



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Súhrn správy EPAR pre verejnosť

---

### Alofisel

darvadstrocel

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Alofisel. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila liek s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho používania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať liek Alofisel.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní lieku Alofisel, nájdu ich v písomnej informácii pre používateľa alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

### Čo je liek Alofisel a na čo sa používa?

Alofisel je liek, ktorý sa používa na liečenie komplexných análnych fistúl u dospelých pacientov s Crohnovou chorobou (zápalové ochorenie čreva), ak konvenčná alebo biologická liečba dosť dobre nezaberá.

Fistuly sú abnormálne kanáliky medzi nižšie položenými časťami čreva a pokožkou pri konečníku. Komplexné fistuly sú také, pri ktorých sa vyskytuje viacero abnormálnych kanálikov a otvorov alebo kanáliky vedúce hlboko do tela alebo pri ktorých sa prejavujú ďalšie komplikácie ako hromadenie hnisu.

Liek Alofisel obsahuje účinnú látku darvadstrocel, ktorá obsahuje kmeňové bunky odobraté z tukového tkaniva dospelých darcov. Je to druh lieku na inovatívnu liečbu a označuje sa ako tzv. liek na somatickú bunkovú terapiu. Ide o druh lieku, ktorý obsahuje bunky alebo tkanivá, ktoré boli zmenené tak, aby sa mohli použiť na liečbu, diagnostiku alebo prevenciu choroby.

Keďže je počet pacientov s análnymi fistulami nízky, toto ochorenie sa považuje za zriedkavé, a preto bol liek Alofisel 8. októbra 2009 označený za liek na ojedinelé ochorenie.



## **Ako sa liek Alofisel používa?**

Liek Alofisel majú podávať len špecializovaní lekári so skúsenosťami s diagnostikou a liečbou ochorenia, pri ktorom sa používa. Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.

Liek Alofisel sa podáva len raz. Pacientovi sa podá anestetikum (buď na uspanie pacienta alebo znecitlivenie ošetrovanej plochy). Po príprave fistúl na ošetrenie v operačnej sále sa obsah dvoch liekoviek (každá obsahuje 30 miliónov buniek) vstrekuje do okolia vnútorného otvoru a dve ďalšie liekovky cez vonkajšie otvory do stien fistuly.

Viac informácií sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

## **Akým spôsobom liek Alofisel účinkuje?**

Liek Alofisel pozostáva z mezenchymálnych kmeňových buniek z tukového tkaniva darcu. Na výrobu tohto lieku sa bunky vyberú a kultivujú v laboratóriu, aby sa zvýšil ich počet. Keď sa tieto vstreknú do stien fistuly, môžu pomôcť zmierniť zápal a podporiť rast nového tkaniva. To podporuje zahojenie a uzavretie fistuly.

## **Aké prínosy lieku Alofisel boli preukázané v štúdiách?**

V jednej hlavnej štúdii na 212 pacientoch s Crohnovou chorobou a komplexnými análnymi fistulami sa zistilo, že Alofisel je po 24 týždňoch po liečbe účinnejší ako placebo (zdanlivý liek). Konvenčná ani biologická liečba u týchto pacientov nezaberali. Hlavné meradlo účinnosti, nazývané kombinovaná remisia, bolo uzavretie abnormálnych vonkajších otvorov spojené s neprítomnosťou vnútorných kanálikov dlhších ako 2 cm naplnených tekutinou (keďže je pravdepodobné, že takéto kanáliky fistulu opäť otvorila). Kombinovaná remisia nastala u takmer 50 % pacientov liečených liekom Alofisel (53 zo 107) v porovnaní s 34 % pacientov (36 zo 105), ktorým bolo podané placebo.

## **Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Alofisel?**

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Alofisel (ktoré môžu postihnúť až 1 osobu z 10) sú análne abscesy (opuchy s hromadením hnisu), proktalgia (bolesť konečníka), análna fistula a bolesť počas liečby.

Liek Alofisel sa nesmie používať u pacientov s hypersenzitivitou (alergiou) na hovädzie sérum (číra kvapalina z krvi dobytky) alebo na akékoľvek ďalšie zložky lieku Alofisel.

## **Prečo bol liek Alofisel povolený?**

Európska agentúra pre lieky rozhodla, že prínosy lieku Alofisel sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním, a odporučila udeliť povolenie na jeho používanie v EÚ. Liek Alofisel je užitočný na liečbu komplexných análnych fistúl, ktoré dobre neodpovedali na iné liečby. Údaje o bezpečnosti lieku Alofisel sú obmedzené, ale poskytujú dostatok informácií o profile vedľajších účinkov.

## **Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Alofisel?**

Spoločnosť, ktorá liek Alofisel uvádza na trh, poskytne pre zdravotníckych pracovníkov vzdelávacie materiály o správnom podávaní lieku a o možnosti nakazenia pacienta infekciou. Spoločnosť takisto dokončí štúdiu, aby ďalej zbierala informácie o účinnosti a bezpečnosti lieku Alofisel.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Alofisel boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

## Ďalšie informácie o lieku Alofisel

Úplné znenie správy EPAR o lieku Alofisel sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Alofisel, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľa (súčasť správy EPAR) alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnika.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Alofisel sa nachádza na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).