



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Súhrn správy EPAR pre verejnosť

---

### Holoclar

#### Autológne epitelové bunky ľudskej rohovky expandované *ex vivo* obsahujúce kmeňové bunky

Tento dokument je súhrn Európskej verejnej hodnotiacej správy (EPAR) o lieku Holoclar. Vysvetľuje, akým spôsobom agentúra vyhodnotila liek s cieľom odporučiť jeho povolenie na uvedenie na trh v EÚ a podmienky jeho používania. Účelom tohto dokumentu nie je poskytnúť praktické rady o tom, ako používať liek Holoclar.

Ak pacienti potrebujú praktické informácie o používaní lieku Holoclar, nájdu ich v písomnej informácii pre používateľov alebo sa môžu obrátiť na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárničku.

### Čo je liek Holoclar a na čo sa používa?

Liek Holoclar je liečba kmeňovými bunkami, ktorá sa používa na nahradenie poškodených buniek na povrchu (epiteli) očnej rohovky, priehľadnej vrstvy v prednej časti oka pokrývajúcej dúhovku (farebnú časť).

Liek sa používa u dospelých pacientov so stredne závažnou až závažnou deficienciou limbálnych kmeňových buniek zapríčinenou popáleninami v očiach vrátane poleptania chemickými látkami. Pacienti s týmto stavom nemajú dostatočné množstvo limbálnych kmeňových buniek, ktoré za normálnych okolností fungujú ako regeneračný systém a dopĺňajú vonkajšie bunky rohovky, keď sú poškodené a keď starnú.

Liek Holoclar je druh lieku na inovatívnu liečbu a označuje sa ako tzv. výrobok pripravené metódou tkanivového inžinierstva. Liek sa skladá z buniek odobratých z limbu (okraja rohovky) pacienta, ktoré potom rastú v laboratóriu, takže sa môžu použiť na obnovu poškodeného povrchu rohovky.

Keďže je počet pacientov s deficienciou limbálnych kmeňových buniek v dôsledku popálenín v očiach nízky, ochorenie sa považuje za zriedkavé, a preto bol liek Holoclar dňa 7. novembra 2008 označený za liek na ojedinelé ochorenia.



## **Ako sa liek Holoclar používa?**

Liek Holoclar musí používať len náležite zaškolený a kvalifikovaný očný chirurg v nemocnici a liek sa môže podať len pacientovi, ktorého limbálne bunky boli použité na výrobu lieku.

V prvej fáze liečby sa pacientovi v nemocnici odoberie malá časť zdravého limbálneho tkaniva (o veľkosti 1–2 mm<sup>2</sup>) a zašle sa v ten istý deň výrobcovi. Bunky v tkanive potom rastú v laboratóriu a sú zmrazené až do potvrdenia dátumu operácie. Rozmrazené bunky sa použijú na výrobu lieku Holoclar tak, že sa nechajú rásť na membráne vyrobenej z proteínu, ktorý sa nazýva fibrín. Liek Holoclar pozostávajúci z buniek a membrány je potom zaslaný späť do nemocnice, kde je okamžite chirurgicky implantovaný do oka pacienta.

Po odobratí limbálneho tkaniva sa majú pacientom podávať antibiotiká na prevenciu očnej infekcie. Po operácii má pacient užívať antibiotiká a vhodný protizápalový liek.

Liek Holoclar je určený na jedno podanie, hoci liečba sa môže zopakovať, keď lekár usúdi, že je to potrebné. Viac informácií sa nachádza v súhrne charakteristických vlastností lieku (súčasť správy EPAR).

## **Akým spôsobom liek Holoclar účinkuje?**

Účinnou látkou lieku Holoclar sú vlastné limbálne bunky pacienta, ku ktorým patria bunky z povrchu rohovky a limbálne kmeňové bunky narastené v laboratóriu. Pred použitím lieku Holoclar sa z postihnutého oka odstráni poškodené tkanivo z povrchu rohovky. Keď sa bunky rohovky z lieku Holoclar implantujú do oka, nahradia povrch rohovky, zatiaľ čo limbálne kmeňové bunky môžu slúžiť ako zásobáreň nových buniek, ktoré rohovku nepretržite dopĺňajú.

## **Aké prínosy lieku Holoclar boli preukázané v štúdiách?**

V retrospektívnej štúdii skúmajúcej zdravotné záznamy pacientov z minulosti sa preukázalo, že liek Holoclar je účinný pri obnove stabilného povrchu rohovky u pacientov so stredne závažnou alebo závažnou deficienciou limbálnych kmeňových buniek zapríčinenou popáleninami. Jeden rok po implantácii lieku Holoclar bola implantácia posúdená ako úspešná na základe prítomnosti stabilného povrchu rohovky bez povrchových chýb a malého alebo žiadneho počtu vrastených krvných ciev (čo je bežný rys deficiencie limbálnych kmeňových buniek) v prípade 75 zo 104 skúmaných pacientov (72 %). U pacientov sa tiež pozorovalo zmiernenie symptómov, ako je bolesť a zápal, a zlepšenie videnia.

## **Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Holoclar?**

Najčastejší vedľajší účinok lieku Holoclar (pozorovaný u viac ako 1 pacienta z 10) je blefaritída (zápal očného viečka). Zoznam všetkých vedľajších účinkov a obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľov.

## **Prečo bol liek Holoclar povolený?**

Výbor pre lieky na humánne použitie (CHMP) agentúry dospel k záveru, že liečba liekom Holoclar je účinná pri obnove zdravého povrchu rohovky u pacientov so stredne závažnou alebo závažnou deficienciou limbálnych kmeňových buniek zapríčinenou popáleninami, ako aj pri zlepšení symptómov a videnia. Výbor poznamenal, že stredne závažná až závažná forma deficiencie limbálnych kmeňových buniek sú závažné stavy, ktoré môžu viesť k závažnému zníženiu alebo úplnej strate videnia, keď sa neliečia. Keďže vedľajšie účinky liečby liekom Holoclar sú zvyčajne kontrolovateľné, výbor CHMP dospel k záveru, že prínosy lieku Holoclar sú väčšie ako riziká spojené s jeho použitím a odporučil udeliť povolenie na jeho používanie v EÚ.

Záver o pomere prínosu a rizika lieku Holoclar je založený na výsledkoch dvoch retrospektívnych štúdií (v ktorých boli použité zdravotné záznamy z minulosti) a spoločnosť poskytne ďalšie údaje z perspektívnej štúdie (v ktorej sa zaznamenávali výsledky z priebehu štúdie).

Liek Holoclar bol preto povolený s podmienkou. To znamená, že sa čaká na ďalšie dôkazy o lieku, ktoré musí spoločnosť predložiť. Európska agentúra pre lieky každý rok prehodnocuje všetky nové dostupné informácie a podľa potreby aktualizuje tento súhrn.

### **Aké informácie o lieku Holoclar dosiaľ neboli predložené?**

Keďže liek Holoclar bol povolený s podmienkou, spoločnosť, ktorá liek Holoclar uvádza na trh, predloží ďalšie údaje o lieku Holoclar. Spoločnosť predloží tiež údaje o prínosoch a rizikách lieku Holoclar z perspektívnej klinickej štúdie.

### **Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Holoclar?**

Na zaistenie čo najbezpečnejšieho používania lieku Holoclar bol vypracovaný plán riadenia rizík. Na základe tohto plánu boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľov zahrnuté informácie o bezpečnosti lieku Holoclar vrátane príslušných opatrení, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Spoločnosť, ktorá vyrába liek Holoclar, poskytne tiež zdravotníckym pracovníkom vzdelávací materiál o bezpečnom používaní tejto liečby vrátane výberu a sledovania pacientov, a o hlásení vedľajších účinkov. Vzdelávací materiál bude poskytnutý aj pacientom podstupujúcim liečbu.

Viac informácií sa nachádza v [súhrne plánu riadenia rizík](#).

### **Ďalšie informácie o lieku Holoclar**

Dňa 17. februára 2015 Európska komisia vydala povolenie na uvedenie lieku Holoclar na trh platné v celej Európskej únii.

Úplné znenie správy EPAR o lieku Holoclar a súhrn plánu riadenia rizík sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Ak potrebujete ďalšie informácie o liečbe liekom Holoclar, prečítajte si písomnú informáciu pre používateľov (súčasť správy EPAR) alebo sa obráťte na svojho ošetrojúceho lekára, resp. lekárnik.

Súhrn stanoviska Výboru pre lieky na ojedinelé ochorenia k lieku Holoclar sa nachádza na webovej stránke agentúry EMA: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/Rare\\_disease\\_designation](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation).

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 02-2015