



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR – sammendrag for offentligheden

Holoclar

autologe ex vivo-ekspanderede humane corneaepitelceller indeholdende stamceller

Dette dokument er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for Holoclar. Det forklarer, hvordan agenturet vurderede lægemidlet for at kunne anbefale udstedelse af en markedsføringstilladelse i EU og fastlægge anvendelsesbetingelserne. Det er ikke en praktisk vejledning i, hvordan Holoclar bør anvendes.

Hvis du ønsker praktisk vejledning om anvendelsen af Holoclar, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

Hvad er Holoclar, og hvad anvendes det til?

Holoclar er et lægemiddel, der indeholder stamceller og anvendes til at erstatte beskadigede celler på overfladen (epitelet) af øjets hornhinde, det gennemsigtige lag, der dækker øjets forside og regnbuehinden.

Det anvendes hos voksne patienter med moderat til svær mangel på limbale stamceller efter forbrænding eller ætsning af øjnene. Disse patienter har ikke tilstrækkeligt med limbale stamceller, der normalt virker som et gendannelsessystem og erstatter de yderste celler i hornhinden, når de bliver beskadiget eller ældet.

Holoclar er et lægemiddel til avanceret terapi, som kaldes et »produkt fremstillet ved vævsteknik«. Det består af celler, der tages fra patientens hornhinderand (limbus) og derefter dyrkes i laboratoriet, så de kan anvendes til at reparere den beskadigede overflade af hornhinden.

Da antallet af patienter med mangel på limbale stamceller er lavt, betragtes sygdommen som »sjældnen«, og Holoclar blev udpeget som »lægemiddel til sjældne sygdomme« den 7. november 2008.



Hvordan anvendes Holoclar?

Holoclar må kun anvendes af en tilstrækkeligt oplært og kvalificeret øjenkirurg på et hospital. Det må kun gives til den patient, hvis limbale celler er anvendt til fremstilling af medicinen.

I det første trin af behandlingen udtages der fra patienten på hospitalet et lille stykke sundt limbalt væv (1–2 mm²), som samme dag sendes til fremstilleren. Derefter dyrkes cellerne i vævet i laboratoriet og nedfryses, indtil operationsdagen er fastlagt. Holoclar fremstilles ved dyrkning af optøede celler på en membran fremstillet af proteinet fibrin. Holoclar – som består af cellerne og membranen – sendes derefter retur til hospitalet, hvor det straks implanteres i patientens øje ved operation.

Efter at have fået udtaget limbalt væv skal patienten have antibiotika for at forebygge øjeninfektion. Efter operationen skal patienten have antibiotika og passende antiinflammatorisk medicin.

Holoclar er beregnet til en enkelt behandling, men behandlingen kan gentages, hvis lægen anser det for nødvendigt. De nærmere oplysninger fremgår af produktresuméet, der ligeledes er en del af EPAR.

Hvordan virker Holoclar?

Det aktive stof i Holoclar er patientens egne limbale celler, dvs. celler fra hornhindeoverfladen og limbale stamceller dyrket i laboratoriet. Før Holoclar anvendes, fjernes det beskadigede område af hornhindeoverfladen i det pågældende øje. Når hornhindecellerne i Holoclar er implanteret i øjet, gendanner de hornhindeoverfladen, mens de limbale stamceller virker som et reservoir, der til stadighed fornyer hornhinden.

Hvilke fordele viser undersøgelserne, at der er ved Holoclar?

Der blev udført en tilbageskuende (retrospektiv) undersøgelse af patienternes tidligere journaler. Det fremgik, at Holoclar var effektivt til at gendanne en stabil hornhindeoverflade hos patienter med moderat til svær mangel på limbale stamceller efter forbrændinger. Et år efter implantationen af Holoclar blev 75 af de 104 undersøgte patienter (72 %) bedømt til at have fået et vellykket implantat. Denne bedømmelse byggede på, at hornhindeoverfladen var stabil uden overfladedefekter og med ringe indvækst af blodkar (som er et almindeligt kendetegn på mangel på limbale stamceller). Der var desuden bedring i patienternes symptomer såsom smerter og inflammation, og deres syn var blevet bedre.

Hvilke risici er der forbundet med Holoclar?

Den hyppigste bivirkning ved Holoclar (som optræder hos mere end 1 ud af 10 patienter) er inflammation af øjenlåget (blefaritis). Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Holoclar fremgår af indlægssedlen.

Hvorfor blev Holoclar godkendt?

Agenturets Udvalg for Lægemidler til Mennesker (CHMP) konkluderede, at behandling med Holoclar var effektivt til at gendanne en sund hornhindeoverflade hos patienter med moderat til svær mangel på limbale stamceller efter forbrændinger, og at det gav bedring i deres symptomer og syn. Udvalget bemærkede, at moderat til svær mangel på limbale stamceller er en alvorlig tilstand, som uden behandling kan medføre svær synsnedsættelse eller fuldstændigt tab af synet. Da bivirkningerne ved behandling med Holoclar sædvanligvis kan behandles, konkluderede CHMP, at fordelene ved Holoclar opvejer risiciene, og anbefalede, at det godkendes til anvendelse i EU.

Konklusionen om benefit/risk-forholdet for Holoclar er baseret på resultaterne af to undersøgelser af allerede eksisterende patientjournaler (retrospektive undersøgelser). Virksomheden skal fremlægge data fra en fremadskuende undersøgelse, hvor resultaterne registreres i løbet af undersøgelsen (en prospektiv undersøgelse).

Holoclar har fået en »betinget godkendelse«. Det betyder, at der er flere videnskabelige beviser på vej om lægemidlet. Hvert år gennemgår Det Europæiske Lægemiddelagentur alle nye oplysninger, der måtte foreligge, og ajourfører om nødvendigt dette sammendrag.

Hvilke oplysninger afventes der stadig for Holoclar?

Da Holoclar har fået en betinget godkendelse, skal virksomheden, der markedsfører Holoclar, fremlægge yderligere data om Holoclar. Virksomheden skal fremlægge data om fordelene og risiciene ved Holoclar fra en prospektiv klinisk undersøgelse.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Holoclar?

Der er udarbejdet en risikostyringsplan for at sikre, at Holoclar anvendes så sikkert som muligt. På baggrund af denne er der anført sikkerhedsoplysninger i produktresuméet og indlægssedlen for Holoclar, herunder passende forholdsregler, som sundhedspersonale og patienter skal følge.

Desuden skal virksomheden, der fremstiller Holoclar, udlevere oplysningsmateriale til sundhedspersoner om sikker brug af lægemidlet, herunder udvælgelse og opfølgning af patienterne og indberetning af bivirkninger. Der skal derudover udleveres oplysningsmateriale til de patienter, der modtager behandlingen.

Yderligere oplysninger fremgår af [resuméet af risikostyringsplanen](#).

Andre oplysninger om Holoclar

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for Holoclar den 17. februar 2015.

Den fuldstændige EPAR og resuméet af risikostyringsplanen for Holoclar findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med Holoclar, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Sammendraget af udtalelsen fra Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme om Holoclar findes på agenturets websted under: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 02-2015.