



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR — sammendrag for offentligheden

Alofisel

darvadstrocel

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Alofisel. Det forklarer, hvordan agenturet vurderede lægemidlet for at kunne anbefale udstedelse af en markedsføringstilladelse i EU og fastlægge anvendelsesbetingelserne. Det er ikke en praktisk vejledning i, hvordan Alofisel bør anvendes.

Hvis du ønsker praktisk vejledning om anvendelsen af Alofisel, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

Hvad er Alofisel, og hvad anvendes det til?

Alofisel er et lægemiddel, der anvendes til at behandle komplekse analfistler hos voksne med Crohns sygdom (en betændelsestilstand i tarmen), når et konventionelt eller biologisk lægemiddel ikke har virket godt nok.

Fistler er unormale kanaler mellem de nedre dele af endetarmen og huden nær endetarmsåbningen. Fistler er komplekse, når der er tale om adskillige kanaler og åbninger, når kanalerne går dybt ind i kroppen, eller når der er andre komplikationer som f.eks. pusansamlinger.

Alofisel indeholder det aktive stof darvadstrocel, der består af stamceller, som er taget fra fedtvæv hos voksne donorer. Alofisel er et lægemiddel til avanceret terapi, som kaldes et "somatisk celleterapiprodukt". Denne type lægemiddel indeholder celler eller væv, der er blevet ændret, så de kan anvendes til at helbrede, diagnosticere eller forebygge en sygdom.

Da antallet af patienter med analfistler er lavt, betragtes sygdommen som "sjælden", og Alofisel blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 8. oktober 2009.



Hvordan anvendes Alofisel?

Alofisel bør kun gives af speciallæger med erfaring i diagnosticering og behandling af den lidelse, som lægemidlet er rettet mod. Lægemidlet udleveres kun efter recept.

Alofisel skal kun administreres én gang. Patienten får et bedøvelsesmiddel (helbedøvelse eller lokalbedøvelse af behandlingsområdet). Når fistlerne er blevet klargjort til behandling på en operationsstue, indsprøjtes indholdet af to hætteglas (hver på 30 mio. celler) omkring de indre åbninger, mens indholdet af to andre hætteglas indsprøjtes i fistelvæggene gennem de ydre åbninger.

De nærmere oplysninger fremgår af indlægssedlen.

Hvordan virker Alofisel?

Alofisel består af mesenkymale stamceller fra fedtvævet fra en donor. Lægemidlet fremstilles ved at udvælge og dyrke cellerne i et laboratorium for at øge mængden af dem. Når cellerne sprøjtes ind i fistelvæggene, kan de medvirke til at reducere betændelse og understøtte vækst af nyt væv. Dette får fistlen til at hele og lukke sig.

Hvilke fordele viser undersøgelserne, at der er ved Alofisel?

Det er i en hovedundersøgelse med 212 patienter med Crohns sygdom og komplekse analfistler påvist, at Alofisel er mere effektivt end placebo (ikke-aktivt stof) 24 uger efter behandlingen. Behandling med konventionelle eller biologiske lægemidler havde ikke virket hos disse patienter. Virkningen blev hovedsageligt målt på "kombineret remission", som omfatter lukning af unormale eksterne åbninger samt fravær af indre kanaler, der er større end 2 cm og fyldt med væske (eftersom de kan få fistlen til at åbnes igen). Næsten 50 % (53 ud af 107) af de patienter, der blev behandlet med Alofisel, opnåede kombineret remission sammenholdt med 34 % af de patienter (36 ud af 105), der fik placebo.

Hvilke risici er der forbundet med Alofisel?

De hyppigste bivirkninger ved Alofisel (som kan forekomme hos op til 1 ud af 10 patienter) er bylder i endetarmen (hævet område med pusansamling), smerter i endetarmen eller ved endetarmsåbningen, fistler ved endetarmen og smerter under behandlingen.

Alofisel må ikke anvendes hos patienter med overfølsomhed for bovin serum (den klare væske i blod fra kvæg) eller nogen af indholdsstofferne i Alofisel.

Hvorfor blev Alofisel godkendt?

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede, at fordelene ved Alofisel opvejer risiciene, og anbefalede, at det godkendes til anvendelse i EU. Alofisel er gavnligt ved behandling af komplekse analfistler, der ikke har reageret godt på andre behandlinger. Data for sikkerheden ved Alofisel er begrænsede, men de giver tilstrækkelige oplysninger om bivirkningsmønstret.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Alofisel?

Den virksomhed, der markedsfører Alofisel, skal udarbejde undervisningsmateriale til sundhedspersoner vedrørende korrekt administration af lægemidlet og risikoen for at smitte patienten med en infektion. Virksomheden skal også gennemføre en undersøgelse med henblik på indsamling af oplysninger om virkningen og sikkerheden ved Alofisel.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Alofisel.

Andre oplysninger om Alofisel

Den fuldstændige EPAR for Alofisel findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Alofisel, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Alofisel findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).