



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR santrauka plačiajai visuomenei

Holoclar

ex vivo padaugintos autologinės žmogaus ragenos epitelio ląstelės, tarp kurių yra kamieninių ląstelių

Šis dokumentas yra Holoclar Europos viešo vertinimo protokolo (EPAR) santrauka. Jame paaiškinama, kaip agentūra vertino vaistą, kad galėtų rekomenduoti leisti prekiauti šiuo vaistu ES ir nustatyti jo vartojimo sąlygas. Šiame dokumente nepateikta praktinės informacijos apie tai, kaip vartoti Holoclar.

Praktinės informacijos apie Holoclar vartojimą pacientai turėtų ieškoti pakuotės lapelyje arba kreiptis į savo gydytoją ar vaistininką.

Kas yra Holoclar ir kam jis vartojamas?

Holoclar – tai kamieninių ląstelių vaistinis preparatas, kuris naudojamas gydant akis, siekiant pakeisti pažeistas ragenos – akies priekyje esančio, rainelę (spalvotąją dalį) dengiančio skaidraus sluoksnio – paviršiaus (epitelio) ląsteles.

Juo gydomi suaugę pacientai, kuriems diagnozuotas akių nudegimų, įskaitant cheminius nudegimus, sukeltas vidutinio sunkumo arba sunkus limbo kamieninių ląstelių trūkumas. Šia liga sergantiems pacientams nepakanka limbo kamieninių ląstelių, kurios paprastai veikia kaip regeneracinė sistema ir papildo išorines ragenos ląsteles, kai jos pažeidžiamos arba pasensta.

Holoclar yra pažangiosios terapijos vaistas, vadinamasis audinių inžinerijos preparatas. Jis sudarytas iš paciento limbo (iš ragenos pakraščio paimtų) ląstelių, kurios vėliau auginamos laboratorijoje, kad jas būtų galima naudoti pažeistam ragenos paviršiui užgydyti.

Kadangi pacientų, kuriems diagnozuotas akių nudegimų sukeltas limbo kamieninių ląstelių trūkumas, nėra daug, ši liga laikoma reta, 2008 m. lapkričio 7 d. Holoclar buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai.



Kaip vartoti Holoclar?

Holoclar gali naudoti tik tinkamai išmokytas, kvalifikuotas akių chirurgas lignoninėje, ir jį galima skirti tik tam pacientui, kurio limbo ląstelės buvo panaudotos vaistui pagaminti.

Pirmame gydymo etape lignoninėje iš paciento paimama ir tą pačią dieną gamintojui nusiunčiama nedidelė sveiko limbo audinio dalis (1–2 mm² dydžio). Paskui šios audinio ląstelės auginamos laboratorijoje ir užšaldomos, kol bus patvirtinta operacijos data. Atšildytos ląstelės naudojamos Holoclar gaminti: jos auginamos ant membranos, pagamintos iš baltymo, vadinamo fibrinu. Vėliau Holoclar, kurį sudaro ląstelės ir membrana, parsuončiamas į lignoninę, kur jis nedelsiant chirurginiu būdu įsodinamas į paciento akį.

Iš paciento akies paėmus limbo audinio, pacientui reikia skirti antibiotikų siekiant išvengti akies infekcijos. Po operacijos pacientui reikia skirti antibiotikų ir atitinkamo vaisto nuo uždegimo.

Holoclar skirtas vienai procedūrai, vis dėlto, jeigu, gydytojo nuomone, tai yra būtina, gydymą galima pakartoti. Daugiau informacijos rasite preparato charakteristikų santraukoje (taip pat EPAR dalis).

Kaip veikia Holoclar?

Veiklioji Holoclar medžiaga yra paciento limbo ląstelės, įskaitant ragenos paviršiaus ląsteles ir limbo kamienines ląsteles, užaugintas laboratorijoje. Prieš naudojant Holoclar, pašalinamas pažeistas sužalotos akies ragenos paviršiaus audinys. Į akį įsodintame Holoclar esančiomis ragenos ląstelėmis pakeičiamos ragenos paviršiaus ląstelės, o limbo kamieninės ląstelės veikia kaip naujų ląstelių rezervuaras, kuris nuolat papildo rageną ląstelėmis.

Kokia Holoclar nauda nustatyta tyrimuose?

Atlikus retrospektyvinį tyrimą, kurio metu buvo analizuojami praeityje parengti pacientų medicininiai dokumentai, nustatyta, kad Holoclar yra veiksmingas siekiant atkurti stabilų ragenos paviršių pacientams, kuriems buvo diagnozuotas nudegimų sukeltas vidutinio sunkumo arba sunkus limbo kamieninių ląstelių trūkumas. Praėjus metams po Holoclar įsodinimo, atsižvelgiant į stabilų ragenos paviršių be paviršinių pažeidimų ir mažai įaugusiomis arba neįaugusiomis kraujagyslėmis (tai dažnas limbo kamieninių ląstelių trūkumo požymis), nuspręsta, kad 75 iš 104 (72 proc.) pacientų ši procedūra buvo sėkminga. Taip pat palengvėjo pacientams pasireiškiantys simptomai, kaip antai skausmas ir uždegimas, ir pagerėjo jų regėjimas.

Kokia rizika siejama su Holoclar vartojimu?

Dažniausias Holoclar šalutinis reiškinys (nustatytas daugiau kaip 1 pacientui iš 10) yra blefaritas (akies voko uždegimas). Išsamų visų šalutinių reiškinų ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Kodėl Holoclar buvo patvirtintas?

Agentūros Žmonėms skirtų vaistinių preparatų komitetas (CHMP) priėjo prie išvados, kad gydymas Holoclar yra veiksmingas siekiant atkurti sveiką ragenos paviršių pacientams, kuriems diagnozuotas nudegimų sukeltas vidutinio sunkumo arba sunkus limbo kamieninių ląstelių trūkumas, taip pat siekiant palengvinti jiems pasireiškiančius simptomus ir pagerinti jų regėjimą. Komitetas atkreipė dėmesį, kad vidutinio sunkumo arba sunkus limbo kamieninių ląstelių trūkumas yra sunki liga, kurios negydant, paciento regėjimas gali smarkiai pablogėti arba pacientas gali visiškai apakti. Kadangi paprastai gydymo Holoclar sukeliama šalutinį poveikį galima kontroliuoti, CHMP priėjo prie išvados, kad Holoclar nauda yra didesnė už jo keliamą riziką, ir rekomendavo leisti vartoti šį vaistą ES.

Išvada dėl Holoclar naudos ir rizikos santykio pagrįsta dviejų retrospektyvinių tyrimų (jie atlikti naudojant praeityje parengtus medicininius dokumentus) rezultatais, be to, bendrovė pateiks išsamesnius perspektyvinio tyrimo (atliekant tokį tyrimą, gydymo rezultatai fiksuojami tyrimo laikotarpiu) duomenis.

Todėl Holoclar rinkodaros leidimas yra sąlyginis. Tai reiškia, kad ateityje bendrovė privalės pateikti daugiau duomenų apie šį vaistą. Europos vaistų agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją ir, prireikus, atnaujins šią santrauką.

Kokia informacija dar turi būti pateikta apie Holoclar?

Kadangi Holoclar rinkodaros leidimas yra sąlyginis, Holoclar prekiaujanti bendrovė turės pateikti išsamesnius duomenis apie Holoclar. Bendrovė pateiks perspektyvinio klinikinio tyrimo metu surinktus duomenis apie Holoclar naudą ir keliamą riziką.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Holoclar vartojimą?

Siekiant užtikrinti kuo saugesnį Holoclar vartojimą, parengtas rizikos valdymo planas. Remiantis šiuo planu, į Holoclar preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtraukta informacija apie vaisto saugumą, įskaitant atsargumo priemones, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Be to, Holoclar gaminanti bendrovė sveikatos priežiūros specialistams pateiks šviečiamąją medžiagą apie saugų šios gydymo priemonės naudojimą, įskaitant pacientų atranką ir tolesnį stebėjimą bei pranešimą apie šalutinį poveikį. Šviečiamoji medžiaga bus pateikta ir gydomiems pacientams.

Išsamesnę informaciją galima rasti [rizikos valdymo plano santraukoje](#).

Kita informacija apie Holoclar

Europos Komisija 2015 m. vasario 17 d. suteikė visoje Europos Sąjungoje galiojantį Holoclar rinkodaros leidimą.

Išsamų Holoclar EPAR ir rizikos valdymo plano santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Daugiau informacijos apie gydymą Holoclar rasite pakuotės lapelyje (taip pat EPAR dalis) arba teiraukitės savo gydytojo ar vaistininko.

Retųjų vaistinių preparatų komiteto nuomonės apie Holoclar santrauką rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Ši santrauka paskutinį kartą atnaujinta 2015–02.