



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Streszczenie EPAR dla ogółu społeczeństwa

Alofisel

darwadstrocel

Niniejszy dokument jest streszczeniem Europejskiego Publicznego Sprawozdania Oceniającego (EPAR) dotyczącego leku Alofisel. Wyjaśnia, jak Agencja oceniła lek w celu przyjęcia zaleceń w sprawie przyznania pozwolenia na dopuszczenie produktu do obrotu w UE oraz warunków jego stosowania. Jego celem nie jest zapewnienie praktycznej porady dotyczącej stosowania leku Alofisel.

W celu uzyskania praktycznych informacji na temat stosowania leku Alofisel należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Co to jest produkt Alofisel i w jakim celu się go stosuje?

Alofisel jest lekiem stosowanym w leczeniu złożonych przetok okołoodbytniczych u dorosłych pacjentów z chorobą Leśniowskiego-Crohna (stan zapalny jelita), u których leczenie z zastosowaniem leku konwencjonalnego lub biologicznego nie podziało wystarczająco dobrze.

Przetoki to nieprawidłowe drogi przechodzenia między dolnymi odcinkami jelita a skórą w pobliżu odbytnicy. Złożone przetoki charakteryzują się wieloma nieprawidłowymi drogami przechodzenia i otworami, drogami przechodzenia sięgającymi głęboko do wnętrza ciała lub obecnością innych komplikacji takich jak gromadzenie się ropy.

Alofisel zawiera substancję czynną darwadstrocel, w skład której wchodzi komórki macierzyste usunięte z tkanki tłuszczowej dorosłych dawców. Alofisel jest rodzajem leku do zaawansowanego leczenia, zwanym „produktem terapii komórek somatycznych”. Jest to rodzaj leku zawierającego komórki lub tkanki zmodyfikowane w taki sposób, aby można je było stosować do leczenia i diagnozowania chorób lub zapobiegania im.

Ze względu na małą liczbę pacjentów z przetoką okołoodbytniczą choroba ta jest uważana za rzadko występującą, zatem w dniu 8 października 2009 r. produkt Alofisel uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach).



Jak stosować produkt Alofisel?

Alofisel powinien być podawany wyłącznie przez lekarzy specjalistów posiadających doświadczenie w diagnozowaniu i leczeniu chorób, w których wskazane jest jego stosowanie. Lek wydaje się wyłącznie z przepisu lekarza.

Lek Alofisel podaje się tylko jeden raz. Pacjentowi podaje się środek znieczulający (albo w celu uśpienia pacjenta, albo znieczulenia leczonego miejsca). Po przygotowaniu przetok do zabiegu w sali operacyjnej zawartość dwóch fiolek (z których każda zawiera 30 milionów komórek) wstrzykuje się wokół otworów wewnętrznych, a zawartość dwóch kolejnych fiolek wstrzykuje się przez otwory zewnętrzne do ścianek przetoki.

Więcej informacji znajduje się w ulotce dla pacjenta.

Jak działa produkt Alofisel?

Alofisel otrzymuje się z „mezenchymalnych komórek macierzystych” pobranych z tkanki tłuszczowej dawcy. W celu sporządzenia leku wyselekcjonowane komórki namnaża się w laboratorium, aby zwiększyć ich liczbę. Po wstrzyknięciu do ścianek przetoki komórki te mogą być pomocne w zmniejszeniu nasilenia stanu zapalnego i wspieraniu wzrostu nowej tkanki. W ten sposób pobudza się gojenie i zamknięcie przetoki.

Jakie korzyści ze stosowania produktu Alofisel zaobserwowano w badaniach?

W jednym badaniu głównym z udziałem 212 pacjentów z chorobą Leśniowskiego-Crohna i złożonymi przetokami okołoodbytniczymi stwierdzono, że po upływie 24 tygodni od zakończenia leczenia produkt Alofisel okazał się bardziej skuteczny niż placebo (leczenie pozorowane). U tych pacjentów leczenie z zastosowaniem leków konwencjonalnych lub biologicznych okazało się nieskuteczne. Głównym kryterium oceny skuteczności, zwanym „łączną remisją”, było zamknięcie nieprawidłowych otworów zewnętrznych w połączeniu z brakiem wewnętrznych dróg przechodzenia o wymiarach większych niż 2 cm, wypełnionych płynem (gdyż mogą one powodować ponowne otwarcie przetoki). W grupie pacjentów leczonych produktem Alofisel łączna remisja wystąpiła u prawie 50% pacjentów (53 ze 107), w porównaniu z 34% u pacjentów (36 ze 105) otrzymujących placebo.

Jakie ryzyko wiąże się ze stosowaniem produktu Alofisel?

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Alofisel (mogące wystąpić maksymalnie u 1 osoby na 10) to: ropień okołoodbytniczy (miejscowy obrzęk z gromadzącą się ropą), ból w okolicy odbytu oraz przetoka okołoodbytnicza i ból w trakcie leczenia.

Leku Alofisel nie można stosować u pacjentów z reakcjami nadwrażliwości (alergicznymi) na surowicę bydlęcą (przejrzysty płyn z krwi bydlęcej) lub na inne składniki leku.

Na jakiej podstawie zatwierdza się produkt Alofisel?

Europejska Agencja Leków uznała, że korzyści płynące ze stosowania produktu Alofisel przewyższają ryzyko, i zaleciła przyznanie pozwolenia na dopuszczenie go do obrotu w UE. Alofisel jest cennym lekiem w leczeniu złożonych przetok okołoodbytniczych u pacjentów, u których nie wystąpiła wystarczająco dobra odpowiedź na inne leczenie. Dane dotyczące bezpieczeństwa produktu Alofisel są ograniczone, ale zawierają wystarczającą ilość informacji na temat wzorca działań niepożądanych.

Jakie środki są podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania produktu Alofisel?

Firma wprowadzająca lek Alofisel do obrotu zapewni personelowi medycznemu materiały edukacyjne informujące o prawidłowym podawaniu leku i możliwości przeniesienia zakażenia na pacjenta. Ponadto firma ukończy badanie mające na celu dalsze gromadzenie informacji na temat skuteczności i bezpieczeństwa leku Alofisel.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Alofisel w charakterystyce produktu leczniczego i ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Inne informacje dotyczące produktu Alofisel

Pełne sprawozdanie EPAR dotyczące produktu Alofisel znajduje się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. W celu uzyskania dodatkowych informacji dotyczących leczenia produktem Alofisel należy zapoznać się z ulotką dla pacjenta (także część EPAR) bądź skontaktować się z lekarzem lub farmaceutą.

Streszczenie opinii Komitetu ds. Sierocych Produktów Leczniczych dotyczącej produktu Alofisel znajduje się na stronie internetowej Agencji: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.