



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

Alofisel

darvadstrocel

Ez a dokumentum az Alofisel-re vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak az Alofisel alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben az Alofisel alkalmazásával kapcsolatban gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

Milyen típusú gyógyszer az Alofisel és milyen betegségek esetén alkalmazható?

Az Alofisel-t a Crohn-betegségben (egy gyulladós bélbetegségben) szenvedő felnőtteknél alkalmazzák komplex végbélsipolyok kezelésére, amennyiben a hagyományos vagy biológiai gyógyszerek hatása nem kielégítő.

A sipolyok kóros járatok a vastagbél alsó részei és a végbélnyílás körüli bőr között. A komplex sipolyok esetében több kóros járat és nyílás van, vagy a járat mélyen a testbe hatol, vagy más szövődmények is jelentkeznek, mint például a genny felgyülemelése.

Az Alofisel hatóanyaga a darvadstrocel, amely felnőtt donorok zsírszövetéből kinyert őssejteket tartalmaz. Az Alofisel a fejlett terápiás gyógyszerek egy típusa, amelyet „szomatikus sejterápiás gyógyszernek” neveznek. Ez a gyógyszertípus olyan sejteket vagy szöveteket tartalmaz, amelyeket úgy módosítottak, hogy felhasználhatók legyenek egy betegség kezelésére, diagnosztizálására vagy megelőzésére.

Mivel a végbélsipolyban szenvedő betegek száma alacsony, a betegség „ritkának” minősül, ezért az Alofisel-t 2009. október 8-án „ritka betegség elleni gyógyszerrel” (orphan drug) minősítették.

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



Hogyan kell alkalmazni az Alofisel-t?

Az Alofisel beadását kizárólag olyan szakorvosok végezhetik, akik tapasztaltak azon állapotok diagnosztizálásában és kezelésében, amelyek esetében a készítményt alkalmazzák. A gyógyszer csak receptre kapható.

Az Alofisel-t csak egyszer adják be. A beteg érzéstelenítőt kap (a beteget elaltatják vagy a kezelt területet érzéstelenítik). Miután a sipolyt egy műtőben előkészítik a kezelésre, kettő (egyenként 30 millió sejtet tartalmazó) injekciós üveg tartalmát fecskendezik a belső nyílások köré, további két injekciós üveg tartalmát pedig a külső nyílásokon át a sipoly falába.

További információ a betegtájékoztatóban található.

Hogyan fejti ki hatását az Alofisel?

Az Alofisel a donor zsírszövetéből származó „mezenhimális őssejtekből” áll. A gyógyszer előállításához a sejteket egy laboratóriumban kiválogatják és tenyésztik a számuk növelése érdekében. A sipoly falába fecskendezve ezek a sejtek képesek elősegíteni a gyulladás csökkentését és az új szövet növekedését. Ez segíti a sipoly gyógyulását és záródását.

Milyen előnyei voltak az Alofisel alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy fő vizsgálat – amelyben 212, Crohn-betegségben és komplex végbélsipolyban szenvedő beteg vett részt – azt állapította meg, hogy az Alofisel 24 héttel a kezelés után hatásosabb volt, mint a placebo (hatóanyag nélküli kezelés). A hagyományos vagy biológiai gyógyszerek korábban nem voltak hatásosak ezeknél a betegeknél. A hatásosság fő mércéje, az úgynevezett „kombinált remisszió” volt, ami azt jelenti, hogy a kóros külső nyílások záródnak, és egyúttal nincsenek jelen 2 cm-nél hosszabb, folyadékkal telt belső járatok (mivel ezek valószínűleg sipoly ismételt kialakulásához vezetnek). Az Alofisel-lel kezelt betegek körében a betegek mintegy 50%-ánál jelentkezett kombinált remisszió (107-ből 53-nál), míg ez az érték a placebóval kezelt betegeknél 34% volt (105-ből 36-nál).

Milyen kockázatokkal jár az Alofisel alkalmazása?

Az Alofisel leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a végbéltályog (duzzadt terület gennygyülemmel), végbélfájdalom, végbélsipoly és fájdalom a kezelés során.

Az Alofisel nem alkalmazható olyan betegeknél, akik túlérzékenyek (allergiások) a szarvasmarha szérumra (a szarvasmarhák vérének átlátszó, folyékony összetevőjére) vagy az Alofisel bármely más összetevőjére.

Miért engedélyezték az Alofisel forgalomba hozatalát?

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az Alofisel alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta a gyógyszer EU-ban való alkalmazásának jóváhagyását. Az Alofisel értékes a más kezelésekre nem megfelelően reagáló, komplex végbélsipolyok kezelésében. Az Alofisel biztonságosságára vonatkozó adatok korlátozottak, de elegendő információval szolgálnak a mellékhatások jellemzőiről.

Milyen intézkedések vannak folyamatban az Alofisel biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

Az Alofisel-t forgalmazó vállalat oktató anyagot biztosít az egészségügyi szakemberek számára a gyógyszer helyes beadásának módjáról és arról, hogy fennáll a fertőzés betegre történő átvitelének lehetősége. A vállalat egy vizsgálatot is végez, hogy további információt gyűjtsön az Alofisel hatásosságáról és biztonságosságáról.

Az Alofisel biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

Az Alofisel-lel kapcsolatos egyéb információ

Az Alofisel-re vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Amennyiben az Alofisel-lel történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

A ritka betegségek gyógyszereivel foglalkozó bizottság Alofisel-re vonatkozó véleményének összefoglalója az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](https://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).