

CAR-T representerer neste generasjon kreftbehandling og har vist lovende resultater innenfor behandling av leukemi, enkelte typer non-hodgkin lymfom, samt multippel myelom. Samtidig gir denne typer avanserte terapiene en rekke nye utfordringer, også regulatorisk.

CAR-T terapi forutsetter svært komplekse produksjonsprosesser der hver pasient representerer en separat «batch». Store individuelle variasjoner i startmateriale og usikkerhet om hvordan ulike kvalitetskriterier påvirker effekt/sikkerhet krever en pragmatisk tilnærming og utfordrer tradisjonell tenkning rundt legemidlers kvalitet.

Så langt er kliniske data for CAR-T produkter basert på enkeltarmstudier av kort varighet, med små og ofte svært selekterte pasientgrupper, samt bruk av surrogatendepunkter der effekt og sikkerhet blir sammenlignet med historiske data av til dels lav kvalitet. Dette er utfordrende for vurdering av nytte-risiko, og særlig ved beregning av kost-nytte.