



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Súhrn správy EPAR pre verejnosť

ChondroCelect

charakterizované živé autológne bunky chrupavky, expandované *ex vivo*,
exprimujúce špecifické markerové proteíny

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku ChondroCelect. Vysvetľuje, akým spôsobom Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) vyhodnotil liek a dospel k stanovisku v prospech vydania povolenia na uvedenie na trh, ako aj k odporúčaniam, ako používať liek ChondroCelect.

Čo je liek ChondroCelect?

Liek ChondroCelect je implantačná suspenzia, ktorá obsahuje bunky chrupavky.

Liek ChondroCelect je druhom lieku určeným na inovatívnu liečbu a označuje sa aj ako tzv. produkt tkaninového inžinierstva. Ide o druh lieku obsahujúceho bunky alebo tkanivá, s ktorými sa manipulovalo tak, aby mohli byť použité na nápravu, regeneráciu alebo nahradenie tkaniva.

Na čo sa liek ChondroCelect používa?

Liek ChondroCelect sa používa u dospelých osôb na nápravu poškodenia chrupavky v kolene. Používa sa, ak symptómy spôsobuje jedno poškodenie chrupavky femorálneho kondylu (spodnej koncovkej časti stehennej kosti).

Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis.

Ako sa liek ChondroCelect používa?

Liek ChondroCelect je liekom pripraveným špeciálne pre každého jednotlivého pacienta a môže sa použiť na liečbu výlučne toho pacienta, pre ktorého sa pripravil.

Liek ChondroCelect musí podávať kvalifikovaný chirurg v nemocnici. Najskôr sa z pacientovej chrupavky v kolene odoberie biopsia (malá vzorka). Bunky chrupavky potom vyrastú a rozmnožia sa



v laboratóriu, aby bolo k dispozícii dost' buniek na vytvorenie suspenzie buniek, ktorá sa môže použiť na liečbu poškodenia chrupavky. Počas operácie kolena sa suspenzia umiestni na miesto poškodenia pacientovej chrupavky. Na uzavretie, ktorým sa udržia bunky na mieste, sa následne použije biologická membrána, až kým sa chrupavka nezacelí.

Pacienti liečení liekom ChondroCelect sa majú zúčastniť na špecifickom rehabilitačnom programe vrátane fyzioterapie. Toto pomáha pacientom zotaviť sa z operácie, no zároveň poskytuje dostatok času bunkám chrupavky, aby sa implantovali a koleno sa vyliečilo. Program môže trvať približne až jeden rok.

Akým spôsobom liek ChondroCelect účinkuje?

Chrupavka v kolene sa môže poškodiť následkom nehody, napr. pádom, alebo v dôsledku opotrebovania. Účinnou látkou lieku ChondroCelect sú vlastné bunky chrupavky pacienta. Tieto bunky sú tzv. charakterizované živé autológne bunky chrupavky, expandované *ex vivo*, exprimujúce špecifické markerové proteíny. To znamená, že ide o bunky, ktoré boli odobraté pacientovi, vyrástli mimo tela a potom sa mohli použiť na implantáciu do pacientovej chrupavky. Tieto bunky naprávajú poškodenia v kolene tým, že vytvárajú novú chrupavku.

Ako bol liek ChondroCelect skúmaný?

Liek ChondroCelect sa porovnával s mikrofraktúrou (druhom chirurgického zákroku, ktorý sa používa na liečbu poškodení chrupavky) v jednej hlavnej štúdií zahŕňajúcej 118 dospelých pacientov so symptómami spôsobenými poškodením chrupavky v kolene. Poškodenia boli na femorálnej kondyle a ich veľkosť sa pohybovala od 1 do 5 cm². Hlavným meradlom účinnosti bolo, ako dobre sa poškodenia po jednom roku zacelili a zmena vo výslednom skóre poškodenia kolena a osteoartrózy (KOOS) u pacientov po jednom roku a troch rokoch liečby. Skóre KOOS sa meralo pacientmi prostredníctvom ich hodnotenia závažnosti symptómov.

Aký prínos preukázal liek ChondroCelect v týchto štúdiách?

Liek ChondroCelect bol pri liečbe poškodení chrupavky účinnejší ako mikrofraktúra. Keď sa po jednom roku urobili snímky a vyšetrili vzorky chrupavky, u pacientov, ktorí boli liečení liekom ChondroCelect, sa preukázala lepšia štruktúrálna náprava chrupavky ako u pacientov liečených mikrofraktúrou. Liek ChondroCelect bol tiež rovnako účinný ako mikrofraktúra pri zlepšovaní symptómov. Nepreukázal sa jasný rozdiel v zmene skóre KOOS u pacientov liečených liekom ChondroCelect a u pacientov liečených mikrofraktúrou.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku ChondroCelect?

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku ChondroCelect (pozorované u viac ako 1 pacienta z 10) sú artralgia (bolesť kĺbov), hypertrofia (nadmerný rast) chrupavky, krepitácia v kĺboch (nezvyčajné praskajúce zvuky) a opuch kĺbu. Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku ChondroCelect sa nachádza v písomnej informácii pre používateľov.

Liek ChondroCelect sa nesmie používať u osôb, ktoré sú precitlivené (alergické) na akúkoľvek inú zložku lieku alebo na hovädzie sérum (hovädziu krv). Nesmie sa používať ani u pacientov s pokročilou osteoartritídou kolena (chorobu zapríčiňujúcou opuch a bolesť v kolene) a pacientov s femorálnou rastovou platničkou (na konci stehnovej kosti), ktorá je plne uzavretá.

Prečo bol liek ChondroCelect povolený?

Kedže liek ChondroCelect je liekom inovatívnej liečby, bol predmetom hodnotenia, ktoré uskutočnil Výbor pre inovatívnu liečbu (CAT). Na základe posúdenia, ktoré uskutočnil výbor CAT, výbor CHMP rozhodol, že prínosy lieku ChondroCelect sú väčšie než riziká spojené s jeho používaním a odporučil udeliť povolenie na uvedenie na trh.

Výbor CHMP usúdil, že sa preukázalo, že liek ChondroCelect je účinný pri liečbe porúch v chrupavke kolena s veľkosťou 1 až 5 cm² a že jeho bezpečnostný profil sa považuje za prijateľný. Sú však známe len veľmi obmedzené informácie o dlhodobom účinku lieku.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné užívanie lieku ChondroCelect?

Na zaistenie čo najbezpečnejšieho používania lieku ChondroCelect bol vypracovaný plán riadenia rizík. Na základe tohto plánu boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľov zahrnuté informácie o bezpečnosti o lieku ChondroCelect vrátane príslušných opatrení, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Okrem toho spoločnosť, ktorá liek ChondroCelect vyrába, zabezpečí, aby všetci lekári a zdravotnícky personál, ktorí s liekom ChondroCelect manipulujú alebo ho používajú, dostali školiace materiály o tom, ako liek používať. Školiace materiály pre chirurgov budú obsahovať informácie o tom, ako sa má pacientom odoberať biopsia chrupavky, ako uskutočniť operáciu a ako sa následne o pacientov starať. Materiály pre ďalších zdravotníckych pracovníkov budú obsahovať informácie o tom, ako manipulovať s odobratou biopsiou, ako pripraviť liek ChondroCelect na implantáciu a ako sa následne starať o pacientov a naplánovať odporúčanú fyzioterapiu. Spoločnosť zároveň uskutočňuje pozorovaciu štúdiu s cieľom získať viac informácií o bezpečnosti a účinnosti lieku ChondroCelect.

Ďalšie informácie o lieku ChondroCelect

Dňa 5. októbra 2009 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku ChondroCelect na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o lieku ChondroCelect 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 ChondroCelect, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľov (súčasť správy EPAR), alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnika.

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 07-2014