

„Durchführung der somatischen Gentherapie – behördliches Verfahren und Entscheidung gemäß § 75 GTG“

**Mag. Elisabeth Stiebitz
Bundesministerium für Gesundheit
Abteilung II/B/9 – Gentechnik**

**Advanced Therapies, AGES PharmMed
Mittwoch, 14.4.2010**

Inhalte

- Rechtsgrundlage GTG
- Definitionen
- Regelungen
- Gang des Verfahrens
- Entscheidung
- Meldepflichten

Durchführung einer somatischen Gentherapie am Menschen

**Rechtsgrundlage: Gentechnikgesetz (GTG), BGBl. 510/1994,
in der Fassung BGBl. I Nr. 127/2005**

Bundesgesetz, mit dem Arbeiten mit gentechnischen Organismen, das Freisetzen und Inverkehrbringen von GVO und die Anwendung von Genanalyse und Gentherapie am Menschen geregelt werden.

In Kraft seit 1.1.1995, seither viermal novelliert, zuletzt im Jahr 2005

Federführend zuständig für die Vollziehung:
Bundesministerium für Gesundheit

Mitkompetenzen: BMWF, BMLFUW

Geltungsbereich des GTG:

§ 2 (1): Dieses Bundesgesetz gilt für

- 1 gentechnische Anlagen
- 2 Arbeiten mit gentechnisch veränderter Organismen (GVO)
- 3 Freisetzungen von GVO
- 4 Inverkehrbringen von Erzeugnissen, die GVO enthalten oder aus solchen bestehen
- 5 Kennzeichnung von Erzeugnissen unter 4.
- 6 die genetische Analyse und **Gentherapie am Menschen**

Ziel des Gesetzes = Schutzzweck der Normen

§ 1 :

1. die Gesundheit des Menschen einschließlich seiner Nachkommen **vor Schäden zu schützen**, die

a) unmittelbar durch Eingriffe am menschlichen Genom, durch genetische Analysen am Menschen oder durch Auswirkungen von GVO am Menschen entstehen können

b).....

und dadurch ein **hohes Maß an Sicherheit** für den Menschen und die Umwelt zu gewährleisten.

2. die Anwendung der Gentechnik zum Wohle des Menschen durch Festlegung eines rechtlichen Rahmens für deren Erforschung, Entwicklung und Nutzung **zu fördern**.

Definition der somatischen Gentherapie am Menschen:

§ 4 Z 24 GTG:

„Die Anwendung der gezielten Einbringung isolierter exprimierbarer Nukleinsäuren in somatische Zellen im Menschen, die zur Expression der eingebrachten Nukleinsäuren führt, oder die Anwendung derart außerhalb des menschlichen Organismus gentechnisch veränderter somatischer Zellen oder Zellverbände am Menschen.“

Abgrenzungen von anderen Regelungsbereichen:

§ 78 Abs. 1 GTG:

Die Durchführung einer somatischen Gentherapie am Menschen unterliegt nicht den Vorschriften des II. und III. Abschnittes des GTG (Arbeiten mit GVO im geschlossenen System, Freisetzung und Inverkehrbringen von GVO)

§ 2 Abs. 4 GTG:

Die Verwendung von GVO im Rahmen einer somatischen Gentherapie gilt nicht als Freisetzung Im Sinne des GTG.

§ 4 Z 24 GTG, 2. Satz:

Ein mit somatischer Gentherapie behandelter Mensch gilt nicht als GVO.

Somatische Gentherapie

§ 74.

Eine somatische Gentherapie am Menschen darf nur nach dem Stand von Wissenschaft und Technik

1. zum Zwecke der Therapie oder der Verhütung schwerwiegender Erkrankungen des Menschen oder

2. zur Etablierung hierfür geeigneter Verfahren im Rahmen einer klinischen Prüfung (§ 76) und nur dann durchgeführt werden, wenn nach dem Stand von Wissenschaft und Technik ausgeschlossen werden kann, dass dadurch eine Veränderung des Erbmaterials der Keimbahn erfolgt.

Somatische Gentherapie

Ist nach dem Stand von Wissenschaft und Technik das Risiko einer Veränderung des Erbmateri als der Keimbahn nicht völlig auszuschließen, so darf die somatische Gentherapie nur angewendet werden, wenn dieses Risiko von dem von der Anwendung der somatischen Gentherapie zu erwartenden Vorteil für die Gesundheit dieses Menschen überwogen wird, und nur bei Menschen, die mit Sicherheit keine Nachkommen haben können;

Zellen der Keimbahn eines auf diese Weise behandelten Menschen dürfen nicht zur Herstellung von Embryonen außerhalb des Körpers einer Frau verwendet werden.

Voraussetzungen:

- Stand von Wissenschaft und Technik (Definition in § 4 Z 8 GTG)
- Therapie oder Verhütung schwerwiegender Erkrankungen
- Etablierung hierfür geeigneter Verfahren im Rahmen einer klinischen Prüfung
- Ausschluss einer Veränderung der Keimbahn - § 64 GTG iVm § 9 Abs. 2 Fortpflanzungsmedizingesetz (Verbot des Eingriffs in die menschliche Keimbahn)

Ausnahmen: → Vorteil der Behandlung überwiegt
→ keine Nachkommenschaft

Durchführung der somatischen Gentherapie – behördliches Verfahren und Entscheidung



§ 75.

(1) Eine somatische Gentherapie an Menschen darf nur von einem **Arzt** in einer **Krankenanstalt** und nur nach einer **Genehmigung** gemäß Abs. 3 durchgeführt werden.

(2) Die Genehmigung ist vom ärztlichen Leiter der Krankenanstalt, in der die Anwendung einer somatischen Gentherapie beabsichtigt ist, gemeinsam mit dem Prüfungsleiter beim Bundesminister für Gesundheit zu beantragen.

(3) Die Genehmigung ist vom Bundesminister für Gesundheit nach Anhörung des zuständigen wissenschaftlichen Ausschusses der Gentechnikkommission und des Arzneimittelbeirates – soweit dessen Befassung auf Grund des Anlassfalles im Arzneimittelgesetz vorgesehen ist und erforderlichenfalls unter Festlegung von Auflagen und Bedingungen zu erteilen, wenn die **Voraussetzungen des § 74** erfüllt sind und auf Grund der personellen und sachlichen Ausstattung eine dem **Stand von Wissenschaft und Technik** entsprechende Durchführung der somatischen Gentherapie am Menschen und der besondere Schutz allenfalls anfallender genanalytischer Daten gemäß § 71 sichergestellt sind.

Durchführung der somatischen Gentherapie – behördliches Verfahren und Entscheidung



Falls im Rahmen einer klinischen Prüfung zum Zweck der somatischen Gentherapie am Menschen GVO verwendet werden, ist diese Genehmigung nur zu erteilen, wenn als Folge der durchgeführten Gentherapie nach dem Stand von Wissenschaft und Technik ein nachteilige Folgen für die Sicherheit (§ 1 Z 1) bewirkendes Ausbringen dieser GVO in die Umwelt nicht zu erwarten ist.

(4)

Voraussetzungen

- Arzt
- Krankenanstalt
- Antragstellung und behördliche Genehmigung

Gang des Verfahrens:

- ↓ Einreichung eines Antrages auf Durchführung einer somatischen Gentherapie - Prüfungsleiter und ärztlicher Leiter gemeinsam
- ↓ Befassung des WAGG:
 - Gutachtensvorschlag der Berichterstatter
 - Erörterung und Abstimmung im WAGG
- ↓ Mitteilung vom Ergebnis der Beweisaufnahme nach AVG
- ↓ wenn erforderlich: Nachreichung von Ergänzungen oder Änderungen
- ↓ Entscheidung der Behörde mittels Bescheid

Entscheidungsfindung der Behörde

beratendes Gremium der Behörde:

§ 80 GTG Gentechnikkommission

und drei ständige wissenschaftliche Ausschüsse

§ 85 Abs. 1 Z 3 GTG:

- wissenschaftlicher Ausschuss für Genanalyse und Gentherapie am Menschen
- vom Bundesminister für Gesundheit für die **Dauer von fünf Jahren bestellt**
- Vorsitz: sachkundige/r Bedienstete/r des BMG mit beratender Stimme

Zusammensetzung des WAGG

Experten aus folgenden Bereichen:

- Molekularbiologie
- molekulare Pathologie
- Philosophie, Theologie
- Humangenetik
- molekulare Genanalytik
- Soziologie, Sozialarbeit
- Datenschutzrecht
- Arzt mit Kenntnissen über somatische Gentherapie
- zwei Vertreter des OSR
- zwei der fünf ständigen Mitglieder des AMB

Aktuelle Liste der Mitglieder des WAGG:

Link: www.gentechnik.gv.at

Beschlussfassung im WAGG – Entscheidung der Behörde

1. Erstellung eines Gutachtensvorschlages durch zwei gewählte Berichterstatter für den Bereich der somatischen Gentherapie
2. Abstimmung über den Vorschlag im Plenum, Entscheidung mit einfacher Mehrheit
3. die rechtliche Entscheidung liegt bei der Behörde, die Ergebnisse der Beratung im Ausschuss sind nicht bindend.

Der **Genehmigungsbescheid** der Behörde kann **Auflagen** und **Bedingungen** enthalten.

Sofern die Voraussetzungen für die Erteilung der Genehmigung nicht mehr gegeben sind:

- Möglichkeit des Widerrufs der Genehmigung durch den Bundesminister
- bei Vorliegen schwerer Mängel: Erteilung von Auflagen, Untersagung der Durchführung bis zur Behebung der Mängel

Nach der Genehmigung

- Sorgfalts- und Mitteilungspflichten des Prüfungsleiters § 77 GTG
- Meldepflichten des Prüfungsleiters § 78a GTG
- Eintrag ins Gentherapie-Register § 79 GTG

Sorgfalts- und Mitteilungspflichten

- **§ 77. (1)** Der für die Durchführung einer somatischen Gentherapie verantwortliche Arzt (§ 75 Abs. 1) hat sich auch nach deren Beginn bis zu ihrem Abschluss **über alle im Zusammenhang mit dieser Gentherapie stehenden Tatsachen und Umstände zu informieren**, die nach dem Stand von Wissenschaft und Technik geeignet sind, die Gesundheit des mit dieser Gentherapie behandelten Menschen oder des an der Gentherapie beteiligten Personals oder die Umwelt zu gefährden. Er hat sich dabei zu seiner **Unterstützung einer Person mit mindestens zweijähriger Erfahrung auf dem Gebiet der Maßnahmen zur Gewährleistung der Sicherheit (§ 1 Z 1)** zu bedienen, sofern er nicht selbst derartige Erfahrung besitzt.

Sorgfalts- und Mitteilungspflichten

- (2) Der verantwortliche Arzt hat Tatsachen und Umstände gemäß Abs.1 **unverzüglich** dem Bundesminister für Gesundheit **schriftlich oder fernschriftlich mitzuteilen**. Der Bundesminister für Gesundheit hat daraufhin nach Befassung des WAGG entsprechend der zu erwartenden oder schon festgestellten Gefährdung der Gesundheit des mit der somatischen Gentherapie behandelten Menschen **die zur Hintanhaltung dieser Gefährdung erforderlichen Auflagen zu erteilen** oder die Durchführung einer derartigen Gentherapie zu beschränken oder zu untersagen.

Meldepflichten

§ 78a. GTG

- (1) Der für die Durchführung einer somatischen Gentherapie verantwortliche Arzt (§ 75 Abs. 1) hat den tatsächlichen Beginn einer somatischen Gentherapie, deren Verlauf, die Anzahl der behandelten Personen und den Zeitpunkt der Beendigung mittels Formblatt (Anlagen 3 und 4) der Behörde zu melden.

- (2) Der ärztliche Leiter der Krankenanstalt hat alle für die im Hinblick auf die Durchführung einer somatischen Gentherapie am Menschen wesentlichen Änderungen der sachlichen und personellen Ausstattung der zugelassenen Krankenanstalt unverzüglich der Behörde zu melden.

§ 79

(1) GTG: Register (neu eingeführt durch Novelle BGBl. I Nr. 127/2005)

Der Bundesminister für Gesundheit hat ein elektronisches Register einzurichten, in
welche

1

2 alle nach diesem Bundesgesetz zugelassenen somatischen Getherapien

3

zu verzeichnen sind.

Der Zugriff auf das Register ist öffentlich, aus Datenschutzgründen dürfen daher keine
identifizierbaren Angaben über behandelte Personen aufscheinen.

notwendige Angaben:

Name, Adresse, Homepage und Tätigkeitsbereich (Studentitel, Name des
Studienleiters, Indikation) der Einrichtung

Zusammenfassung

- Informationspflicht des durchführenden Arztes über alle potentiellen Risiken im Zusammenhang mit der Therapie für die Gesundheit des Patienten, des Personals oder der Umwelt
- wenn erforderlich: Beiziehung einer Person mit mindestens 2-jähriger Erfahrung in Sicherheitsfragen (Analog zur Arbeit mit GVO im geschlossenen System: „Beauftragter für die biologische Sicherheit“)
- unverzügliche Mitteilung an die Behörde
- Befassung des WAGG, Entscheidung der Behörde über Auflagen, Beschränkung oder Untersagung

Klinische Prüfungen zum Zweck der somatischen Gentherapie

§ 76. GTG: Die Vorschriften des Arzneimittelgesetzes über klinische Prüfungen gelten für die klinische Prüfung im Rahmen einer somatischen Gentherapie am Menschen mit der Maßgabe, dass eine solche klinische Prüfung nur durchgeführt werden darf, wenn hierfür eine Genehmigung gem. § 75 vorliegt.

§ 78 (2) GTG: Eine nach diesem Bundesgesetz durchgeführte klinische Prüfung gilt als klinische Prüfung nach dem Arzneimittelgesetz.

Danke für Ihre Aufmerksamkeit!

www.gentechnik.gv.at