



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## **EPAR, sažetak za javnost**

---

### **Holoclar**

*ex vivo* umnožene autologne epitelne stanice ljudske rožnice koje sadrže matične stanice

Ovo je sažetak europskoga javnog izvješća o ocjeni dokumentacije (EPAR) o lijeku Holoclar. Objašnjava kako je Agencija ocijenila lijek da bi preporučila njegovo odobrenje u EU-u te uvjete za njegovu primjenu. Svrha sažetka nije davati praktične savjete o načinu korištenja lijeka Holoclar.

Praktične informacije o korištenju lijeka Holoclar pročitajte u uputi o lijeku, odnosno obratite se svom liječniku ili ljekarniku.

### **Što je Holoclar i za što se koristi?**

Holoclar je terapija matičnim stanicama koja se primjenjuje na oko u svrhu zamjene oštećenih stanica na površini (epitelu) rožnice, prozirnog dijela ispred oka koji pokriva šarenicu (obojani dio).

Koristi se u odraslih bolesnika s umjerenim do teškim nedostatkom limbalnih matičnih stanica uzrokovanim opeklinama, uključujući kemijske opekline oka. Bolesnici s ovim stanjem nemaju dovoljno limbalnih matičnih stanica, koje normalno djeluju kao regeneracijski sustav, odbijajući vanjske stanice rožnice u slučaju oštećenja i starenja.

Holoclar je vrsta lijeka za naprednu terapiju koji se naziva „medicinski proizvod dobiven iz tkiva“. Sastoji se od stanica koje se uzimaju iz limbusa bolesnika (uz rub rožnice) te se zatim uzgajaju u laboratoriju tako da se mogu koristiti za popravak oštećene površine rožnice.

Budući da je broj bolesnika s nedostatkom limbalnih matičnih stanica malen, ta se bolest smatra „rijetkom“ te je lijek Holoclar uvršten u skupinu lijekova za rijetke bolesti 7. studenog 2008.

### **Kako se Holoclar koristi?**

Holoclar mora primijeniti odgovarajuće obučeni i osposobljeni kirurg i to isključivo u bolnici, te se smije primjenjivati samo u bolesnika čije se limbalne stanice koriste za proizvodnju lijeka.



U prvoj fazi liječenja mali dio zdravog limbalnog tkiva (veličine 1–2 mm<sup>2</sup>) uzima se iz bolesnika u bolnici i šalje se proizvođaču istog dana. Zatim se stanice u tkivu uzgajaju u laboratoriju i zamrzavaju se sve do trenutka potvrde kirurškog zahvata. Odmrznute stanice koriste se za pripremu lijeka Holoclar tako što se uzgajaju na membrani izrađenoj od proteina naziva fibrin. Holoclar, koji se sastoji od stanica i membrane, zatim se šalje natrag u bolnicu, gdje se odmah ugrađuje kirurškim putem u oko bolesnika.

Antibiotik za sprječavanje infekcije oka treba primijeniti u bolesnika nakon uzimanja limbalnog tkiva iz bolesnika. Nakon kirurškog zahvata, bolesnik treba primiti antibiotike i odgovarajući protuupalni lijek.

Holoclar je namijenjen za jednokratnu primjenu, iako se terapija može ponoviti ukoliko to liječnik smatra potrebnim. Dodatne informacije pročitajte u sažetku opisa svojstava lijeka (također dio EPAR-a).

## **Kako djeluje Holoclar?**

Djelatna tvar lijeka Holoclar nalazi se u limbalnim stanicama bolesnika, koje uključuju stanice s površine rožnice i limbalne matične stanice uzgojene u laboratoriju. Prije primjene lijeka Holoclar uklanja se oštećeno površinsko tkivo zahvaćenog oka. Nakon ugradnje u oko, stanice rožnice lijeka Holoclar pomažu pri zamjeni površine rožnice, dok limbalne matične stanice služe kao spremnik za nove stanice koje kontinuirano odbijaju rožnicu.

## **Koje koristi lijeka Holoclar su dokazane u ispitivanjima?**

Dokazano je da je Holoclar djelotvoran u uspostavljanju stabilne površine rožnice u bolesnika s umjerenim do teškim nedostatkom limbalnih matičnih stanica uzrokovanim opeklinama u retrospektivnim ispitivanju na temelju prethodne medicinske evidencije bolesnika. Godinu dana nakon ugradnje lijeka Holoclar, kod 75 od 104 (72%) ispitanih bolesnika ocijenjeno je da je ugradnja bila uspješna na temelju prisutnosti stabilne površine rožnice bez površinskih nedostataka te s malo ili bez uraslih krvnih žila (zajednička karakteristika nedostatka limbalnih matičnih stanica). Prisutno je također smanjenje u simptomima bolesnika, poput boli i upale, te poboljšanja u vidu.

## **Koji su rizici povezani s lijekom Holoclar?**

Najčešća nuspojava lijeka Holoclar (uočena kod više od 1 na 10 bolesnika) je blefaritis (upala očnog kapka). Potpuni popis nuspojava i ograničenja potražite u uputi o lijeku.

## **Zašto je Holoclar odobren?**

Odbor za lijekove za humanu uporabu (CHMP) pri Agenciji zaključio je kako je terapija lijekom Holoclar podjednako učinkovita u uspostavljanju zdrave površine rožnice u bolesnika s umjerenim ili teškim nedostatkom limbalnih matičnih stanica uzrokovanim opeklinama kao i u poboljšavanju njihovih simptoma i vida. Odbor je napomenuo da su umjereni do ozbiljni oblici nedostatka limbalnih matičnih stanica ozbiljna stanja koja, bez liječenja mogu rezultirati ozbiljnim smanjenjem ili potpunim gubitkom vida. Budući da se nuspojavama lijeka Holoclar u pravilu može upravljati, CHMP je zaključio da koristi od lijeka Holoclar nadmašuju s njim povezane rizike te je preporučio njegovo odobrenje za korištenje u Europskoj uniji.

Zaključak o omjeru koristi i rizika za lijek Holoclar temelji se na rezultatima retrospektivnih ispitivanja (primjenom prošle medicinske evidencije), a tvrtka treba dostaviti dodatne podatke o budućem ispitivanju (koje bilježi ishode tijekom trajanja ispitivanja).

Za lijek Holoclar izdano je „uvjetno odobrenje“. To znači da farmaceutska tvrtka mora dostaviti dodatne podatke o lijeku. Svake godine Europska agencija za lijekove procjenjuje sve nove dostupne informacije te se ovaj sažetak po potrebi ažurira.

## **Koje se još informacije očekuju o lijeku Holoclar?**

Budući da je lijek Holoclar dobio uvjetno odobrenje, tvrtka koja lijek Holoclar stavlja u promet mora dostaviti dodatne podatke o lijeku Holoclar. Tvrtka treba također dostaviti podatke o koristima i rizicima lijeka Holoclar iz budućih kliničkih ispitivanja.

## **Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Holoclar?**

Pripremljen je plan upravljanja rizikom kako bi se osigurala što sigurnija primjena lijeka Holoclar. Na temelju tog plana, u sažetku opisa svojstava lijeka kao i u uputi za lijek Holoclar nalaze se sigurnosne informacije, uključujući odgovarajuće mjere opreza kojih se zdravstveni djelatnici i bolesnici trebaju pridržavati.

Nadalje, tvrtka koja proizvodi Holoclar dostavit će zdravstvenim djelatnicima edukacijske materijale o sigurnoj primjeni ove terapije, uključujući o odabiru i kontrolama bolesnika te o načinima prijave nuspojava. Edukacijski materijali također će biti dostavljeni bolesnicima koji idu na ovo liječenje.

Dodatne informacije možete pronaći u [sažetku plana upravljanja rizikom](#).

## **Ostale informacije o lijeku Holoclar**

Europska komisija izdala je odobrenje za stavljanje u promet koje je za lijek Holoclar na snazi u Europskoj uniji od 17. veljače 2015.

Cjeloviti EPAR kao i plan upravljanja rizikom za lijek Holoclar nalaze se na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Više informacija o terapiji lijekom Holoclar pročitajte u uputi o lijeku (također dio EPAR-a) ili se obratite svom liječniku ili ljekarniku.

Sažetak mišljenja Odbora za lijekove za rijetke bolesti za lijek Holoclar dostupan je na internetskim stranicama Agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Sažetak je posljednji put ažuriran: 02.2015.