



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Kokkuvõte üldsusele

---

### Holoclar

*ex vivo* kasvatatud autoloogilisi tüvirakke sisaldavad inimese sarvkesta epiteeli rakud

See on ravimi Holoclar Euroopa avaliku hindamisaruande kokkuvõte. Selles selgitatakse, kuidas amet hindas ravimit, et soovitada müügiloa andmist Euroopa Liidus ja kasutustingimusi. Hindamisaruandes ei anta Holoclari kasutamise praktilisi nõuandeid.

Kui vajate Holoclari kasutamise praktilisi nõuandeid, lugege pakendi infolehte või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

### Mis on Holoclar ja milleks seda kasutatakse?

Holoclar on tüvirakke sisaldav ravim, mida kasutatakse silmas sarvkesta, st iirist (silma värviline osa) katva läbipaistva kihi kahjustatud pinnarakkude (epiteeli) asendamiseks.

Seda kasutatakse täiskasvanud patsientidel, kellel on korneaallimbuse (sarvkesta väliserva) tüvirakkude moodukas kuni raske defitsiit, mille on põhjustanud silma põletus või söövitus. Selle seisundiga patsientidel ei ole piisavalt korneaallimbuse tüvirakke, mille abil taastuvad normaalselt sarvkesta välisrakud, kui need kahjustuvad või vananevad.

Holoclar on koetehnoloogiatoodete hulka kuuluv uudne ravim. See sisaldab rakke, mis on võetud patsiendi korneaallimbusest ja mida on seejärel kasvatatud laboris nii, et nendega saab parandada sarvkesta kahjustatud pinda.

Et silma põletusest või söövitusest põhjustatud korneaallimbuse tüvirakkude defitsiidiga patsientide arv on väike ja see haigus esineb harva, nimetati Holoclar 7. novembril 2008 harvikravimiks.

### Kuidas Holoclari kasutatakse?

Holoclari tohib kasutada ainult nõuetekohase väljaõppega ja pädevusega silmakirurg haiglas ning seda tohib kasutada ainult patsientidel, kelle korneaallimbuse rakkudest toodeti ravim.

---

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](http://www.ema.europa.eu/contact)

An agency of the European  
Union



Ravi esimeses etapis võetakse patsiendilt haiglas väike tükk (1–2 mm<sup>2</sup>) korneaallimbuse vigastamata kudet ja saadetakse samal päeval ravimi tootjale. Seejärel kasvatatakse koerakke laboris ja need säilitatakse kuni operatsiooni kinnitamise kuupäevani külmutatud kujul. Sulatatud rakkudest valmistatakse Holoclari, kasvatades neid fibriinmembraanil (teatud valk). Seejärel saadetakse rakkudest ja membraanist koosnev Holoclar tagasi haiglasse, kus see otsekohe siiratakse patsiendi silma.

Pärast korneaallimbuse koebiopsia võtmist tuleb patsientidele anda silmainfektsiooni ennetamiseks antibiootikume. Pärast operatsiooni tuleb patsiendile anda antibiootikume ja sobivat põletikuvastast ravimit.

Holoclar on ette nähtud ühekordseks raviks, kuigi ravi võib korrata, kui arst peab seda vajalikuks. Üksikasjalik teave on ravimi omaduste kokkuvõttes (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa).

## **Kuidas Holoclar toimib?**

Holoclari toimeaine on patsiendi enda korneaallimbuse rakud, mis sisaldavad sarvkesta pinna rakke ja laboris kasvatatud korneaallimbuse tüvirakke. Enne Holoclari kasutamist eemaldatakse haige silma sarvkesta pinna kahjustatud kude. Silma siiratud Holoclari sarvkestarakud aitavad asendada sarvkesta pinda ja korneaallimbuse tüvirakkudest tekib uut sarvkestakude ka edaspidi.

## **Milles seisneb uuringute põhjal Holoclari kasulikkus?**

Retrospektiivses uuringus, milles kasutati patsientide varasemaid terviseandmeid, osutus Holoclar efektiivseks stabiilse sarvkesta pinna taastamisel silma põletusest või söövitusest põhjustatud mõõduka kuni raske korneaallimbuse tüvirakkude defitsiidiga patsientidel. Üks aasta pärast Holoclari siirdamist oli 75 uuritud patsiendil 104st (72%) siirdamine edukas, sest oli tekkinud sarvkesta stabiilne pind, millel puudusid pinnadefektid ja sissekasvanud veresoone (tavaline korneaallimbuse tüvirakkude defitsiidi näht) oli vähe või puudusid need üldse. Patsientidel vähenesid ka muud sümptomid, näiteks valu ja põletik, ning nägemine paranes.

## **Mis riskid Holoclariga kaasnevad?**

Holoclari kõige sagedam kõrvalnäht (esinenud enam kui 1 patsiendil 10st) on blefariit (silmalauapõletik). Piirangute ja kõrvalnähtude täielik loetelu on pakendi infolehel.

## **Miks Holoclar heaks kiideti?**

Inimravimite komitee järeldas, et ravi Holoclariga oli efektiivne silma põletusest või söövitusest põhjustatud mõõduka kuni raske korneaallimbuse tüvirakkude defitsiidiga patsientide sarvkesta terve pinna taastamisel ning sümptomite ja nägemise parandamisel. Komitee märkis, et korneaallimbuse tüvirakkude defitsiidi mõõdukad kuni rasked vormid on rasked haigusseisundid, mille ravimata jätmine võib oluliselt halvendada nägemist või põhjustada täieliku nägemiskaotuse. Et Holoclariga ravi kõrvalnähud on üldiselt ohjatatavad, järeldas inimravimite komitee, et Holoclari kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid, ja soovitas ravimi kasutamise Euroopa Liidus heaks kiita.

Järeldus Holoclari kasulikkuse ja riski tasakaalu kohta põhineb kahe retrospektiivse uuringu (milles kasutati varasemaid terviseandmeid) tulemustel ja ettevõtte peab esitama prospektiivse uuringu (milles registreeritakse uuringus saadavaid tulemusi) täiendavad andmed.

Holoclari müügiluba anti seetõttu tingimuslikult. See tähendab, et ettevõtte peab esitama ravimi kohta veel andmeid. Euroopa Ravimiamet vaatab kogu uue teabe igal aastal läbi ja vajaduse korral uuendab käesolevat kokkuvõtet.

### **Mis teavet Holoclari kohta veel oodatakse?**

Et Holoclar kiideti heaks tingimuslikult, esitab Holoclari turustav ettevõtte Holoclari kohta täiendavaid andmeid. Ettevõtte esitab Holoclari kasulikkuse ja riskide kohta prospektiivse kliinilise uuringu andmed.

### **Mis meetmed võetakse, et tagada Holoclari ohutu ja efektiivne kasutamine?**

Töötati välja riskijuhtimiskava, et tagada Holoclari võimalikult ohutu kasutamine. Selle alusel lisati Holoclari omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele ravimi ohutusteave, kus on ka tervishoiuspetsialistide ja patsientide võetavad meetmed.

Lisaks annab Holoclari tootja tervishoiutöötajatele teabematerjali ravimi ohutu kasutamise, sealhulgas patsientide valimise ja järelkontrolli ning kõrvaltoimetest teatamise kohta. Teabematerjal antakse ka ravitavatele patsientidele.

Lisateave on [riskijuhtimiskava kokkuvõttes](#).

### **Muu teave Holoclari kohta**

Euroopa Komisjon andis Holoclari müügiloa, mis kehtib kogu Euroopa Liidu territooriumil, 17. veebruaril 2015.

Euroopa avaliku hindamisaruande täistekst ja riskijuhtimiskava kokkuvõte Holoclari kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Kui vajate Holoclariga toimuva ravi kohta lisateavet, lugege palun pakendi infolehte (mis on samuti Euroopa avaliku hindamisaruande osa) või pöörduge oma arsti või apteekri poole.

Harvikravimite komitee arvamuse kokkuvõte Holoclari kohta on ameti veebilehel: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Kokkuvõtte viimane uuendus: 02-2015.