



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sammanfattning av EPAR för allmänheten

Holoclar

ex vivo-expanderade autologa humana korneala epitelceller som innehåller stamceller

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för Holoclar. Det förklarar hur EMA bedömt läkemedlet för att rekommendera godkännande i EU och villkoren för att använda det. Syftet är inte att ge några praktiska råd om hur Holoclar ska användas.

Praktisk information om hur Holoclar ska användas finns i bipacksedeln. Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Vad är Holoclar och vad används det för?

Holoclar är en stamcellsbehandling som används i ögat för att ersätta skadade celler på ytepitel i kornea (hornhinnan), den genomskinliga hinnan på ögats framsida som täcker iris (regnbågshinnan).

Det används till vuxna patienter med måttlig till svår brist på limbala stamceller som orsakats av brännskada, inräknat kemiskt orsakad brännskada, i ögonen. Patienter med detta tillstånd saknar tillräckligt med limbala stamceller, som i normala fall verkar som ett regenereringssystem som förnyar de yttre hornhinnecellerna när de blir skadade och när de åldras.

Holoclar är en typ av läkemedel för avancerad terapi som kallas "vävnadsteknisk produkt". Det består av celler som tagits från patientens limbus (vid kanten av hornhinnan) och sedan odlats i ett laboratorium så att de kan användas för att reparera hornhinnans skadade yta.

Eftersom antalet patienter med brist på limbala stamceller till följd av brännskada i ögonen är litet betraktas sjukdomen som sällsynt och Holoclar klassificerades som sär-läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 7 november 2008.



Hur används Holoclar?

Holoclar får bara användas av en särskilt utbildad och behörig ögonkirurg på ett sjukhus, och får bara ges till den patient vars limbala celler användes för att tillverka läkemedlet.

Under den första behandlingsfasen tas en liten bit frisk limbal vävnad (1–2 mm² i storlek) från patienten på sjukhuset och skickas samma dag till tillverkaren. Därefter odlas cellerna i vävnaden i ett laboratorium och fryses ner tills datumet för operationen har bekräftats. Upptinade celler används för att tillverka Holoclar genom att de odlas på ett membran bestående av ett protein som kallas fibrin. Holoclar, bestående av cellerna och membranet, skickas sedan tillbaka till sjukhuset, där det omedelbart implanteras kirurgiskt i patientens öga.

Patienterna bör få antibiotika för att förebygga ögoninfektion efter att limbal vävnad tagits från dem. Efter operationen bör patienterna få antibiotika och ett lämpligt antiinflammatoriskt läkemedel.

Holoclar är avsett för en enda behandling, även om behandlingen kan upprepas om läkaren anser det nödvändigt. Mer information finns i produktresumén (ingår också i EPAR).

Hur verkar Holoclar?

Den aktiva substansen i Holoclar är patientens egna limbala celler, i vilka ingår celler från hornhinnans yta och limbala stamceller som odlats i ett laboratorium. Innan Holoclar används tas den skadade hornhinnans ytvävnad bort från det påverkade ögat. När hornhinnecellerna i Holoclar har implanterats i ögat hjälper de till att ersätta hornhinnans yta, samtidigt som de limbala stamcellerna tjänar som en reservoar av nya celler som ständigt förnyar hornhinnan.

Vilken nytta med Holoclar har visats i studierna?

Holoclar visade sig vara effektivt när det gällde att återställa en stabil hornhinneyta hos patienter med måttlig eller svår brist på limbala stamceller som orsakats av brännskada i en retrospektiv studie som använde patienternas tidigare journalanteckningar. Ett år efter implantationen med Holoclar bedömdes implantaten hos 75 av 104 studerade patienter (72 procent) vara lyckade, baserat på närvaro av en stabil hornhinneyta utan ytdefekter och få eller inga inväxta blodkärl (något som ofta uppstår vid brist på limbala stamceller). Patienternas symtom minskade även, såsom smärta och inflammation, och synförmågan förbättrades.

Vilka är riskerna med Holoclar?

Den vanligaste biverkningen som orsakas av Holoclar (uppträder hos fler än 1 av 10 patienter) är blefarit (inflammation i ögonlocket). En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner finns i bipacksedeln.

Varför godkänns Holoclar?

Kommittén för humanläkemedel (CHMP) fann att behandling med Holoclar var effektivt när det gällde att återställa friska hornhinneytor hos patienter med måttlig eller svår brist på limbala stamceller som orsakats av brännskada liksom att förbättra deras symtom och synförmåga. Kommittén noterade att måttliga till svåra former av brist på limbala stamceller är allvarliga tillstånd som obehandlade kan leda till svår nedsättning eller fullständig förlust av synförmågan. Eftersom Holoclar-behandlingens biverkningar i allmänhet är hanterbara drog CHMP slutsatsen att nyttan med Holoclar är större än riskerna och rekommenderade att Holoclar skulle godkännas för försäljning i EU.

Slutsatsen om nytta-riskförhållandet för Holoclar bygger på resultaten av två retrospektiva studier (med hjälp av tidigare journalanteckningar), och företaget ska lämna in ytterligare data från en prospektiv studie (som registrerar resultaten medan studien pågår).

Holoclar har därför godkänts i enlighet med reglerna om "villkorat godkännande". Detta innebär att ytterligare erfarenhet av detta läkemedel förväntas och företaget är skyldigt att lämna dessa uppgifter. Europeiska läkemedelsmyndigheten kommer att granska ny information om produkten varje år och uppdatera denna sammanfattning när det behövs.

Vilken information om Holoclar saknas för närvarande?

Eftersom Holoclar har godkänts i enlighet med reglerna om "villkorat godkännande" ska företaget som marknadsför Holoclar lämna in ytterligare uppgifter om Holoclar. Företaget ska lämna in uppgifter om nyttan och riskerna med Holoclar från en prospektiv klinisk studie.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Holoclar?

En riskhanteringsplan har tagits fram för att se till att Holoclar används så säkert som möjligt. I enlighet med denna plan har säkerhetsinformation tagits med i produktresumén och bipacksedeln för Holoclar. Där anges också lämpliga försiktighetsåtgärder som vårdpersonal och patienter ska vidta.

Företaget som tillverkar Holoclar kommer dessutom att förse vårdpersonalen med utbildningsmaterial om en säker användning av denna behandling som bland annat täcker selektion och uppföljning av patienter samt rapportering av biverkningar. Utbildningsmaterial kommer även att ges till patienter som genomgår behandling.

I [sammanfattningen av riskhanteringsplanen](#) finns mer information.

Mer information om Holoclar

Den 17 februari 2015 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av Holoclar som gäller i hela EU.

EPAR och sammanfattningen av riskhanteringsplanen finns i sin helhet på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Mer information om behandling med Holoclar finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Sammanfattningen av ställningstagandet om Holoclar från kommittén för sällsynta läkemedel finns på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/Rare disease designation](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/Rare%20disease%20designation).

Denna sammanfattning uppdaterades senast 02-2015.