561 beteget terveznek bevonni.

Magyarországon 16 fő.

c) A kibocsátás tervezett időszaka:

2025. december 1. - 2033. április 6.

4.) Az engedély érvényessége:

2025. november 17. – 2034. június 30.

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 lejárta után is folytatni kívánja a géntechnológiai tevékenységet,

a) nem forgalomba hozatali célú kibocsátásra vonatkozó engedély esetében az engedélyben meghatározott jogosultsági idő lejárta 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 NNGYK-hoz 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 2025. július 21. napján NNGYK/ETGY/19768/2025 ügyszámon kérelmezte a géntechnológiával módosított szervezetek nem forgalomba hozatali célú kibocsátásának engedélyezését az NNGYK-tól.

A benyújtott dokumentáció áttanulmányozását követően az NNGYK a kérelmet 2025. augusztus 5. napján megküldte a Géntechnológiai Eljárásokat Véleményező Bizottságnak (a továbbiakban: Géntechnológiai Bizottság), aki a kérelmet megvizsgálta és megállapította hogy az elbírálásához további információra van szüksége. A Géntechnológiai Bizottság kérdéseket fogalmazott meg a kérelmező részére, melyeket az eljáró hatóságon keresztül küldött meg a kérelmezőnek NNGYK/19768-4/2025 ügyiratszámú végzéssel. Az NNGYK/19768-5/2025 ügyiratszámra iktatott válaszokat a Géntechnológiai Bizottság megvitatta 2025. augusztus 28-án, és az NNGYK/19768-6/2025 ügyiratszámra iktatott, GA-2025-46 számú jegyzőkönyvben kiegészítő feltétellel (a kérelmező benyújtja az Abbvie Deutschland GmbH és az Uzsoki Utcai Kórház közötti végleges Létesítmény-használati megállapodást) javasolta az engedély megadását.

Az NNGYK szakhatósági állásfoglalás kialakítása céljából 2025. július 28. 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 2025. szeptember 3. napján kelt, BGMF/735-1/2025 ügyiratszámú szakhatósági állásfoglalásában hozzájárulását adta a géntechnológiával módosított szervezetek és az azokból előállított termékek nem forgalomba hozatali célú kibocsátásához, valamint megállapította, hogy a géntechnológiával módosított szervezet nem forgalomba hozatali célú kibocsátása a környezetre elhanyagolható kockázatot jelent.

A vizsgálati gyógyszert a vizsgálóhely szokásos műveleti eljárása (SOP) és eljárásai szerint szállítják, a helyi előírásoknak megfelelően. A GMO-t kórházi műtőben vagy ambuláns sebészeti központban szívják fel és adják be. Nincs szükség a GMO feloldására, hígítására vagy speciális előkészítésére. A felszívást aseptikus módon, közvetlenül az injekciós üvegből steril fecskendőbe kell végezni a műtőben lévő vitrektómia gép segítségével. A GMO készítmény átvételéért, tárolásáért és a vizsgálói csapatnak történő átadásáért a kórházi gyógyszertár felel. A standard kórházi higiéniai intézkedések a GMO kezelése és alkalmazása során lépnek érvénybe. A GMO-t beadó személyzet védőruházatot, például sebészeti köpenyt, steril kesztyűt és maszkot visel. Az orvosi személyzet betartja a szokásos kórházi higiéniai intézkedéseket. Alkalmazáshoz steril kesztyűt és sebészeti köpenyt kell viselni. Abban az esetben, ha a vizsgálati gyógyszer kiömlik, a kiömlött anyagot elhatárolják, és a területet 10%-os hipóoldattal fertőtlenítik. A hipóoldatnak legalább 20 percig érintkeznie kell a területtel. A Gyógyszertári iratgyűjtőben található egy biztonsági adatlap (SDS), amely további kezelési utasításokat tartalmaz. A vizsgálóhelyek a fertőző ágensek kiömlésére vonatkozó intézményi eljárásokat is követhetik. A készítmény összes maradékát a klinikai vizsgálóhely standard műveleti eljárásainak és a helyi előírásoknak megfelelően megsemmisítik. Minden hulladékot és potenciálisan szennyezett hulladékot általában a vizsgálóhelyen, biológiailag veszélyes hulladéknak megfelelő tárolókban kell ártalmatlanítani a klinikai vizsgálóhely eljárásainak és a helyi eljárásoknak megfelelően.

A kérelem GMOB-2025-35743 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 NNGYK a kérelem tartalmi vizsgálata során megállapította, hogy az ABBV-RGX-314 egy adeno-asszociált vírus (AAV)-alapú készítmény. A kezelésre használt vírusvektor nem tartalmaz más AAV eredetű virális elemet, mint az AAV2 szerotípus két fordított terminális ismétlődő szekvenciáját (ITR). A 2 ITR közrezárja a transzgént, amely a humán anti-vaszkuláris endoteliális növekedési faktor antigénkötő fragmentum (anti-VEGF Fab) génje. A virális kapszid AAV8 fehérjeburokból áll, azonban AAV8 szerotípusból származó DNS szekvenciákat az ABBV-RGX-314 nem tartalmaz.

A természetben elterjedt AAV nem patogén, betegséget nem okoz, és a genetikailag módosított GMV sem patogén. A páciensbe kerülve az ABBV-RGX-314 által hordozott transzgén nem épül be a sejt genomjába, hanem epizomális állapotban marad.

Az ABBV-RGX-314 replikációra nem képes. Replikáció csak abban az esetben valósulhatna meg, ha egyazon sejtet megfertőznék három különálló vírus: ABBV-RGX-314 vírus vektor, AAV2 és egy segédvírus (például adenovírus vagy herpesz vírus). Ennek a valószínűsége minimális. Mindazonáltal, gyártás során az esetlegesen létrejövő replikációra képes vírus vektor (rcAAV) jelenlétét tesztelik, a módszert ismertették.

Az ABBV-RGX-314 vektorürítési profilját non-klinikai vizsgálatokban és klinikai vizsgálatokban jellemezték, illetve jellemzik. Az ABBV-RGX-314 subretinalis alkalmazása során az RGX-314-001-es vizsgálatban, amely egy befejezett fázis I/IIa vizsgálat, a vektor vizeletbe és szérumba történő ürítését vizsgálták. Az eredmények szerint egyetlen időpontban sem észleltek vektor génekópiákat vizeletben, illetve az 1. nap után szérumban sem. Az RGX-314-2103-as számú, csak az Egyesült Államokban végzett fázis II-es vizsgálat résztvevőitől származó szérumban, vizeletben és könnyekben elemzik (qPCR) a környezetbe történő lehetséges GMO kibocsátást. Tekintettel az ABBV-RGX-314 átmeneti és minimális vektorürítésére az RGX-314-001 fázis I/IIa vizsgálatban, a vektorürítés monitorozását nem végzik más folyamatban levő és a jelen kérelemben foglalt tervezett klinikai vizsgálatban. A Kérelmező indoklása - az ismertetett környezetbejutás megakadályozását szolgáló intézkedésekkel együtt - elfogadható.

Az ABBV-RGX-314 adminisztrációját kontrollált kórházi körülmények között végzik majd, a nem célzott, betegen kívüli véletlen beadásra az esély igen alacsony. A szükséges védőfelszerelést leírták, véletlen kiömlés esetére vonatkozó eljárást ismertették. A kezelő (kibocsátó) helyek helyszínrajzát beadták, a hulladékkezelési eljárásokat ismertették. Az ABBV-RGX-314 készítmény nem patogén, nem allergén, nem toxikus, az 1. kockázati csoportba tartozik. Az ismertetett balesetmegelőzési és -elhárítási tervek és a hulladékkezelési eljárások ennek a kategóriának megfelelnek.

A beadott dokumentáció alapján a klinikai vizsgálatához szükséges GMO engedély a specifikus, célzott, nem forgalomba hozatali célú kibocsátásra kiadható.

Az NNGYK 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.

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, a digitális államról és a digitális szolgáltatások nyújtásának egyes szabályairól szóló **2023. évi CIII. törvény 28. §-ában** foglaltak adnak.

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.

Az NNGYK e határozatban foglalt döntését a **14/2008. (IV. 17.) EüM rendelet 1. § (1) pontja** alapján, valamint a Nemzeti Népegészségügyi és Gyógyszerészeti Központról szóló **333/2023. (VII.20.) Korm. rendelet 15. § -ában** foglalt kijelölés alapján, a 3. §-a szerint országos illetékességgel eljárva hozta meg.

Kelt Budapesten, az időbélyegzőben foglalt időpontban

Dr. Surján Orsolya
országos tisztifőorvos
nevében és megbízásából

dr. Gara Annamária
főosztályvezető

A határozatot kapják:

1. Kérelmező
2. Agrárminisztérium, Biodiverzitás- és Génmegőrzési Főosztály
3. Géntechnológiai Eljárásokat Véleményező Bizottság