



EUROPÄISCHE  
KOMMISSION

Brüssel, den 17.1.2018  
C(2018)391 (final)

**DURCHFÜHRUNGSBESCHLUSS DER KOMMISSION**

**vom 17.1.2018**

**über die Ausweisung des Arzneimittels "Rekombinantes Adeno-assoziierten viraler Vektor vom Serotyp 2/1 der für die Alpha- und Beta-Untereinheit der menschlichen Beta-Hexosaminidase kodiert" als Arzneimittel für seltene Leiden gemäß Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates**

(Text von Bedeutung für den EWR)

(NUR DER ENGLISCHE TEXT IST VERBINDLICH)

# DURCHFÜHRUNGSBESCHLUSS DER KOMMISSION

vom 17.1.2018

**über die Ausweisung des Arzneimittels "Rekombinantes Adeno-assoziierten viraler Vektor vom Serotyp 2/1 der für die Alpha- und Beta-Untereinheit der menschlichen Beta-Hexosaminidase kodiert" als Arzneimittel für seltene Leiden gemäß Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates**

(Text von Bedeutung für den EWR)

(NUR DER ENGLISCHE TEXT IST VERBINDLICH)

DIE EUROPÄISCHE KOMMISSION,

gestützt auf den Vertrag über die Arbeitsweise der Europäischen Union

gestützt auf die Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden<sup>1</sup>, insbesondere auf Artikel 5 Absatz 8 erster Satz,

gestützt auf den Antrag des Investors University of Cambridge vom 27. September 2017 nach Artikel 5 Absatz 1 der Verordnung (EG) Nr. 141/2000,

gestützt auf das vom Ausschuss für Arzneimittel für seltene Leiden am 7. Dezember 2017 angenommene befürwortende Gutachten der Europäischen Arzneimittel-Agentur, das am 15. Dezember 2017 bei der Kommission eingegangen ist,

in Erwägung nachstehender Gründe:

- (1) Die Gültigkeit des durch den Investor University of Cambridge vorgelegten Antrag für das Arzneimittel "Rekombinantes Adeno-assoziierten viraler Vektor vom Serotyp 2/1 der für die Alpha- und Beta-Untereinheit der menschlichen Beta-Hexosaminidase kodiert" wurde am 23. Oktober 2017 im Einklang mit Artikel 5 Absatz 4 der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 geprüft.
- (2) Das Arzneimittel "Rekombinantes Adeno-assoziierten viraler Vektor vom Serotyp 2/1 der für die Alpha- und Beta-Untereinheit der menschlichen Beta-Hexosaminidase kodiert" erfüllt die Kriterien für die Ausweisung gemäß Artikel 3 Absatz 1 der oben genannten Verordnung.
- (3) Daher sollte dem Antrag stattgegeben werden-

HAT FOLGENDEN BESCHLUSS ERLASSEN:

## *Artikel 1*

Das Arzneimittel "Rekombinantes Adeno-assoziierten viraler Vektor vom Serotyp 2/1 der für die Alpha- und Beta-Untereinheit der menschlichen Beta-Hexosaminidase kodiert" wird für das Anwendungsgebiet: Behandlung der GM2 Gangliosidose als Arzneimittel für seltene

---

<sup>1</sup> ABl. L 18 vom 22.1.2000, S. 1.

Leiden ausgewiesen. Dieses Arzneimittel wird unter der Nummer EU/3/17/1969 in das Gemeinschaftsregister für Arzneimittel für seltene Leiden eingetragen.

*Artikel 2*

Die Europäische Arzneimittel-Agentur hält allen Beteiligten die Stellungnahme des Ausschusses für Arzneimittel für seltene Leiden, auf die in diesem Beschluss verwiesen wird, zur Verfügung.

*Artikel 3*

Dieser Beschluss ist an University of Cambridge, Department of Medicine, Floor 5, Addenbroke's Hospital, Cambridge, CB2 0QQ, United Kingdom gerichtet.

Brüssel, den 17.1.2018

*Für die Kommission*

*Xavier PRATS MONNÉ*

*Generaldirektor*