



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rezumat EPAR destinat publicului

Holoclar

celule epiteliale umane autologe corneene expandate *ex vivo* conținând celule stem

Prezentul document este un rezumat al Raportului public european de evaluare (EPAR) pentru Holoclar. Documentul explică modul în care agenția a evaluat medicamentul, pentru a recomanda autorizarea în Uniunea Europeană (UE) și condițiile de utilizare. Scopul documentului nu este să ofere recomandări practice referitoare la utilizarea Holoclar.

Pentru informații practice privind utilizarea Holoclar, pacienții trebuie să citească prospectul sau să se adreseze medicului sau farmacistului.

Ce este Holoclar și pentru ce se utilizează?

Holoclar este un tratament cu celule stem utilizat la nivelul ochiului pentru a înlocui celulele deteriorate de pe suprafața (epiteliul) corneei, stratul transparent care acoperă irisul (partea colorată), pe partea din față a ochiului.

Se utilizează la pacienții adulți cu deficiență, moderată până la severă, de celule stem de la nivelul limbului cauzată de arsuri ale ochilor, inclusiv de arsuri chimice. Pacienții cu această afecțiune nu au suficiente celule stem la nivelul limbului care, în mod obișnuit, ar acționa ca sistem de regenerare, refăcând celulele de pe suprafața exterioară a corneei atunci când sunt deteriorate și când îmbătrânesc.

Holoclar este un tip de medicament pentru terapie avansată numit „produs realizat prin inginerie tisulară”. Acesta constă în celule recoltate de la nivelul limbului pacientului (periferia corneei), iar apoi cultivate în laborator astfel încât să poată fi utilizate pentru repararea suprafeței deteriorate a corneei.

Din cauza numărului mic de pacienți cu deficiență de celule stem de la nivelul limbului cauzată de arsuri ale ochilor, boala este considerată „rară”, iar Holoclar a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în boli rare) la 7 noiembrie 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



Cum se utilizează Holoclar?

Holoclar trebuie utilizat numai de către un chirurg oftalmolog instruit și calificat corespunzător, într-un spital, și trebuie administrat numai pacientului ale cărui celule de la nivelul limbului au fost utilizate la producerea medicamentului.

În prima fază a tratamentului, se recoltează de la pacient, în spital, o mică parte din țesutul sănătos de la nivelul limbului (cu suprafața de 1–2 mm²), care este trimisă producătorului în aceeași zi. După aceea, celulele din țesut sunt cultivate în laborator și congelate până la confirmarea datei pentru intervenția chirurgicală. Celulele decongelate se utilizează pentru a produce Holoclar prin cultivarea lor pe o membrană realizată dintr-o proteină numită fibrină. Holoclar, care conține celulele și membrana, este trimis înapoi la spital unde este implantat imediat în ochiul pacientului printr-o procedură chirurgicală.

După recoltarea țesutului de la nivelul limbului, pacientului trebuie să îi fie administrate antibiotice pentru a preveni infectarea ochiului. După intervenția chirurgicală, pacientul trebuie să primească antibiotice și un medicament antiinflamator adecvat.

Holoclar este conceput drept tratament unic, deși tratamentul poate fi repetat dacă medicul consideră necesar. Pentru mai multe informații, consultați rezumatul caracteristicilor produsului (care face parte, de asemenea, din EPAR).

Cum acționează Holoclar?

Substanța activă din Holoclar constă în propriile celule de la nivelul limbului ale pacientului, care includ celule de pe suprafața corneei și celule stem de la nivelul limbului cultivate în laborator. Înainte de utilizarea Holoclar, se îndepărtează țesutul deteriorat de pe suprafața corneei ochiului afectat. După implantarea în ochi, celulele corneene din Holoclar ajută la înlocuirea suprafeței corneei, în timp ce celulele stem de la nivelul limbului servesc drept rezervor de celule noi care refac continuu corneea.

Ce beneficii a prezentat Holoclar pe parcursul studiilor?

În cadrul unui studiu retrospectiv, care a utilizat fișele medicale ale pacienților, Holoclar s-a dovedit a fi eficace în refacerea unei suprafețe corneene stabile la pacienții cu deficiență moderată sau severă de celule stem de la nivelul limbului cauzată de arsuri. La un an după implantarea Holoclar, pe baza prezenței suprafeței corneene stabile, fără defecte de suprafață și cu apariția unui număr redus de noi vase de sânge (o caracteristică frecventă a deficienței de celule stem de la nivelul limbului) sau fără apariția acestora, s-a stabilit că la 75 de pacienți din 104 studiați (72 %) implanturile au reușit. Au existat, de asemenea, reduceri ale simptomelor pacienților, cum ar fi durerea și inflamația, precum și ameliorări ale vederii.

Care sunt riscurile asociate cu Holoclar?

Cel mai frecvent efect secundar asociat cu Holoclar (observat la mai mult de 1 pacient din 10) este blefarita (inflamarea pleoapei). Pentru lista completă a efectelor secundare și a restricțiilor, consultați prospectul.

De ce a fost aprobat Holoclar?

Comitetul pentru medicamente de uz uman (CHMP) al agenției a hotărât că tratamentul Holoclar a fost eficace în restabilirea suprafețelor corneene sănătoase la pacienții cu deficiență moderată sau severă de celule stem de la nivelul limbului cauzată de arsuri, precum și în ameliorarea simptomelor și vederii

acestora. Comitetul a remarcat că formele moderate până la severe ale deficienței de celule stem de la nivelul limbului sunt afecțiuni grave care, dacă nu sunt tratate, pot duce la scăderea severă sau la pierderea completă a vederii. Întrucât efectele secundare ale tratamentului cu Holoclar sunt, în general, controlabile, CHMP a concluzionat că beneficiile Holoclar sunt mai mari decât riscurile asociate și a recomandat aprobarea utilizării sale în UE.

Concluzia privind raportul beneficiu-risc pentru Holoclar se bazează pe rezultatele a două studii retrospective (care au utilizat fișe medicale), iar compania urmează să furnizeze date suplimentare dintr-un studiu prospectiv (care înregistrează rezultatele din timpul studiului).

Prin urmare, Holoclar a primit „aprobare condiționată”. Aceasta înseamnă că sunt așteptate dovezi suplimentare despre acest medicament, pe care compania are obligația să le furnizeze. În fiecare an, Agenția Europeană pentru Medicamente va analiza orice informație nou apărută, iar prezentul rezumat va fi actualizat, după caz.

Ce informații se așteaptă în continuare despre Holoclar?

Având în vedere că Holoclar a primit aprobare condiționată, compania care comercializează Holoclar va furniza date suplimentare privind medicamentul. Compania va furniza date privind beneficiile și riscurile asociate cu Holoclar obținute dintr-un studiu clinic prospectiv.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Holoclar?

A fost elaborat un plan de management al riscurilor pentru ca Holoclar să fie utilizat în cel mai sigur mod posibil. Pe baza acestui plan, în Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospectul pentru Holoclar, au fost incluse informații referitoare la siguranță, printre care și măsurile corespunzătoare de precauție care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

În plus, compania care produce Holoclar va furniza personalului medical materiale educaționale privind utilizarea sigură și eficace a acestui tratament, inclusiv privind selectarea și urmărirea pacienților și raportarea efectelor secundare. De asemenea, vor fi furnizate materiale educaționale pacienților care urmează tratamentul.

Informații suplimentare sunt disponibile în [rezumatul planului de management al riscurilor](#).

Alte informații despre Holoclar

Comisia Europeană a acordat o autorizație de introducere pe piață pentru Holoclar, valabilă pe întreg teritoriul Uniunii Europene, la 17 februarie 2015.

EPAR-ul complet și rezumatul planului de management al riscurilor pentru Holoclar sunt disponibile pe site-ul agenției: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Pentru mai multe informații referitoare la tratamentul cu Holoclar, citiți prospectul (care face parte, de asemenea, din EPAR) sau adresați-vă medicului sau farmacistului.

Rezumatul avizului Comitetului pentru medicamente orfane pentru Holoclar este disponibil pe site-ul agenției: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Prezentul rezumat a fost actualizat ultima dată în 02-2015.