



## **EVALUACIÓN DE RIESGO DE LA LIBERACIÓN AL MEDIO AMBIENTE DE UN VIRUS ADENOSOCIADO MODIFICADO GENÉTICAMENTE (Notificación B/ES/23/01)**

### **Título del ensayo**

Estudio abierto de liberación génica sistémica para evaluar la seguridad, la tolerabilidad y la expresión de SRP-9001 en asociación con imlifidasa en sujetos con distrofia muscular de Duchenne con anticuerpos preexistentes contra rAAVrh74, del promotor Sarepta Therapeutics, Inc.

### **Características del organismo modificado genéticamente**

SRP-9001 es un virus adenoasociado, derivado del serotipo rh74, no replicativo que contiene un gen de la microdistrofina humana bajo el control de un promotor que se ha optimizado para impulsar su expresión en el músculo cardíaco y esquelético. El genoma del vector contiene los elementos mínimos necesarios para la expresión génica, incluyendo repeticiones terminales invertidas (RTI) de AAV2, el gen de la microdistrofina, un intrón SV40 (SD/SA) y una señal sintética de poliadenilación.

### **Características del ensayo**

SRP-9001 se administrará a los pacientes con una dosis única de  $1,33 \times 10^{14}$  gv/kg para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne. En el ensayo participará el Hospital Sant Joan de Déu.

### **Evaluación del riesgo. Identificación de riesgos potenciales.**

En el ensayo clínico se utilizará el mismo organismo modificado genéticamente que en los ensayos B/ES/21/25 y B/ES/22/17 autorizados el 28/01/2022 y el 25/10/2022, respectivamente.

En la página web se puede consultar el informe de evaluación del riesgo de los ensayos clínicos [B/ES/21/25](#) y [B/ES/22/17](#).

### **Manipulación, control y tratamiento de residuos**

Los profesionales sanitarios y el personal del centro recibirán capacitación sobre las mejores prácticas de bioseguridad, que se deberán aplicar durante la preparación de SRP-9001 en el Servicio de Farmacia y en su transporte a la sala de administración, así como las precauciones durante la administración y la eliminación de los desechos biológicos en contacto con el producto y el medicamento sobrante.

La capacitación también incluirá el uso de ropa protectora adaptada, guantes y gafas protectoras, la presencia constante de un kit para vertidos y la descontaminación de los desechos antes de su eliminación.

Todo el material que entre en contacto con el OMG se eliminará de acuerdo con las normas de tratamiento de residuos con riesgo biológico del centro hospitalario.

Se aconsejará a los familiares de los pacientes que sigan las instrucciones para el manejo adecuado de las heces de los pacientes y observen una buena higiene de manos cuando entren en contacto directo con los desechos corporales del paciente durante un mínimo de un mes después del tratamiento con SRP-9001 (no se prevé que los participantes utilicen pañales).

Los análisis de muestras de los pacientes que participen en el ensayo se realizarán en los laboratorios centrales. Solo como excepción, y si no fuera posible usar el laboratorio central, el protocolo



contempla la posibilidad de utilizar el laboratorio del hospital. Dicho laboratorio cumple como mínimo con los requisitos de nivel de bioseguridad 2 (BSL-2).

**En el caso de que se produzca cualquier incidencia o accidente se deberá informar de manera inmediata a la Comisión Nacional de Bioseguridad (CNB) y al Consejo Interministerial de OMG (CIOMG).**

**CONCLUSIÓN:** Se considera que en el estado actual de conocimientos y con las medidas de uso propuestas, este ensayo clínico no supone un riesgo significativo para la salud humana, la salud animal y/o el medio ambiente.

Una vez concluido el ensayo, se remitirá un informe de resultados del mismo al Consejo Interministerial de OMG (CIOMG) y a la Comisión Nacional de Bioseguridad (CNB), siguiendo el modelo de informe de resultados elaborado por la CNB, que se encuentra disponible en la [web del MITECO](#). En este informe se deberá incluir información sobre las posibles incidencias, si las hubiera. La remisión de esta información será condición indispensable para la concesión de futuras autorizaciones de ensayos con organismos modificados genéticamente.

Madrid a 15 de febrero de 2023