



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Alofisel

darvadstrocel

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Alofisel. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Alofisel ska användas.

Praktisk information om hur Alofisel ska användas finns i bipacksedeln. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Vad är Alofisel och vad används det för?

Alofisel är ett läkemedel som används för att behandla komplexa analfistlar hos vuxna med Crohns sjukdom (en inflammatorisk sjukdom i tarmarna) när ett konventionellt eller biologiskt läkemedel inte haft tillräcklig effekt.

Fistlar är onormala passager mellan nedre delen av tarmen och huden nära ändtarmen. Komplexa fistlar är fistlar med flera onormala passager och öppningar, eller passager som går djupt in i kroppen, eller där det finns andra komplikationer som t.ex. ansamling av var.

Alofisel innehåller den aktiva substansen darvadstrocel, som består av stamceller som hämtats från fettvävnaden hos vuxna donatorer. Alofisel är en typ av läkemedel för avancerad terapi som kallas "somatisk cellterapiprodukt". Det är en typ av läkemedel som innehåller celler eller vävnader som har modifierats så att de kan användas för att bota, diagnostisera eller förebygga sjukdom.

Eftersom antalet patienter med analfistlar är litet betraktas sjukdomen som sällsynt och Alofisel klassificerades som särlekemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 8 oktober 2009.



Hur används Alofisel?

Alofisel får endast ges av specialistläkare med erfarenhet av diagnos och behandling av den sjukdom som det används för. Läkemedlet är receptbelagt.

Alofisel ges bara en gång. Patienten ges ett bedövningsmedel (antingen för att få patienten att somna eller för att bedöva behandlingsområdet). Efter att fistlarna förberetts för behandling i en operationssal injiceras innehållet i två injektionsflaskor (var och en innehållande 30 miljoner celler) runt de inre öppningarna och ytterligare två injektionsflaskor genom de yttre öppningarna in i fistelns väggar.

Mer information finns i bipacksedeln.

Hur verkar Alofisel?

Alofisel består av "mesenkymala stamceller" från fettvävnaden från en donator. För att framställa detta läkemedel väljs cellerna ut och odlas i laboratoriet för att öka deras antal. När dessa celler injiceras i fistelns väggar kan de hjälpa till att minska inflammationen och stödja tillväxten av ny vävnad. Detta stimulerar fisteln till att läka och sluta sig.

Vilken nytta med Alofisel har visats i studierna?

I en huvudstudie på 212 patienter med Crohns sjukdom och komplexa analfistlar visade sig Alofisel vara effektivare än placebo (en överksam behandling) 24 veckor efter behandling. Behandling med konventionella eller biologiska läkemedel hade inte verkat på dessa patienter. Huvudmättet på effekt, s.k. "kombinerad remission", var tillslutning av onormala yttre öppningar tillsammans med avsaknad av inre passager som är större än 2 cm och fyllda med vätska (eftersom det är troligt att de öppnar fisteln igen). Hos patienterna som behandlades med Alofisel inträffade kombinerad remission hos nästan 50 procent av patienterna (53 av 107); detta kan jämföras med 34 procent av patienterna (36 av 105) som fick placebo.

Vilka är riskerna med Alofisel?

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Alofisel (kan drabba upp till 1 av 10 personer) är analabscess (ett svullet område med ansamling av var), proktalgi (smärta i ändtarmen), analfistel och smärta under behandling.

Alofisel får inte ges till patienter med överkänslighet (allergi) mot bovint serum (den klara blodvätskan från nötkreatur) eller mot något av innehållsämnen i Alofisel.

Varför godkänns Alofisel?

Europeiska läkemedelsmyndigheten fann att nyttan med Alofisel är större än riskerna och rekommenderade att Alofisel skulle godkännas för försäljning i EU. Alofisel är värdefullt vid behandling av komplexa analfistlar som inte har svarat väl på andra behandlingar. Uppgifterna om Alofisels säkerhet är begränsade men de ger tillräcklig information om biverkningarnas mönster.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Alofisel?

Företaget som marknadsför Alofisel kommer att förse hälso- och sjukvårdspersonal med utbildningsmaterial om rätt sätt att tillföra läkemedlet och om risken för överföring av smittämnen till patienten. Företaget kommer också att genomföra en studie för att fortsätta samla in information om Alofisels effekt och säkerhet.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Alofisel har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Mer information om Alofisel

EPAR för Alofisel finns i sin helhet på EMA:s webbplats: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](https://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Mer information om behandling med Alofisel finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Alofisel från kommittén för sällsynta läkemedel finns på EMA:s webbplats: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](https://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).