



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/414354/2013  
EMA/H/C/002522

## Souhrn zprávy EPAR určený pro veřejnost

---

### MACI

charakterizované autologní kultivované chondrocyty nasazené na matrici

Tento dokument je souhrnem Evropské veřejné zprávy o hodnocení (European Public Assessment Report, EPAR) pro implantát MACI. Objasňuje, jakým způsobem agentura vyhodnotila tento přípravek, aby mohla doporučit vydání rozhodnutí o registraci přípravku v EU a podmínky použití. Účelem tohoto dokumentu není poskytovat praktické rady o tom, jak implantát MACI používat.

Pokud jde o praktické informace o používání implantátu MACI, pacienti by si měli přečíst příbalovou informaci nebo se obrátit na svého lékaře či lékárníka.

### Co je MACI a k čemu se používá?

MACI je implantát používaný k opravě defektů chrupavek na konci kostí v kolenním kloubu. Obsahuje buňky pacientovy vlastní chrupavky na membránách z kolagenu o ploše 14,5 cm<sup>2</sup>, které chirurg používá k vyplnění míst s poškozenou chrupavkou.

Implantát MACI se používá k vyplnění hlubokých defektů chrupavky o ploše v rozmezí 3 až 20 cm<sup>2</sup> u dospělých, u nichž jsou přítomny příznaky (jako bolest a problémy s pohyblivostí kolene).

Implantát MACI je léčivý přípravek pro moderní terapie označovaný jako „přípravek tkáňového inženýrství“. Jedná se o druh léčivého přípravku s obsahem buněk či tkání, které byly upraveny tak, aby je bylo možné použít k opravě, obnově nebo nahrazení tkání.

### Jak se implantát MACI používá?

V první fázi léčby se z pacientova kloubu odebere vzorek buněk chrupavky a tyto buňky se dále kultivují v laboratoři. Buňky se poté nasadí na membránu z kolagenu. Asi za 6 týdnů vytvaruje chirurg membránu tak, aby odpovídala poškozené oblasti kolenní chrupavky, a poté ji během chirurgického zákroku pacientovi implantuje. K upevnění implantátu na místo na chrupavce se používá typ lepidla známý jako fibrinové tkáňové lepidlo, které se vyrábí z proteinů způsobujících srážlivost krve.



Implantát MACI by měl používat pouze chirurg, který je k tomu speciálně vyškolený a kvalifikovaný. Výdej tohoto léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis.

## **Jak implantát MACI působí?**

Léčivou látku v implantátu MACI tvoří buňky pacientovy vlastní chrupavky, které se implantují do defektu v kolenní chrupavce. Buňky jsou použity k vyplnění prostoru, kde byla chrupavka poškozena, čímž regenerují poškozené oblasti a pomáhají zmírnit pacientovy příznaky jako bolest a problémy s pohyblivostí kolene.

## **Jaké přínosy implantátu MACI byly prokázány v průběhu studií?**

Implantát MACI byl porovnáván s chirurgickou technikou mikrofraktury (chirurgickým zákrokem běžně používaným k léčbě defektů chrupavky) v hlavní studii, která byla zaměřena na zmírnění bolesti a zlepšení funkce kolene u pacientů s hlubokými defekty chrupavky. Studie zahrnovala 144 dospělých s defekty o ploše v rozmezí 3 až 20 cm<sup>2</sup>. K měření bolesti a funkce kolene byla použita standardní škála známá jako „skóre výsledku léčby poranění kolenního kloubu a osteoartritidy“ (KOOS), kde 0 znamená extrémní obtíže a 100 znamená nepřítomnost obtíží. Studie ukázala, že implantát MACI je při zmírňování bolesti a zlepšování funkce kolene účinnější než chirurgická technika mikrofraktury: dva roky po chirurgickém výkonu uváděli pacienti léčení implantátem MACI průměrného skóre 82 u bolesti a 61 u funkce kolene v porovnání se skóre 71, resp. 49 u pacientů léčených chirurgickou technikou mikrofraktury. Jak u bolesti, tak u funkce kolene bylo u pacientů s implantátem MACI pozorováno zlepšení přibližně o 45 bodů v porovnání s přibližně 35 body u pacientů, kteří podstoupili chirurgický výkon technikou mikrofraktury.

## **Jaká rizika jsou spojena s implantátem MACI?**

U 1 až 10 pacientů z 1 000 léčených implantátem MACI může dojít k nadměrnému růstu chrupavky a odloučení implantátu. Další významná rizika souvisejí se samotným chirurgickým výkonem a patří mezi ně infekce, zánět, hemartróza (krev v kloubech), artrofibróza (jizevnatá tkáň v kloubech) a tromboembolické příhody (krevní sraženiny). Úplný seznam nežádoucích účinků hlášených v souvislosti s implantátem MACI je uveden v příbalové informaci.

Implantát MACI se nesmí používat u pacientů se závažnou osteoartritidou (otokem a bolestí) kolene, zánětlivým onemocněním kloubů nebo nekorigovanými vrozenými poruchami krevní srážlivosti. Implantát MACI se také nesmí používat u pacientů, u nichž se ještě zcela neuzavřely růstové chrupavky stehenní kosti. Růstové chrupavky se uzavírají (nebo ztvrdnou), když je u dítěte dosaženo kostní zralosti a dokončen růst kostí.

## **Na základě čeho byl implantát MACI schválen?**

Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP) agentury uvedl, že hlavní studie prokázala, že implantát MACI byl v rámci léčby pacientů s defekty chrupavky kolene účinnější než chirurgická technika mikrofraktury. Kromě toho se u pacientů léčených implantátem MACI v porovnání s pacienty léčenými chirurgickou technikou mikrofraktury vyskytlo méně nežádoucích účinků.

U implantátu MACI bylo hodnoceno, zda vyhovuje požadavkům nařízení EU o moderních terapiích, které vyžaduje, aby všechny léčivé přípravky pro moderní terapie v členských státech EU prošly hodnocením agentury EMA a mohly tak získat rozhodnutí o registraci pro celou EU. Výbor uvedl, že terapie jako implantát MACI jsou již v klinické praxi zavedeny a že výsledky hlavní studie odpovídají výsledkům v odborné literatuře.

Výbor CHMP proto rozhodl, že přínosy implantátu MACI převyšují jeho rizika, a doporučil, aby byl schválen k použití v EU.

Vzhledem k tomu, že implantát MACI je léčivý přípravek pro moderní terapie, byl nejprve posouzen Výborem pro moderní terapie (CAT). Doporučení výboru CHMP vychází z úvodního hodnocení výborem CAT.

### **Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání implantátu MACI?**

K zajištění co nejbezpečnějšího používání implantátu MACI byl vypracován plán řízení rizik. Na základě tohoto plánu byly do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace implantátu MACI zahrnuty informace o bezpečnosti, včetně příslušných opatření, která by měli dodržovat zdravotničtí pracovníci a pacienti.

Kromě toho dostanou chirurgové a zdravotničtí pracovníci, kteří se budou podílet na léčbě pacientů implantátem MACI, vzdělávací materiály s podrobným návodem, jak implantát MACI používat, a s informacemi o rizicích a potřebě sledování pacientů léčených implantátem MACI.

### **Další informace o implantátu MACI**

Evropská komise udělila rozhodnutí o registraci implantátu MACI platné v celé Evropské unii dne 27. června 2013.

Plné znění Evropské veřejné zprávy o hodnocení (EPAR) pro implantát MACI je k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese [ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/European/public/assessment/reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human/medicines/European/public/assessment/reports). Další informace o léčbě implantátem MACI naleznete v příbalové informaci (rovněž součástí zprávy EPAR) nebo kontaktujte svého lékaře či lékárníka.

Tento souhrn byl naposledy aktualizován v 06-2013.