

Verslag van de raadpleging van het publiek over het dossier B/BE/20/BVW4

Klinische proef 2019-002921-31 van de firma Pfizer: A PHASE 3, MULTICENTER, RANDOMIZED, DOUBLE-BLIND, PLACEBO-CONTROLLED STUDY TO EVALUATE THE SAFETY AND EFFICACY OF PF-06939926 FOR THE TREATMENT OF DUCHENNE MUSCULAR DYSTROPHY

Reglementaire context

De aanvraag voor een proef met genetisch gemodificeerde organismen (GGO's) werd ingediend overeenkomstig het koninklijk besluit van 21 februari 2005 tot reglementering van de doelbewuste introductie in het leefmilieu van genetisch gemodificeerde organismen of van producten die er bevatten (Belgisch Staatsblad van 24/02/2005, p. 7129).

Procedures inzake de raadpleging en het informeren van het publiek

Het publiek werd geconsulteerd van 23/09/2020 tot en met 23/10/2020.

De FOD Volksgezondheid en het FAGG hebben via een nieuwsbericht op hun website deze raadpleging aangekondigd.

In dit verslag wordt het resultaat van de raadpleging van het publiek voorgesteld (aantal opmerkingen, aard van de opmerkingen/vragen, ...).

Dit verslag maakt deel uit van het beslissingsdossier dat wordt voorgelegd aan de bevoegde federale ministers voor de (al dan niet) toelating van de proef.

Resultaat van de raadpleging

Er werden **6 formulieren** verstuurd via de website. Deze formulieren werden ingevuld in het Frans.

Uw vragen of opmerkingen over de risico-evaluatie (« bioveiligheid ») van het dossier (menselijke of dierlijke gezondheid, toxiciteit, allergeniciteit, nutritionele impact, leefmilieu, ...):

- (1) Bon.
- (2) Ces risques me semblent parfaitement acceptables.
- (3) L'évaluation des risques me paraît suffisamment documenté.
- (4) Dans un monde où l'on ne cesse de faire passer des lois dans le dos des citoyens pour leur pourrir la santé avec une pollution toujours de plus en plus importante, et bien sûr, pour remplir les poches des plus riches, utiliser la science à bon escient pour sauver la vie de jeunes garçons dont les capacités physiques se dégradent de jour en jour, me semble une excellente idée.
- (5) Pour moi, cette évaluation de risque en revient aux personnes spécialisées (scientifiques, médecins, etc) et non au grand public....

- (6) L'essai clinique de phase I a montré 2 adverse events qui ont été bien contrôlés.
Le présent essai prévoit un contrôle quotidien après l'injection unique et ce durant les 15 premiers jours pour éviter tout risque de complication.

Uw vragen of opmerkingen rond de toelatingsprocedure van het experiment voorzien in het dossier (wie evalueert het, hoe, criteria waarmee rekening werd gehouden, wie geeft toelating, voorwaarden voor toelating, betrokkenheid van het publiek, ...):

- (1) Bon.
- (2) Cette expérience devrait être autorisée. Le rapport bénéfice/risque pour la société est excellent.
- (3) Cet essai, comme tout essai thérapeutique, reprend amplement les informations de l'expérimentation: chaque patient qui sera potentiellement inclus ainsi que sa famille recevra toutes les informations nécessaires. Je ne comprends pas l'implication du grand public sur ce dossier.
- (4) À l'heure actuelle, personne ne prend aucun risque avec la santé des gens. Nous avons la chance de vivre au XXI^{ème} siècle et dans les régions du monde les plus développées! Les essais cliniques sont soumis à des lois extrêmement sécurisées, bien plus que pour la Modification Génétique de nos aliments.... Je me ferais plus de soucis pour les premières années d'études exploitées sur les animaux...
- (5) Dans un monde où on ne nous demande pas notre avis sur les produits alimentaires ou produits de beauté qu'on nous vend, mangeons et/ou mettons sur notre peau, on nous demande notre avis sur un essai clinique fait pour sauver la vie d'enfants. Je trouve ça limite. Je pense qu'il faut plutôt laisser ça aux professionnels de santé, scientifiques, comités d'éthiques, etc.
- (6) /

Uw algemene vragen of opmerkingen over dit dossier (voordelen, economische impact, vragen in verband met de commercialisering, ...):

- (1) Beaucoup d'espoir dans ces traitements innovants pour ces maladies génétiques à révélation infantile si graves, si invalidantes et si dramatiques. Je ne vois pas l'impact possible sur autrui ou sur l'environnement de tels OGM destinés à corriger des erreurs innées génétiques humaines et non pas destinés à modifier la nature. Je ne comprends dès lors pas pourquoi, par cette consultation populaire rendue obligatoire, on doit mettre en pâture à des non-initiés non concernés ces dossiers pleins d'espoirs. Les réglementations sont parfois trop complexes, trop contre-productive et potentiellement nuisibles aux vrais progrès humains.
- (2) Les AAV sont absolument sans conséquences pour les individus en dehors de ceux qui les reçoivent en traitement ou en essai. Il n'y a aucun risque pour la population, et nous parlons ici d'une maladie mortelle de l'enfant !!
- (3) Ces dossiers sont suffisamment construits pour que l'avis du grand public ne soit pas pris en compte.
- (4) /

- (5) Toutefois, si on demande l'avis du grand public, je me permets, en tant citoyenne, de dire que je suis d'accord pour cet essai et je trouve que c'est une excellente idée.
- (6) Pour les enfants atteints de DMD, la thérapie génique est le seul espoir de freiner la dégénérescence des muscles de façon suffisamment importante pour qu'ils gardent une autonomie.
Non seulement cela peut leur permettre de gagner 1 à ans de QALY mais aussi de réduire les frais considérables liés à la perte de la marche et à l'assistance respiratoire.

Conclusie :

Het resultaat van de raadpleging werd gecommuniceerd aan de Bioveiligheidsraad.

De Bioveiligheidsraad heeft geen antwoord geformuleerd omdat deze opmerkingen niet rechtstreeks betrekking hadden op bioveiligheid (zie advies BAC SC/1510/BAC/2021_0105).