



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Περίληψη EPAR για το κοινό

Holoclar

ex vivo διογκούμενα αυτόλογα ανθρώπινα επιθηλιακά κύτταρα κερατοειδούς που περιέχουν βλαστοκύτταρα

Το παρόν έγγραφο αποτελεί σύνοψη της Ευρωπαϊκής Δημόσιας Έκθεσης Αξιολόγησης (EPAR) του Holoclar. Επεξηγεί τον τρόπο με τον οποίο ο Οργανισμός αξιολόγησε το φάρμακο προτού εισηγηθεί τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στην Ευρωπαϊκή Ένωση και διατυπώσει συστάσεις σχετικά με τους όρους χρήσης. Δεν αποσκοπεί στην παροχή πρακτικών συμβουλών για τον τρόπο χρήσης του Holoclar.

Για πρακτικές πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Holoclar, οι ασθενείς πρέπει να συμβουλευούνται το φύλλο οδηγιών χρήσης που συνοδεύει το φάρμακο ή να επικοινωνούν με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό τους.

Τι είναι το Holoclar και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Holoclar είναι θεραπεία με βλαστοκύτταρα που χορηγείται στον οφθαλμό για την αντικατάσταση των κατεστραμμένων κυττάρων της επιφάνειας (επιθήλιο) του κερατοειδούς, δηλαδή του διάφανου τμήματος του οφθαλμού που καλύπτει την ίριδα (χρωματιστό τμήμα του οφθαλμού).

Χορηγείται σε ενήλικες με μέτρια έως σοβαρή βλαστοκυτταρική ανεπάρκεια του σκληροκερατοειδούς ορίου λόγω οφθαλμικών εγκαυμάτων, περιλαμβανομένων των χημικών εγκαυμάτων. Οι ασθενείς με τη συγκεκριμένη πάθηση δεν έχουν αρκετά βλαστοκύτταρα του σκληροκερατοειδούς ορίου, τα οποία δρουν συνήθως αναγεννητικά αναπληρώνοντας τα κύτταρα του εξωτερικού επιθηλίου όταν αυτά καταστρέφονται αλλά και όταν γηράσκουν.

Το Holoclar είναι ένα είδος φαρμάκου προηγμένων θεραπειών, που ονομάζεται «προϊόν μηχανικής ιστών». Αποτελείται από κύτταρα τα οποία λαμβάνονται από το σκληροκερατοειδές όριο του ασθενούς (το άκρο του κερατοειδούς) και, στη συνέχεια, αναπτύσσονται στο εργαστήριο ώστε να μπορούν να χρησιμοποιηθούν για την αποκατάσταση της κατεστραμμένης επιφάνειας του κερατοειδούς.

30 Churchill Place • Canary Wharf • London E14 5EU • United Kingdom

Telephone +44 (0)20 3660 6000 Facsimile +44 (0)20 3660 5555

Send a question via our website www.ema.europa.eu/contact

An agency of the European Union



Δεδομένου του μικρού αριθμού ασθενών με ανεπάρκεια βλαστοκυττάρων του σκληροκερατοειδούς ορίου, και άρα της σπανιότητας της ασθένειας, το Holoclar χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο το οποίο χρησιμοποιείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 7 Νοεμβρίου 2008.

Πώς χρησιμοποιείται το Holoclar;

Το Holoclar πρέπει να χρησιμοποιείται αποκλειστικά από κατάλληλα εκπαιδευμένο και ειδικευμένο χειρουργό οφθαλμίατρο σε νοσοκομείο, και χορηγείται αποκλειστικά στους ασθενείς των οποίων τα κύτταρα του σκληροκερατοειδούς ορίου χρησιμοποιήθηκαν για την παρασκευή του φαρμάκου.

Κατά το πρώτο στάδιο της θεραπείας, ένα μικρό κομμάτι υγιούς σκληροκερατοειδούς ιστού (μεγέθους 1–2 mm²) αφαιρείται από τον ασθενή στο νοσοκομείο και αποστέλλεται την ίδια ημέρα στον παρασκευαστή του φαρμάκου. Στη συνέχεια, τα κύτταρα του ιστού καλλιεργούνται στο εργαστήριο και καταψύχονται έως ότου επιβεβαιωθεί η ημερομηνία της χειρουργικής επέμβασης. Τα αποψυγμένα κύτταρα χρησιμοποιούνται για την παρασκευή του Holoclar αφού πρώτα καλλιεργηθούν σε μεμβράνη ινώδους (μιας πρωτεΐνης). Το Holoclar, που αποτελείται από τα κύτταρα και τη μεμβράνη, αποστέλλεται στη συνέχεια στο νοσοκομείο, όπου εμφυτεύεται άμεσα με χειρουργική επέμβαση στον οφθαλμό του ασθενή.

Για την πρόληψη της οφθαλμικής λοίμωξης, μετά την αφαίρεση του σκληροκερατοειδούς ιστού από τον ασθενή πρέπει να χορηγούνται αντιβιοτικά. Μετά τη χειρουργική επέμβαση, ο ασθενής πρέπει να λαμβάνει αντιβιοτικά και κατάλληλα αντιφλεγμονώδη φάρμακα.

Κάθε σκεύασμα Holoclar προορίζεται για μία μόνο θεραπεία, παρότι η θεραπεία μπορεί να επαναληφθεί εάν κάτι τέτοιο κριθεί σκόπιμο από τον γιατρό. Περισσότερες πληροφορίες περιλαμβάνονται στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος (περιλαμβάνεται επίσης στην EPAR).

Πώς δρα το Holoclar;

Η δραστική ουσία του Holoclar είναι τα κύτταρα του σκληροκερατοειδούς ορίου του ίδιου του ασθενή, στα οποία περιλαμβάνονται κύτταρα από την επιφάνεια του κερατοειδούς και κύτταρα σκληροκερατοειδούς ορίου που έχουν αναπτυχθεί στο εργαστήριο. Πριν από τη χρήση του Holoclar, αφαιρείται από τον προσβεβλημένο οφθαλμό ο κατεστραμμένος ιστός της επιφάνειας του κερατοειδούς. Μόλις εμφυτευθούν στον οφθαλμό, τα κύτταρα του κερατοειδούς από το Holoclar βοηθούν στην αντικατάσταση της επιφάνειας του κερατοειδούς, ενώ τα βλαστοκύτταρα του σκληροκερατοειδούς ορίου χρησιμεύουν ως απόθεμα νέων κυττάρων που αναπληρώνουν διαρκώς τον κερατοειδή.

Ποια είναι τα οφέλη του Holoclar σύμφωνα με τις μελέτες;

Στο πλαίσιο μιας αναδρομικής μελέτης του ιατρικού ιστορικού των ασθενών, το Holoclar αποδείχθηκε αποτελεσματικό στην αποκατάσταση της σταθερότητας της επιφάνειας του κερατοειδούς σε ασθενείς με μέτρια ή σοβαρή βλαστοκυτταρική ανεπάρκεια του σκληροκερατοειδούς ορίου που οφείλεται σε έγκυαμα. Έναν χρόνο μετά την εμφύτευση του Holoclar, σε 75 από τους 104 ασθενείς που μελετήθηκαν (72%) η εμφύτευση κρίθηκε επιτυχής βάσει της σταθερότητας της επιφάνειας του κερατοειδούς, χωρίς να παρατηρούνται ελλείμματα στην επιφάνεια και με μικρή ή καθόλου διείσδυση των αιμοφόρων αγγείων (κοινό χαρακτηριστικό της βλαστοκυτταρικής ανεπάρκειας του σκληροκερατοειδούς ορίου). Επίσης, τα συμπτώματα των ασθενών, όπως ο πόνος και η φλεγμονή, περιορίστηκαν, ενώ παρατηρήθηκε και βελτίωση της όρασης.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Holoclar;

Η συχνότερη ανεπιθύμητη ενέργεια του Holoclar (εμφανίζεται σε περισσότερους από 1 στους 10 ασθενείς) είναι η βλεφαρίτιδα (φλεγμονή του βλεφάρου). Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Holoclar;

Η Επιτροπή Φαρμάκων για Ανθρώπινη Χρήση (CHMP) του Οργανισμού κατέληξε στο συμπέρασμα ότι η θεραπεία με Holoclar ήταν αποτελεσματική στην αποκατάσταση της υγιούς επιφάνειας του κερατοειδούς σε ασθενείς με μέτρια ή σοβαρή βλαστοκυτταρική ανεπάρκεια σκληροκερατοειδούς ορίου που οφείλεται σε έγκαυμα, καθώς και στη βελτίωση των συμπτωμάτων και της όρασης. Η επιτροπή επεσήμανε ότι οι μέτριες έως σοβαρές μορφές βλαστοκυτταρικής ανεπάρκειας του σκληροκερατοειδούς ορίου αποτελούν σοβαρές παθήσεις οι οποίες, εάν δεν θεραπευτούν, μπορούν να οδηγήσουν σε σοβαρή μείωση ή πλήρη απώλεια της όρασης. Οι ανεπιθύμητες ενέργειες της θεραπείας με Holoclar είναι γενικά αντιμετωπίσιμες και, συνεπώς, η CHMP έκρινε ότι τα οφέλη του Holoclar υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση της χρήσης του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Το πόρισμα για τη σχέση οφέλους-κινδύνου του Holoclar βασίστηκε στα αποτελέσματα δύο αναδρομικών μελετών (με τη χρήση ιατρικού ιστορικού) και η εταιρεία πρόκειται να υποβάλλει περαιτέρω δεδομένα από μια προοπτική μελέτη (τα αποτελέσματα καταγράφονται κατά τη διάρκεια διεξαγωγής της μελέτης).

Ως εκ τούτου, στο Holoclar χορηγήθηκε «έγκριση υπό όρους». Αυτό σημαίνει ότι αναμένονται περισσότερες αποδείξεις σχετικά με το φάρμακο, τις οποίες καλείται να υποβάλει η εταιρεία. Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων θα επανεξετάζει ετησίως κάθε νέο πληροφοριακό στοιχείο που θα είναι διαθέσιμο και η παρούσα περίληψη θα ενημερώνεται αναλόγως.

Ποια στοιχεία για το Holoclar αναμένεται να υποβληθούν;

Καθώς το φάρμακο έχει λάβει έγκριση υπό όρους, η παρασκευάστρια εταιρεία του Holoclar θα υποβάλλει πρόσθετα στοιχεία σχετικά με το φάρμακο. Η εταιρεία αναμένεται να υποβάλλει στοιχεία σχετικά με τη σχέση οφέλους-κινδύνου του Holoclar από μια προοπτική κλινική μελέτη.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Holoclar;

Καταρτίστηκε σχέδιο διαχείρισης κινδύνου προκειμένου να διασφαλιστεί ότι το Holoclar χρησιμοποιείται με τον ασφαλέστερο δυνατό τρόπο. Βάσει του σχεδίου αυτού, στην περίληψη χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης του Holoclar συμπεριλήφθηκαν πληροφορίες σχετικά με την ασφάλεια καθώς και τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς.

Επιπλέον, η παρασκευάστρια εταιρεία του Holoclar θα παράσχει στους επαγγελματίες του τομέα της υγείας εκπαιδευτικό υλικό σχετικά με την ασφαλή χρήση της συγκεκριμένης θεραπείας, όπου θα περιλαμβάνονται πληροφορίες σχετικά με την επιλογή και την παρακολούθηση των ασθενών και την αναφορά των ανεπιθύμητων ενεργειών. Επίσης, εκπαιδευτικό υλικό θα διατεθεί και στους ασθενείς που υποβάλλονται σε θεραπεία.

Περισσότερες πληροφορίες περιλαμβάνονται στην [περίληψη του σχεδίου διαχείρισης κινδύνου](#).

Λοιπές πληροφορίες για το Holoclar

Στις 17 Φεβρουαρίου 2015 η Ευρωπαϊκή Επιτροπή χορήγησε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την Ευρωπαϊκή Ένωση, για το Holoclar.

Η πλήρης EPAR και η περίληψη του σχεδίου διαχείρισης κινδύνου του Holoclar διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία με το Holoclar, διαβάστε το φύλλο οδηγιών χρήσης (συμπεριλαμβάνεται επίσης στην EPAR) ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Η περίληψη της γνώμης της επιτροπής ορφανών φαρμάκων για το Holoclar διατίθεται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Τελευταία ενημέρωση της περίληψης: 02-2015.