



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/1380/2018
EMA/H/C/004258

Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

Alofisel

darvadstrocelum

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro přípravek Alofisel. Objasňuje, jakým způsobem agentura vyhodnotila tento přípravek, aby mohla doporučit vydání rozhodnutí o registraci přípravku v EU a podmínky jeho používání. Účelem tohoto dokumentu není poskytnout praktické rady o tom, jak přípravek Alofisel používat.

Pokud jde o praktické informace o používání přípravku Alofisel, pacienti by si měli přečíst příbalovou informaci nebo se obrátit na svého lékaře či lékárníka.

Co je Alofisel a k čemu se používá?

Alofisel je léčivý přípravek, který se používá k léčbě komplexních análních píštělí u dospělých s Crohnovou nemocí (zánětlivé onemocnění střev), pokud konvenční nebo biologický léčivý přípravek neúčinkuje dostatečně dobře.

Píštěle jsou abnormální průchody mezi spodní částí střeva a kůží v blízkosti řitního otvoru. Komplexní píštěle jsou píštěle s několika abnormálními průchody a otvory nebo s průchody, které zasahují hluboko dovnitř těla nebo u kterých se vyskytují další komplikace, jako je hromadění hnisu.

Přípravek Alofisel obsahuje léčivou látku darvadstrocel, která obsahuje kmenové buňky získané z tukové tkáně dospělých dárců. Přípravek Alofisel je druh léčivého přípravku pro moderní terapie označovaný jako „přípravek pro somatobuněčnou terapii“. Jedná se o druh léčivého přípravku obsahující buňky či tkáň, které byly upraveny tak, aby je bylo možné použít k léčbě, diagnóze nebo prevenci onemocnění.

Jelikož počet pacientů s anální píštělí je nízký, toto onemocnění se považuje za zřídka se vyskytující a přípravek Alofisel byl dne 8. října 2009 označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“.



Jak se přípravek Alofisel používá?

Přípravek Alofisel by měl být podáván pouze odbornými lékaři, kteří mají zkušenosti s diagnostikou a léčbou onemocnění, k jehož léčbě je určen. Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis.

Přípravek Alofisel se podává pouze jednorázově. Pacientovi se podá anestetikum (buď k uspání pacienta, nebo znecitlivění léčené oblasti). Po přípravě píštělí pro léčbu na operačním sále se obsah dvou injekčních lahviček (každá obsahující 30 milionů buněk) injekčně aplikuje do oblasti kolem vnitřních otvorů a dvě další injekční lahvičky skrze vnější otvory do stěn píštěle.

Podrobné informace jsou uvedeny v příbalové informaci.

Jak přípravek Alofisel působí?

Přípravek Alofisel je tvořen „mezenchymálními kmenovými buňkami“ z tukové tkáně dárce. Pro výrobu tohoto léčivého přípravku jsou buňky vybrány a kultivovány v laboratoři, aby se zvýšil jejich počet. Při injekčním podání přípravku do stěn píštěle pomáhají tyto buňky zmírnit zánět a podporovat růst nových tkání. To vede k zhojení a uzavření píštěle.

Jaké přínosy přípravku Alofisel byly prokázány v průběhu studií?

Z jedné hlavní studie zahrnující 212 pacientů s Crohnovou nemocí a komplexními análními píštělemi vyplývá, že přípravek Alofisel je 24 týdnů po léčbě účinnější než placebo (neúčinný přípravek). Léčba konvenčními nebo biologickými léčivými přípravky u těchto pacientů neúčinkovala. Hlavním měřítkem účinnosti, zvaným „kombinovaná remise“, bylo uzavření abnormálních vnějších otvorů spolu s nepřítomností vnitřních otvorů větších než 2 cm vyplněných tekutinou (protože je pravděpodobné, že v jejich důsledku dojde znovu k otevření píštěle). U pacientů léčených přípravkem Alofisel došlo ke kombinované remisi u téměř 50 % (53 ze 107) pacientů ve srovnání se 34 % (36 ze 105) pacientů, kteří dostávali placebo.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Alofisel?

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Alofisel (které mohou postihnout až 1 osobu z 10) jsou anální absces (zduřelá oblast s nahromaděným hnisem), proktalgie (bolest v oblasti konečníku a řiti), anální píštěl a bolest během léčby.

Přípravek Alofisel nesmí být používán u pacientů s přecitlivělostí (alergií) na bovinní sérum (čirá tekutina v krvi skotu) nebo na kteroukoli další složku přípravku Alofisel.

Na základě čeho byl přípravek Alofisel schválen?

Evropská agentura pro léčivé přípravky rozhodla, že přínosy přípravku Alofisel převyšují jeho rizika, a proto doporučila, aby byl schválen k použití v EU. Přípravek Alofisel je hodnotný z hlediska léčby komplexních análních píštělí, které nereagují na jiné typy léčby. Údaje o bezpečnosti přípravku Alofisel jsou omezené, poskytují však dostatek informací o charakteru nežádoucích účinků.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Alofisel?

Společnost, která přípravek Alofisel dodává na trh, poskytne zdravotnickým pracovníkům vzdělávací materiály o tom, jak léčivý správně přípravek podávat, a o možnosti nákazy pacienta infekcí. Společnost také dokončí studii, jejímž cílem je pokračovat ve shromažďování informací o účinnosti a bezpečnosti přípravku Alofisel.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla rovněž zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Alofisel, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Další informace o přípravku Alofisel

Plné znění zprávy EPAR pro přípravek Alofisel je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Další informace o léčbě přípravkem Alofisel naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Shrnutí stanoviska k přípravku Alofisel vydaného Výborem pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).