



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/421074/2014
EMA/H/C/000878

Riassunto destinato al pubblico

ChondroCelect

Queste sono “cellule cartilaginee autologhe vitali caratterizzate espresse *ex vivo* ed esprimenti proteine marker specifiche”,

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per ChondroCelect. Illustra il modo in cui il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione all'immissione in commercio nonché le raccomandazioni sulle condizioni d'uso di ChondroCelect.

Che cos'è ChondroCelect?

ChondroCelect è una sospensione per impianto che contiene cellule cartilaginee.

ChondroCelect è un tipo di medicinale per terapia avanzata denominato “prodotto di ingegneria tissutale”, ossia un tipo di medicinale contenente cellule o tessuti che sono stati manipolati in modo da poter essere utilizzati per riparare, rigenerare o sostituire tessuti.

Per che cosa si usa ChondroCelect?

ChondroCelect è utilizzato per la riparazione di danni a carico della cartilagine del ginocchio negli adulti. È indicato per il trattamento di singole lesioni sintomatiche nella cartilagine del condilo femorale (l'estremità inferiore del femore).

Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.

Come si usa ChondroCelect?

ChondroCelect è un medicinale che viene preparato specificamente per ciascun paziente e che può essere utilizzato soltanto per il trattamento del particolare soggetto per cui è stato preparato.

ChondroCelect deve essere somministrato in ambito ospedaliero da un chirurgo qualificato. Innanzitutto, viene prelevata una biopsia (un piccolo campione) dalla cartilagine del ginocchio del



paziente. Le cellule cartilaginee vengono quindi fatte crescere ed espandere in laboratorio al fine di ottenerne una quantità sufficiente a costituire una sospensione cellulare che possa essere utilizzata per trattare la lesione della cartilagine. Durante l'intervento chirurgico sul ginocchio, la sospensione viene impiantata nella sede della lesione della cartilagine del paziente. Per mantenere le cellule in situ nel corso della riparazione della cartilagine viene poi impiegata una membrana biologica quale sigillante.

I pazienti trattati con ChondroCelect devono essere inseriti in un programma di riabilitazione specifico, comprendente fisioterapia. Ciò agevola il recupero dei pazienti dall'operazione, oltre a lasciare tempo sufficiente per l'impianto delle cellule cartilaginee e la guarigione del ginocchio. Il programma può durare fino a circa un anno.

Come agisce ChondroCelect?

La cartilagine del ginocchio può danneggiarsi a causa di un incidente, come una caduta, o per usura. Il principio attivo di ChondroCelect è costituito dalle cellule cartilaginee del paziente stesso. Queste sono "cellule cartilaginee autologhe vitali caratterizzate espanso *ex vivo* ed esprimenti proteine marker specifiche", ossia cellule prelevate dal paziente, fatte crescere al di fuori dell'organismo e utilizzabili per l'impianto nella cartilagine del paziente. Tali cellule riparano le lesioni nel ginocchio producendo una nuova cartilagine.

Quali studi sono stati effettuati su ChondroCelect?

ChondroCelect è stato messo a confronto con la tecnica di microfrattura (un tipo di intervento chirurgico utilizzato per il trattamento di lesioni cartilaginee) in uno studio principale condotto su 118 pazienti adulti con lesioni sintomatiche della cartilagine del ginocchio. Le lesioni erano a carico del condilo femorale e presentavano dimensioni tra 1 e 5 cm². Quali principali misure dell'efficacia sono stati considerati il grado di miglioramento delle lesioni dopo un anno e la variazione del Knee Injury and Osteoarthritis Outcome Score (KOOS) dei pazienti dopo uno e tre anni di trattamento. Il KOOS è stato misurato in base alla valutazione della gravità dei sintomi effettuata dai pazienti.

Quali benefici ha mostrato ChondroCelect nel corso degli studi?

ChondroCelect è stato più efficace rispetto alla tecnica di microfrattura nella riparazione delle lesioni della cartilagine. Le scansioni e l'esame di campioni di cartilagine effettuati a distanza di un anno hanno evidenziato che i pazienti trattati con ChondroCelect presentavano un maggior grado di riparazione strutturale della cartilagine rispetto ai soggetti trattati con microfrattura. ChondroCelect è risultato inoltre efficace quanto la microfrattura nel miglioramento dei sintomi. Non sono state riscontrate chiare evidenze di una differenza di variazione del KOOS nei pazienti trattati con ChondroCelect e in quelli sottoposti a microfrattura.

Qual è il rischio associato a ChondroCelect?

Gli effetti indesiderati più comuni (osservati in più di 1 paziente su 10) di ChondroCelect sono artralgia (dolori articolari), ipertrofia (crescita eccessiva) cartilaginea, crepitio (schiocchi insoliti) articolare e gonfiore dell'articolazione. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con ChondroCelect, si rimanda al foglio illustrativo.

ChondroCelect non deve essere utilizzato in persone che potrebbero essere ipersensibili (allergiche) a uno qualsiasi degli eccipienti o al siero bovino (sangue di vacca). Non deve essere altresì usato nei pazienti affetti da osteoartrite avanzata del ginocchio (malattia che causa gonfiore e dolore al ginocchio) e in quelli nei quali la crescita della placca femorale (parte terminale del femore) non è completamente chiusa.

Perché è stato approvato ChondroCelect?

Poiché ChondroCelect è un medicinale per terapia avanzata, è stato valutato dal comitato per le terapie avanzate (CAT). In base alla valutazione eseguita dal CAT, il CHMP ha deciso che i benefici del vaccino sono superiori ai suoi rischi e ha raccomandato il rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio per il medicinale.

Il CHMP considera che ChondroCelect si è rivelato efficace nel trattamento dei danni alla cartilagine del ginocchio di dimensioni comprese tra 1 e 5 cm² e che il profilo di sicurezza è ritenuto accettabile. Tuttavia, le conoscenze degli effetti a lungo termine del medicinale sono limitate.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di ChondroCelect?

È stato elaborato un piano di gestione dei rischi per garantire che ChondroCelect sia usato nel modo più sicuro possibile. In base a tale piano, al riassunto delle caratteristiche del prodotto e al foglio illustrativo di ChondroCelect sono state aggiunte le informazioni relative alla sicurezza, ivi comprese le opportune precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono prendere.

La società produttrice di ChondroCelect assicurerà inoltre che tutti i chirurghi e gli altri operatori sanitari che manipolano e utilizzano ChondroCelect ricevano materiale formativo in merito all'uso del prodotto. Il materiale destinato ai chirurghi comprenderà informazioni sul modo in cui prelevare la biopsia cartilaginea, eseguire l'intervento ed effettuare il follow-up dei pazienti. Il materiale rivolto agli altri operatori sanitari includerà informazioni sulla manipolazione della biopsia prelevata e sulla preparazione di ChondroCelect per l'impianto nonché sul follow-up dei pazienti e sulla pianificazione della fisioterapia consigliata. La società produttrice sta inoltre conducendo uno studio osservazionale per ottenere maggiori informazioni sulla sicurezza e sull'efficacia di ChondroCelect.

Altre informazioni su ChondroCelect

Il 5 ottobre 2009 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per ChondroCelect, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR di ChondroCelect consultare il sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Per maggiori informazioni sulla terapia con ChondroCelect, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 07-2014.