



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/6865/2015
EMA/H/C/002450

Резюме на EPAR за обществено ползване

Holoclar

ex vivo експанзия на автоложни човешки роговични епителни клетки, съдържащи стволови клетки.

Настоящият документ представлява резюме на Европейския публичен оценъчен доклад (EPAR) за Holoclar. В него се разяснява как Агенцията е оценила лекарството, за да препоръча разрешаване за употреба в ЕС и условията на употреба. Документът не е предназначен да предоставя практически съвети относно употребата на Holoclar.

За практическа информация относно употребата на Holoclar пациентите следва да прочетат листовката или да попитат своя лекар или фармацевт.

Какво представлява Holoclar и за какво се използва?

Holoclar представлява лечение със стволови клетки, използващо се в окото, за подмяна на увредени клетки на повърхността (епитела) на роговицата, прозрачният слой в предната част на окото, покриващ ириса (цветната част).

Използва се при възрастни пациенти с умерен до тежък дефицит на лимбални стволови клетки, причинен от изгаряния, включително химически изгаряния, на очите. Пациентите с това заболяване нямат достатъчно лимбални стволови клетки, които обикновено действат като регенерираща система, възстановяваща външните клетки на роговицата, когато те се увредят и остаряват.

Holoclar е лекарствен продукт за модерна терапия, наречен „продукт, получен чрез тъканно инженерство“. Състои се от клетки, взети от лимба (на ръба на роговицата) на пациента, които след това растат в лаборатория, така че да могат да се използват за възстановяване на увредената повърхност на роговицата.



Тъй като броят на пациентите с дефицит на лимбални стволови клетки поради изгаряния на очите е малък, болестта се счита за „рядка“ и Holoclar е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки болести) на 07 ноември 2008 г.

Как се използва Holoclar?

Holoclar трябва да се използва само от подходящо обучен и квалифициран очен хирург в болница и трябва да се прилага само на пациента, чиито лимбални клетки са използвани за производството на лекарството.

В първия етап на лечение от пациента се взема малка част здрава лимбална тъкан (с размер 1–2 mm²) в болницата и в същия ден се изпраща на производителя. След това растежът на клетките в тъканта се осъществява в лаборатория и те се замразяват до потвърждаване на датата за операция. Размразените клетки се използват за приготвяне на Holoclar чрез растеж върху мембрана, изготвена от протеин, наречен фибрин. Тогава Holoclar, състоящ се от клетките и мембраната, се изпраща в болницата, където незабавно се имплантира по оперативен път в окоето на пациента.

След като от пациентите е взета лимбална тъкан, трябва да им се приложат антибиотици за предотвратяване на очна инфекция. След операцията пациентът трябва да приема антибиотици и подходящо противовъзпалително лекарство.

Holoclar е предназначен за еднократно лечение, въпреки че то може да бъде повторено, ако лекарят сметне това за необходимо. За повече информация вижте кратката характеристика на продукта (също част от EPAR).

Как действа Holoclar?

Активното вещество в Holoclar са собствените лимбални клетки на пациента, които включват клетки от повърхността на роговицата и лимбални клетки, чийто растеж е осъществен в лаборатория. Преди да се използва Holoclar, се премахва увредената тъкан на повърхността на роговицата. След като се имплантират в окоето, роговичните клетки от Holoclar помагат да се подмени повърхността на роговицата, докато лимбалните стволови клетки служат като източник на нови клетки, които непрекъснато възстановяват роговицата.

Какви ползи от Holoclar са установени в проучванията?

В ретроспективно проучване, използващо медицински данни на пациенти от миналото, е показано, че Holoclar е ефективен за възстановяване на стабилна повърхност на роговицата при пациенти с умерен или тежък дефицит на лимбални стволови клетки, причинен от изгаряния. Една година след имплантиране е оценено, че при 75 от 104 пациенти, включени в проучването (72%), имплантациите са успешни, въз основа на наличие на стабилна повърхност на роговицата без дефекти на повърхността и с малко или никакви враснали кръвоносни съдове (чест признак на дефицит на лимбални стволови клетки). Също така симптомите на пациентите, като болка и възпаление, намаляват и има подобрения по отношение на зрението.

Какви са рисковете, свързани с Holoclar?

Най-честата нежелана лекарствена реакция при Holoclar (наблюдавана при повече от 1 на 10 пациенти) е блефарит (възпаление на клепача на окоето). За пълния списък на всички нежелани лекарствени реакции и ограничения вижте листовката.

Защо Holoclar е разрешен за употреба?

Комитетът по лекарствените продукти за хуманна употреба (CHMP) на Агенцията заключи, че лечението с Holoclar е ефективно за възстановяване на здравето на повърхността на роговицата при пациенти с умерен или тежък дефицит на лимбални стволови клетки, причинен от изгаряния, както и за подобряване на симптомите и зрението. Комитетът отбеляза, че умерените до тежки форми на дефицит на лимбални стволови клетки са сериозни заболявания, които, ако не се лекуват, могат да доведат до тежко увреждане или пълна загуба на зрението. Тъй като нежеланите лекарствени реакции от лечението с Holoclar по принцип могат да се контролират, CHMP заключи, че ползите от Holoclar са по-големи от рисковете и препоръчва да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Заключението за съотношението полза/риск на Holoclar се базира на резултати от две ретроспективни проучвания (използващи медицински данни от миналото) и фирмата ще предостави допълнителни данни от проспективно проучване (което документира резултатите в хода на проучването).

Ето защо Holoclar е разрешен за употреба по т.нар. схема „разрешаване под условие“. Това означава, че се очакват допълнителни данни за лекарството, които фирмата се задължава да предостави. Всяка година Европейската агенция по лекарствата ще извършва преглед на новата информация и настоящото резюме съответно ще се актуализира.

Каква информация се очаква за Holoclar?

Тъй като Holoclar е разрешен по т.нар. схема „разрешаване под условие“, фирмата, която предлага Holoclar, ще предостави допълнителни данни относно Holoclar. Тя ще предостави данни относно ползите и рисковете от Holoclar от проспективно клинично проучване.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Holoclar?

Разработен е план за управление на риска, за да се гарантира, че Holoclar се използва възможно най-безопасно. Въз основа на този план информацията за безопасността е включена в кратката характеристика на продукта и в листовката за Holoclar, включително подходящи предпазни мерки за здравните специалисти и пациентите.

В допълнение фирмата, която произвежда Holoclar, ще предостави на здравните специалисти образователен материал за безопасната употреба на това лечение, включително за избора и за проследяването на пациентите, и за съобщаване на нежелани лекарствени реакции. На пациентите, подложени на лечение, също ще бъде осигурен образователен материал.

Допълнителна информация може да се намери в [резюмето на плана за управление на риска](#).

Допълнителна информация за Holoclar

На 17 февруари 2015 г. Европейската комисия издава разрешение за употреба на Holoclar, валидно в Европейския съюз.

Пълният текст на EPAR и резюме на плана за управление на риска за Holoclar може да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. За повече информация относно лечението с Holoclar прочетете листовката (също част от EPAR) или попитайте Вашия лекар или фармацевт.

Резюме на становището на Комитета по лекарствата сираци за Holoclar може да се намери на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Дата на последно актуализиране на текста 02-2015.