



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/414357/2013
EMA/H/C/002522

Περίληψη EPAR για το κοινό

MACI

αυτόλογα καλλιεργημένα χονδροκύτταρα τα οποία εφαρμόζονται σε μήτρα

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του MACI. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο ο Οργανισμός αξιολόγησε το φάρμακο προτού εισηγηθεί τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στην Ευρωπαϊκή Ένωση και διατυπώσει συστάσεις σχετικά με τους όρους χρήσης του φαρμάκου. Δεν αποσκοπεί στην παροχή πρακτικών συμβουλών για τον τρόπο χρήσης του MACI.

Για πρακτικές πληροφορίες σχετικά με τη λήψη του MACI, οι ασθενείς πρέπει να συμβουλευούνται το φύλλο οδηγιών χρήσης ή να επικοινωνούν με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό τους.

Τι είναι το MACI και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το MACI είναι εμφύτευμα που χρησιμοποιείται για την αποκατάσταση ελλειμμάτων χόνδρου στο άκρο των οστών της άρθρωσης του γόνατος. Αποτελείται από κύτταρα χόνδρου που προέρχονται από τον ίδιο τον ασθενή πάνω σε μεμβράνη κολλαγόνου 14,5 cm², η οποία χρησιμοποιείται από τον χειρουργό για την πλήρωση των κενών στα οστά όπου παρατηρείται έλλειμμα χόνδρου.

Το MACI χρησιμοποιείται για την αποκατάσταση ελλειμμάτων ολικού πάχους με επιφάνεια από 3 έως 20 cm² σε ενήλικες που εμφανίζουν συμπτώματα (όπως πόνος και προβλήματα στην κίνηση του γόνατος).

Το MACI είναι «προϊόν μηχανικής ιστών», ένας τύπος φαρμάκου προηγμένης θεραπείας. Πρόκειται για φάρμακα τα οποία περιέχουν κύτταρα ή ιστούς που έχουν υποστεί επεξεργασία κατά τέτοιον τρόπο ώστε να μπορούν να χρησιμοποιηθούν για την αποκατάσταση, αναγέννηση ή αντικατάσταση ιστών.

Πώς χρησιμοποιείται το MACI;

Κατά το πρώτο στάδιο της θεραπείας, λαμβάνεται δείγμα από κύτταρα χόνδρου της άρθρωσης του ασθενούς, το οποίο και καλλιεργείται στο εργαστήριο. Στη συνέχεια, τα κύτταρα τοποθετούνται επάνω στη μεμβράνη κολλαγόνου. Περίπου 6 εβδομάδες αργότερα, ο χειρουργός διαμορφώνει τη μεμβράνη ώστε να καλύπτει την περιοχή του χόνδρου του γόνατος που έχει υποστεί βλάβη και στη συνέχεια την εμφυτεύει με χειρουργική επέμβαση. Για τη συγκράτηση του εμφυτεύματος στον χόνδρο



χρησιμοποιείται ένα είδος κόλλας γνωστής ως ινώδες στεγανοποιητικό, η οποία παρασκευάζεται από πρωτεΐνες πήξης του αίματος.

Το MACI πρέπει να χρησιμοποιείται μόνο από χειρουργό ειδικά εκπαιδευμένο και ειδικευμένο στη χρήση του προϊόντος. Το προϊόν χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή.

Πώς δρα το MACI;

Η δραστική ουσία του MACI είναι τα κύτταρα χόνδρου του ίδιου του ασθενούς, τα οποία εμφυτεύονται στο έλλειμμα χόνδρου στο γόνατο. Τα κύτταρα χρησιμοποιούνται για να καλύψουν το κενό χόνδρου. Με τον τρόπο αυτό τα μέρη του ιστού που έχουν υποστεί βλάβη αναπαράγονται, γεγονός που συμβάλλει στην αντιμετώπιση των συμπτωμάτων του ασθενούς, όπως ο πόνος και τα προβλήματα κίνησης του γόνατος.

Ποια είναι τα οφέλη του MACI σύμφωνα με τις μελέτες;

Διενεργήθηκε μία βασική μελέτη η οποία συνέκρινε τα αποτελέσματα του MACI με αυτά της χειρουργικής επέμβασης με την τεχνική μικροκαταγμάτων (χειρουργική επέμβαση που χρησιμοποιείται συχνά για τη θεραπεία ελλειμμάτων χόνδρου) όσον αφορά την ανακούφιση από τον πόνο και τη βελτίωση στη λειτουργία του γόνατος σε ασθενείς με ελλείμματα χόνδρου ολικού πάχους του γόνατος. Στη μελέτη μετείχαν 144 ενήλικες με ελλείμματα η επιφάνεια των οποίων κυμαινόταν από 3 έως 20 cm². Για τη μέτρηση του πόνου και της λειτουργίας του γόνατος χρησιμοποιήθηκε μια τυποποιημένη κλίμακα, γνωστή και ως βαθμολογία τραυματισμού και οστεοαρθρίτιδας γόνατος (KOOS), σύμφωνα με την οποία το 0 αντιστοιχεί σε υπερβολικά προβλήματα και το 100 αντιστοιχεί στην απουσία προβλημάτων. Η μελέτη κατέδειξε ότι το MACI είναι αποτελεσματικότερο από την επέμβαση με την τεχνική μικροκαταγμάτων στην ανακούφιση από τον πόνο και στη βελτίωση της λειτουργίας του γόνατος: δύο χρόνια μετά τη χειρουργική επέμβαση, οι ασθενείς που υποβλήθηκαν σε θεραπεία με MACI είχαν μέσο όρο βαθμολογίας 82 βαθμούς για τον πόνο και 61 βαθμούς για τη λειτουργία του γόνατος, σε σύγκριση με 71 και 49 βαθμούς αντίστοιχα που ήταν η βαθμολογία για τους ασθενείς που υποβλήθηκαν σε χειρουργική επέμβαση με την τεχνική μικροκαταγμάτων. Σε ό,τι αφορά τον πόνο και τη λειτουργία από κοινού, στους ασθενείς οι οποίοι υποβλήθηκαν σε θεραπεία με MACI παρατηρήθηκε βελτίωση κατά περίπου 45 βαθμούς σε σύγκριση με τους ασθενείς που υποβλήθηκαν σε χειρουργική επέμβαση με την τεχνική μικροκαταγμάτων, οι οποίοι εμφάνισαν βελτίωση κατά 35 περίπου βαθμούς.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το MACI;

Η υπερβολική ανάπτυξη των χόνδρων και η αποκόλληση του εμφυτεύματος ενδέχεται να παρατηρηθεί σε περίπου 1 έως 10 ασθενείς στους 1.000 που λαμβάνουν θεραπεία με MACI. Άλλοι σημαντικοί κίνδυνοι είναι αυτοί που σχετίζονται με τη χειρουργική επέμβαση καθαυτή, μεταξύ των οποίων η λοίμωξη, η φλεγμονή, το αίμα στις αρθρώσεις, η αρθροϊνωση (ουλώδης ιστός στις αρθρώσεις) και τα θρομβοεμβολικά επεισόδια (σχηματισμός θρόμβων αίματος). Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών που αναφέρθηκαν με το MACI περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Το MACI δεν πρέπει να χρησιμοποιείται σε ασθενείς με σοβαρή οστεοαρθρίτιδα (οίδημα και πόνος) στην περιοχή του γόνατος, φλεγμονώδη νόσο των αρθρώσεων ή σε ασθενείς με συγγενείς διαταραχές πήξης του αίματος που δεν έχουν διευθετηθεί. Επίσης, το MACI δεν πρέπει να χρησιμοποιείται σε ασθενείς στους οποίους οι πλάκες αύξησης στην περιοχή του μηριαίου οστού δεν έχουν κλείσει πλήρως. Οι πλάκες αύξησης κλείνουν (ή σταθεροποιούνται) όταν ένα παιδί γίνεται σκελετικά ώριμο και τα οστά του σταματούν να αναπτύσσονται.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το MACI;

Η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) του Οργανισμού επεσήμανε ότι η βασική μελέτη για το MACI κατέδειξε ότι ήταν αποτελεσματικότερο από τη χειρουργική επέμβαση με την τεχνική των μικροκαταγμάτων στη θεραπεία ασθενών με ελλείμματα χόνδρου στην περιοχή του γόνατος. Επιπλέον, οι ασθενείς που έλαβαν θεραπεία με MACI είχαν λιγότερες ανεπιθύμητες ενέργειες σε σύγκριση με τους ασθενείς που υποβλήθηκαν σε χειρουργική επέμβαση με την τεχνική των μικροκαταγμάτων.

Το MACI αξιολογήθηκε ως προς τη συμμόρφωσή του προς τις απαιτήσεις του κανονισμού της ΕΕ για τις προηγμένες θεραπείες. Σύμφωνα με τον κανονισμό, για να λάβουν άδεια κυκλοφορίας με ισχύ σε ολόκληρη την ΕΕ οι προηγμένες θεραπείες που κυκλοφορούν στην ΕΕ πρέπει να αξιολογούνται από τον EMA. Η επιτροπή επεσήμανε ότι οι θεραπείες όπως το MACI είναι ήδη καθιερωμένες στην κλινική πρακτική και τα αποτελέσματα της βασικής μελέτης συνάδουν με τα αποτελέσματα της επιστημονικής βιβλιογραφίας.

Ως εκ τούτου, η CHMP έκρινε ότι τα οφέλη του MACI υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκρισή του για χρήση στην ΕΕ.

Καθώς το MACI είναι φαρμακευτικό προϊόν προηγμένης θεραπείας, αξιολογήθηκε αρχικά από την Επιτροπή Προηγμένων Θεραπειών (CAT). Η εισήγηση της CHMP βασίζεται στην αρχική αξιολόγηση της CAT.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του MACI;

Καταρτίστηκε σχέδιο διαχείρισης κινδύνου προκειμένου να διασφαλιστεί ότι το MACI χρησιμοποιείται με τον ασφαλέστερο δυνατό τρόπο. Βάσει του σχεδίου αυτού, στην περίληψη χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης του MACI συμπεριλήφθηκαν πληροφορίες σχετικά με την ασφάλεια καθώς και τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς.

Επιπλέον, οι χειρουργοί και οι επαγγελματίες του τομέα της υγείας που πρόκειται να συμμετέχουν στη θεραπεία ασθενών με MACI θα λάβουν εκπαιδευτικό υλικό με λεπτομερή καθοδήγηση σχετικά με τον τρόπο χρήσης του MACI, καθώς και πληροφορίες σχετικά με τους κινδύνους που συνδέονται με αυτό και την ανάγκη παρακολούθησης των ασθενών που υποβάλλονται σε θεραπεία με MACI.

Λοιπές πληροφορίες για το MACI

Την/Στις 27 Ιουνίου 2013 η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το MACI.

Η EPAR του MACI διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το MACI, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 06-2013.