



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Julkinen EPAR-yhteenveto

Holoclar

Ex vivo -kasvatettuja autologisia ihmisen sarveiskalvon epiteelisoluja, joista osa on kantasoluja

Tämä on yhteenveto Euroopan julkisesta arviointilausunnosta (EPAR), joka koskee Holoclar-lääkevalmistetta. Tekstissä selitetään, miten virasto on arvioinut lääkevalmistetta ja päätenyt puoltamaan myyntiluvan myöntämistä ja suosituksiin sen käytön ehdoista. Tarkoituksena ei ole antaa käytännön neuvoja Holoclarin käytöstä.

Potilas saa Holoclarin käyttöä koskevaa tietoa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Mitä Holoclar on ja mihin sitä käytetään?

Holoclar on silmässä käytettävä kantasoluhoido, jolla korvataan sarveiskalvon pinnan (epiteelin) vaurioituneita soluja. Sarveiskalvo on silmän etuosassa oleva kirkas kalvo, joka peittää iiriksen (värikalvon). Sillä hoidetaan aikuisia potilaita, joiden silmissä on palovammojen ja kemiallisten palovammojen aiheuttama kantasolupuutos limbuksessa. Siitä kärsivillä potilailla ei ole tarpeeksi limbuksen kantasoluja, jotka normaalisti toimivat regeneraatiojärjestelmänä eli uudistavat sarveiskalvon ulompia soluja, kun nämä vaurioituvat ja ikääntyvät.

Holoclar on pitkälle kehitetyissä hoidoissa käytettävä kudostuokkausvalmiste. Se koostuu potilaan limbuksesta (sarveiskalvon reunasta) otetuista soluista, joita kasvatetaan sen jälkeen laboratoriossa, jotta niitä voidaan myöhemmin käyttää sarveiskalvon vaurioituneen pinnan korjaamisessa.

Koska silmän palovammoista johtuvaa limbuksen kantasolupuutosta sairastavia henkilöitä on vähän, sairaus katsotaan harvinaiseksi. Holoclar nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisen sairauden hoitoon tarkoitettu lääke) 7. marraskuuta 2008.

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



Miten Holoclaria käytetään?

Holoclaria saa käyttää vain asianmukaisesti koulutettu ja pätevä silmäkirurgi sairaalassa, ja sitä saa antaa vain potilaalle, jonka limbuksen soluja lääkkeen valmistamisessa on käytetty.

Hoidon ensimmäisessä vaiheessa potilaalta otetaan sairaalassa vähän tervettä limbuksen kudosta (1–2 mm²), joka lähetetään valmistajalle samana päivänä. Sen jälkeen kudoksen soluja kasvatetaan laboratoriossa, ja niitä pidetään jäädytettynä leikkauspäivämäärän vahvistamiseen saakka. Holoclar valmistetaan sulatetuista soluista, joita kasvatetaan fibriini-nimisestä proteiinista valmistetussa tukirakenteessa. Soluista ja tukirakenteesta koostuva Holoclar lähetetään takaisin sairaalaan, jossa se implantoidaan välittömästi potilaan silmään kirurgisesti.

Silmän infektoitumisen estämiseksi potilaalle on annettava antibiootteja, kun häneltä on otettu limbuskudosta. Leikkauksen jälkeen potilaalle on annettava antibiootteja ja sopivaa tulehdusta estävää lääkettä.

Holoclar on tarkoitettu yhteen hoitokertaan, joskin hoito voidaan toistaa, jos lääkäri pitää sitä tarpeellisena. Katso yksityiskohtaiset tiedot valmisteyhteenvedosta (sisältyy myös arviointilausuntoon).

Miten Holoclar vaikuttaa?

Holoclarin vaikuttavana aineena ovat potilaan omat limbuksen solut, joista osa on sarveiskalvon pinnan soluja ja osa laboratoriossa kasvatettuja kantasoluja. Ennen kuin Holoclaria käytetään, vahingoittuneesta silmästä poistetaan sarveiskalvon vaurioitunut pintakudos. Kun Holoclar on implantoitu silmään, sen sisältämät sarveiskalvon solut auttavat uudistamaan sarveiskalvon pintaa, ja limbuksen kantasolut toimivat eräänlaisena uusien, sarveiskalvoa jatkuvasti uudistavien solujen varastona.

Mitä hyötyä Holoclarista on havaittu tutkimuksissa?

Retrospektiivisessä tutkimuksessa, jossa käytettiin potilaiden aiempia sairauskertomustietoja, Holoclarin osoitettiin olevan tehokas sarveiskalvon ehjän pinnan palauttamisessa potilailla, joilla on palovammojen aiheuttama keskivaikea tai vaikea limbuksen kantasolupuutos. Vuoden kuluttua Holoclar-implantaatiosta 75 potilaalla 104:stä (72 prosentilla) implantoinnin todettiin onnistuneen sillä perusteella, että sarveiskalvon pinta oli ehjä; siinä ei ollut pintavaurioita ja siinä oli vain vähän tai ei lainkaan uudissuonia (yleinen piirre limbuksen kantasolupuutoksessa). Myös potilaiden oireet, kuten kipu ja tulehdus, olivat vähentyneet, ja heidän näkökykynsä oli parantunut.

Mitä riskejä Holoclariin liittyy?

Yleisin Holoclariin liittyvä sivuvaikutus (useammalla kuin yhdellä potilaalla kymmenestä) on silmäluomen tulehdus. Pakkausselosteessa on luettelo kaikista sivuvaikutuksista ja rajoituksista.

Miksi Holoclar on hyväksytty?

Viraston lääkevalmistekomitea (CHMP) katsoi, että Holoclar-hoito oli tehokas sarveiskalvon terveen pinnan palauttamisessa potilailla, joilla on palovammojen aiheuttama keskivaikea tai vaikea limbuksen kantasolupuutos, sekä potilaiden oireiden lievittämisessä ja näkökyvyn parantamisessa. Komitea totesi, että limbuksen kantasolupuutoksen keskivaikeat tai vaikeat muodot ovat vakavia sairauksia, jotka voivat hoitamattomina johtaa näkökyvyn vakavaan alenemiseen tai sen häviämiseen kokonaan. Koska Holoclar-hoidon sivuvaikutukset ovat yleensä hallittavissa, lääkevalmistekomitea totesi, että Holoclarin hyöty on sen riskejä suurempi, ja suositteli, että se hyväksytään käyttöön EU:ssa.

Holoclarin hyöty-riskisuhdetta koskeva päätelmä perustuu kahden retrospektiivisen tutkimuksen tuloksiin (joissa käytettiin potilaiden sairauskertomustietoja), ja yhtiön on määrä toimittaa lisää tietoja prospektiivisesta tutkimuksesta (jonka tuloksia kirjataan tutkimuksen edetessä).

Holoclarille annettiin ehdollinen hyväksyntä. Tämä tarkoittaa, että lääkevalmisteesta on odotettavissa lisää tietoja, jotka yhtiö on velvollinen toimittamaan. Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot, ja tätä yhteenvetoa päivitetään tarvittaessa.

Mitä tietoja Holoclarista odotetaan vielä saatavan?

Koska Holoclarille on annettu ehdollinen hyväksyntä, sitä markkinoiva yhtiö toimittaa Holoclarista lisää tietoa. Yhtiön on toimitettava prospektiivisesta kliinisestä tutkimuksesta saatavaa tietoa Holoclarin hyödyistä ja riskeistä.

Miten voidaan varmistaa Holoclarin turvallinen ja tehokas käyttö?

Holoclarin mahdollisimman turvallisen käytön varmistamiseksi on laadittu riskinhallintasuunnitelma. Tämän suunnitelman mukaiset turvallisuustiedot on liitetty Holoclarin valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen, mukaan lukien tiedot asianmukaisista varotoimista terveydenhoidon ammattilaisten ja potilaiden noudatettaviksi.

Lisäksi Holoclaria valmistava yhtiö toimittaa terveydenhuollon ammattilaisille tämän hoidon turvallista käyttöä koskevaa perehdytysmateriaalia, joka sisältää ohjeet potilaiden valinnasta ja seurannasta sekä sivuvaikutusten ilmoittamisesta. Myös hoitoa saaville potilaille toimitetaan perehdytysmateriaalia.

Lisätietoja saa riskinhallintasuunnitelman tiivistelmästä linkistä [summary of the risk management plan](#).

Muita tietoja Holoclarista

Euroopan komissio myönsi koko Euroopan unionin alueella voimassa olevan myyntiluvan Holoclaria varten 17. helmikuuta 2015.

Holoclaria koskeva EPAR-arviointilausunto kokonaisuudessaan sekä riskinhallintasuunnitelman yhteenveto ovat viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Lisää tietoa Holoclarilla annettavasta hoidosta saa pakkausselosteesta (sisältyy myös EPAR-lausuntoon), lääkäriltä tai apteekista.

Tiivistelmä harvinaislääkekomitean Holoclaria koskevasta lausunnosta on viraston verkkosivuilla osoitteessa ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 02-2015.