



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR kopsavilkums plašākai sabiedrībai

ChondroCelect

Raksturotas dzīvotspējīgas *ex vivo* audzētas autologās skrimšļa šūnas, kas ekspresē noteiktus marķierproteīnus.

Šis ir Eiropas Publiskā novērtējuma ziņojuma (EPAR) kopsavilkums par *ChondroCelect*. Tajā ir paskaidrots, kā Cilvēkiem paredzēto zāļu komiteja (CHMP) novērtēja šīs zāles, pirms sniegt pozitīvu atzinumu par reģistrācijas apliecības piešķiršanu un ieteikumus par *ChondroCelect* lietošanu.

Kas ir *ChondroCelect*?

ChondroCelect ir implantējama suspensija, kas satur skrimšļa šūnas.

ChondroCelect ir uzlabotās terapijas zāļu veids, ko sauc par "audu inženierijas produktu". Tas ir zāļu veids, kura sastāvā ir šūnas vai audi, kas sagatavoti audu atjaunošanai, reģenerēšanai vai aizstāšanai.

Kāpēc lieto *ChondroCelect*?

ChondroCelect lieto pieaugušiem pacientiem ceļa locītavas skrimšļa bojājumu ārstēšanai. Tās lieto, kad augšstilba locītavpaugura (augšstilba kaula apakšējā gala) skrimslī ir atsevišķs bojājums, kas izraisa simptomus.

Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti.

Kā lieto *ChondroCelect*?

ChondroCelect ir zāles, kas tiek pagatavotas katram pacientam individuāli un var tikt lietotas tikai tā pacienta ārstēšanai, kuram tās pagatavotas.

ChondroCelect drīkst ievadīt kvalificēts ķirurgs stacionārā. Vispirms no pacienta ceļa locītavas skrimšļa tiek pagņemts biopsijas materiāls (neliels paraugs). Pēc tam skrimšļa šūnas tiek audzētas un pavairotas laboratorijā, lai iegūtu pietiekami daudz šūnu suspensijas pagatavošanai, ko izmanto skrimšļa bojājuma ārstēšanai. Ceļa locītavas operācijas laikā suspensiju ievada pacienta skrimšļa bojājuma



vietā. Pēc tam ar bioloģisku membrānu nostiprina šūnas tām paredzētajā vietā, līdz skrimslis atjaunojas.

Ar *ChondroCelect* ārstētiem pacientiem ir jāiziet īpaša rehabilitācijas programma, kurā ietilpst fizioterapija. Tādējādi tiek veicināta pacientu atlabšana pēc operācijas, turklāt ir diezgan laika, lai skrimšļa šūnas var pašas implantēties un ceļa locītava — sadzīt. Programmas ilgums var būt apmēram līdz vienam gadam.

Kā *ChondroCelect* darbojas?

Ceļa locītavas skrimšļa bojājumus var izraisīt negadījums, piemēram, kritiens, vai arī nodilums. *ChondroCelect* aktīvā viela ir paša pacienta skrimšļa šūnas. Šīs šūnas ir "raksturotas kā dzīvotspējīgas *ex vivo* audzētas autologās skrimšļa šūnas, kas ekspresē noteiktus marķierproteīnus". Tas nozīmē, ka šīs šūnas ir ņemtas no pacienta, audzētas ārpus pacienta organisma un var tikt izmantotas implantēšanai pacienta skrimslī. Šīs šūnas novērš ceļgala defektus, veidojot jaunu skrimslī.

Kā noritēja *ChondroCelect* izpēte?

Ārstēšana ar *ChondroCelect* tika salīdzināta ar mikrolūzumu ārstēšanas procedūru (operācijas veidu, ko izmanto skrimšļa bojājumu ārstēšanai), vienā pamatpētījumā iesaistot 118 pieaugušus pacientus ar ceļa locītavas skrimšļa bojājumu izraisītiem simptomiem. Bojājumi skāra augšstilba locītavpauguru, un to izmērs bija no 1 līdz 5 cm². Galvenie iedarbīguma rādītāji bija bojājumu sadzīšanas pakāpe pēc viena gada un izmaiņas pacientu Ceļa ievainojumu un osteoartrīta rezultātu indeksā (*KOOS, Knee Injury and Osteoarthritis Outcome Score*) pēc viena un trim terapijas gadiem. *KOOS* indeksu noteica pacienti, vērtējot savu simptomu smagumu.

Kādas bija *ChondroCelect* priekšrocības šajos pētījumos?

Ārstēšana ar *ChondroCelect* bija iedarbīgāka par mikrolūzumu metodi skrimšļa bojājumu ārstēšanā. Pēc gada, kad tika veikti skenējumi un pārbaudīti skrimšļa paraugi, ar *ChondroCelect* ārstētiem pacientiem bija labāki skrimšļa struktūras atjaunošanās rādītāji nekā ar mikrolūzumu metodi ārstētiem pacientiem. Simptomu mazināšanā *ChondroCelect* bija tikpat iedarbīga kā mikrolūzumu metode. Netika iegūti skaidri pierādījumi par *KOOS* indeksa izmaiņu atšķirībām ar *ChondroCelect* ārstētiem pacientiem un ar mikrolūzumu metodi ārstētiem pacientiem.

Kāds risks pastāv, lietojot *ChondroCelect*?

Visbiežāk novērotās *ChondroCelect* blakusparādības (vairāk nekā 1 pacientam no 10) ir artralģija (locītavu sāpes), skrimšļa hipertrofija (pārmērīga augšana), locītavu krepitācija (neparastas krakšķošanas skaņas) un locītavu pietūkums. Pilns visu *ChondroCelect* izraisīto blakusparādību saraksts ir atrodams zāļu lietošanas instrukcijā.

ChondroCelect nedrīkst lietot cilvēki ar paaugstinātu jutību (alerģiju) pret kādu no šo zāļu sastāvdaļām vai pret liellopu serumu (govs asinīm). Tās nedrīkst lietot arī pacienti ar progresējošu ceļa osteoartrītu (slimību, kas izraisa pietūkumu un sāpes ceļī), kā arī pacienti ar augšstilba augšanas zonu (augšstilba kaula galu), kas nav pilnīga noslēgta.

Kāpēc *ChondroCelect* tika apstiprinātas?

Tā kā *ChondroCelect* ir uzlabotās terapijas zāles, Uzlaboto terapiju komiteja (*CAT*) izdarīja to novērtēšanu. Pamatojoties uz *CAT* veiktajiem novērtējumiem, *CHMP* nolēma, ka pacienta ieguvums,

lietojot *ChondroCelect*, pārsniedz šo zāļu radīto risku, un ieteica izsniegt *ChondroCelect* reģistrācijas apliecību.

CHMP uzskatīja, ka *ChondroCelect* iedarbīgums, ārstējot ceļgala skrimšļa defektus, kuru izmērs ir starp 1 cm² un 5 cm², ir pierādīts un drošuma profils ir uzskatāms par pieņemamu. Tomēr zināšanas par šo zāļu iedarbību ilgtermiņā ir ierobežotas.

Kas tiek darīts, lai nodrošinātu nekaitīgu un efektīvu *ChondroCelect* lietošanu?

Lai nodrošinātu iespējami nekaitīgu *ChondroCelect* lietošanu, ir izstrādāts riska pārvaldības plāns. Pamatojoties uz šo plānu, *ChondroCelect* zāļu aprakstā ir ietverta drošuma informācija, kā arī *ChondroCelect* lietošanas instrukcija, tostarp attiecīgi piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem.

Turklāt uzņēmums, kas ražo *ChondroCelect*, nodrošinās, lai visi ķirurgi un citi veselības aprūpes speciālisti, kuri strādā ar *ChondroCelect* vai tās ievada, saņemtu mācību materiālus par šo zāļu lietošanu. Ķirurgiem paredzētajos apmācības materiālos tiks iekļauta informācija par pacienta skrimšļa biopsijas materiāla ņemšanu, operācijas veikšanu un pacientu uzraudzīšanu. Citiem veselības aprūpes speciālistiem paredzētajos materiālos būs iekļauta informācija par to, kā apieties ar iegūto biopsijas materiālu un kā sagatavot *ChondroCelect* implantēšanai, kā arī uzraudzīt pacientus un plānot ieteicamo fizioterapiju. Uzņēmums veic arī novērošanas pētījumu, lai iegūtu vairāk informācijas par *ChondroCelect* drošumu un efektivitāti.

Cita informācija par *ChondroCelect*

Eiropas Komisija 2009. gada 5. oktobrī izsniedza *ChondroCelect* reģistrācijas apliecību, kas derīga visā Eiropas Savienībā.

Pilns *ChondroCelect* EPAR teksts ir atrodams aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Plašāka informācija par ārstēšanu ar *ChondroCelect* pieejama zāļu lietošanas instrukcijā (kas arī ir EPAR daļa) vai sazinoties ar ārstu vai farmaceitu.

Šo kopsavilkumu pēdējo reizi atjaunināja 07.2014.