



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Resumo do EPAR destinado ao público

---

### Alofisel

darvadstrocel

Este é um resumo do Relatório Público Europeu de Avaliação (EPAR) relativo ao Alofisel. O seu objetivo é explicar o modo como a Agência avaliou o medicamento a fim de recomendar a sua autorização na UE, bem como as suas condições de utilização. Não tem por finalidade fornecer conselhos práticos sobre a utilização do Alofisel.

Para obter informações práticas sobre a utilização do Alofisel, os doentes devem ler o Folheto Informativo ou contactar o seu médico ou farmacêutico.

### O que é o Alofisel e para que é utilizado?

O Alofisel é um medicamento utilizado no tratamento de fístulas anais complexas em adultos com doença de Crohn (uma doença inflamatória do intestino), quando um medicamento convencional ou biológico não funcionou suficientemente bem.

As fístulas são passagens anormais entre as partes inferiores do intestino e a pele junto ao ânus. As fístulas complexas são fístulas com várias passagens e aberturas anormais ou com passagens que penetram em profundidade no corpo, ou quando existem outras complicações como a acumulação localizada de pus.

O Alofisel contém a substância ativa darvadstrocel, que inclui células estaminais removidas do tecido gordo de doadores adultos. O Alofisel é um tipo de medicamento de terapia avançada denominado medicamento de terapia com células somáticas. Trata-se de um tipo de medicamento que contém células ou tecidos que foram sujeitos a manipulação de forma a poderem ser usados para tratamento, diagnóstico ou prevenção de uma doença.

Dado o número de doentes afetados por fístulas anais ser reduzido, a doença é considerada rara, pelo que o Alofisel foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 8 de outubro de 2009.

---

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](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European Union



## **Como se utiliza o Alofisel?**

O Alofisel deve ser administrado apenas por médicos especialistas com experiência no diagnóstico e tratamento da doença para a qual é utilizado. O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica.

O Alofisel é administrado apenas uma vez. O doente recebe um anestésico (para o colocar a dormir ou para adormecer a área de tratamento). Após a preparação das fístulas para o tratamento numa sala de operações, é injetado o conteúdo de dois frascos (cada um contendo 30 milhões de células) em torno das aberturas internas, seguindo-se a injeção do conteúdo de mais dois frascos através das aberturas externas para as paredes das fístulas.

Para mais informações, consulte o Folheto Informativo.

## **Como funciona o Alofisel?**

O Alofisel é composto por «células estaminais mesenquimais» colhidas do tecido gordo de um dador. Para produzir este medicamento, as células são selecionadas e cultivadas em laboratório para aumentar o seu número. Quando injetadas nas paredes da fístula, estas células podem ajudar a reduzir a inflamação e a promover o crescimento de novos tecidos. Este processo estimula a fístula a cicatrizar e a fechar.

## **Quais os benefícios demonstrados pelo Alofisel durante os estudos?**

Um estudo principal, que incluiu 212 doentes com doença de Crohn e fístulas anais complexas, verificou que o Alofisel era mais eficaz do que o placebo (um tratamento simulado) 24 semanas após o tratamento. O tratamento com medicamentos convencionais ou biológicos não tinha funcionado nestes doentes. O principal parâmetro de eficácia, denominado «remissão combinada», foi o encerramento de aberturas externas anormais em conjunto com a ausência de passagens internas maiores do que 2 cm preenchidas com líquido (uma vez que são suscetíveis de voltar a abrir a fístula). Dos doentes tratados com o Alofisel, a remissão combinada ocorreu em quase 50% dos doentes (53 de 107), em comparação com 34% dos doentes (36 de 105) que receberam o placebo.

## **Quais são os riscos associados ao Alofisel?**

Os efeitos secundários mais frequentes associados ao Alofisel (que podem afetar 1 em cada 10 pessoas) são abscesso anal (área inchada com acumulação de pus), proctalgia (dor anal), fístula anal e dor durante o tratamento.

O Alofisel é contraindicado em doentes com hipersensibilidade (alergia) ao soro bovino (o líquido claro no sangue de bovinos) ou a qualquer um dos componentes do Alofisel.

## **Por que foi aprovado o Alofisel?**

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios do Alofisel são superiores aos seus riscos e recomendou a sua aprovação para utilização na UE. O Alofisel é importante no tratamento de fístulas anais complexas que não responderam bem a outros tratamentos. Os dados sobre a segurança do Alofisel são limitados, mas fornecem informações suficientes sobre o padrão de efeitos secundários.

## **Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz do Alofisel?**

A empresa que comercializa o Alofisel fornecerá material educacional para os profissionais de saúde com informações sobre a forma de administrar corretamente o medicamento e sobre a possibilidade de transmitir uma infeção ao doente. A empresa também irá concluir um estudo para continuar a recolher informações sobre a eficácia e a segurança do Alofisel.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz do Alofisel.

## **Outras informações sobre o Alofisel**

O EPAR completo relativo ao Alofisel pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Para mais informações sobre o tratamento com o Alofisel, leia o Folheto Informativo (também parte do EPAR) ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

O resumo do parecer emitido pelo Comité dos Medicamentos Órfãos para o Alofisel pode ser consultado no sítio Internet da Agência em: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).