



EMA/414355/2013
EMA/H/C/002522

EPAR - sammendrag for offentligheden

MACI

matrix-applicerede karakteriserede dyrkede autologe chondrocytter

Dette er et sammendrag af den europæiske offentlige vurderingsrapport (EPAR) for MACI. Det forklarer, hvordan agenturet vurderede lægemidlet for at kunne anbefale udstedelse af en markedsføringstilladelse i EU og fastlægge anvendelsesbetingelserne. Det er ikke en praktisk vejledning i, hvordan MACI bør anvendes.

Hvis du ønsker praktisk vejledning om anvendelsen af MACI, kan du læse indlægssedlen eller kontakte din læge eller dit apotek.

Hvad er MACI, og hvad anvendes det til?

MACI er et implantat, der anvendes til at reparere defekter i brusken på enderne af knoglerne i knæledet. Det består af patientens egne bruskceller på 14,5 cm² kollagenmembraner, som af kirurgen anvendes til at udfylde de mellemrum, hvor brusken er beskadiget.

MACI anvendes til reparation af defekter, der går helt igennem brusken og har et overfladeareal på mellem 3 og 20 cm² hos voksne med symptomer (såsom smerter og nedsat bevægelighed af knæet).

MACI er et lægemiddel til avanceret terapi, som kaldes et "produkt fremstillet ved vævsteknik". Denne type lægemiddel indeholder celler eller væv, der er manipuleret, så de kan anvendes til at reparere, regenerere eller erstatte væv.

Hvordan anvendes MACI?

I første trin af behandlingen udtages en prøve af bruskceller fra patientens led og dyrkes i laboratoriet. Derefter anbringes cellerne på kollagenmembranen. Ca. 6 uger senere tilpasser kirurgen membranen til formen af det beskadigede område af knæets brusk og opererer det derefter ind i knæet. Implantatet fastgøres til brusken med fibrinlæber, som er en lim fremstillet af blodkoagulerende proteiner.



MACI bør kun anvendes af en kirurg, der er særlig oplært og kvalificeret til at anvende det, og produktet fås kun på recept.

Hvordan virker MACI?

Det aktive stof i MACI består af patientens egne bruskceller, der implanteres i det defekte område af brusken i knæet. Cellerne anvendes til at udfylde det mellemrum, hvor brusken er beskadiget, så de beskadigede områder reparerer, og der opnås bedring i patientens symptomer i form af smerter og nedsat bevægelighed i knæet.

Hvilke fordele viser undersøgelserne, at der er ved MACI?

MACI blev sammenlignet med mikrofrakturkirurgi (en almindeligt anvendt behandling af bruskdefekter) i en hovedundersøgelse, der registrerede smertelindring og forbedring i knæfunktionen hos patienter med knæledsdefekter i hele brusken tykkelse. Undersøgelsen omfattede 144 voksne, der havde defekter med et areal mellem 3 og 20 cm². Smerter og knæfunktion blev bedømt på en standardskala for udfaldet ved knæskader og osteoarthritis (KOOS), hvor 0 betyder meget ekstreme problemer, og 100 betyder ingen problemer. Undersøgelsen viste, at MACI er mere effektivt end mikrofrakturoperation til at lindre smerter og forbedre knæfunktionen: To år efter operationen havde patienter, der var behandlet med MACI, en gennemsnitsscore på 82 for smerter og 61 for knæfunktion, sammenlignet med henholdsvis 71 og 49 for patienter behandlet med mikrofrakturoperation. Både med hensyn til smerter og funktion var bedringen ca. 45 point hos patienter behandlet med MACI, sammenholdt med ca. 35 point hos patienter, der fik foretaget mikrofrakturoperation.

Hvilke risici er der forbundet med MACI?

Overdreven bruskvækst og løsning af implantatet kan forekomme hos mellem 1 og 10 ud af hver 1 000 patienter behandlet med MACI. Andre vigtige risici er dem, der er forbundet med selve det kirurgiske indgreb, herunder infektion, inflammation, hæmartron (blødning i leddet), artrofibrose (ardannelse i leddet) og tromboemboliske hændelser (blodpropper). Den fuldstændige liste over indberettede bivirkninger med MACI fremgår af indlægssedlen.

MACI må ikke anvendes hos patienter med svær osteoarthritis (slidgigt med hævelse og smerter) i knæene, inflammatoriske ledsygdomme eller ubehandlede medfødte forstyrrelser i blodets koagulation. MACI må heller ikke anvendes hos patienter, hos hvem vækstpladerne i lårknoglen ikke er helt lukket. Vækstpladerne lukker sig (eller bliver hårde), når et barns knogler er færdigudvokset.

Hvorfor er MACI blevet godkendt?

Agenturets udvalg for lægemidler til mennesker (CHMP) bemærkede, at hovedundersøgelsen havde vist, at MACI var overlegent over mikrofrakturoperation til behandling af bruskdefekter i knæet. Desuden var der færre bivirkninger hos patienter behandlet med MACI end hos patienter behandlet med mikrofrakturoperation.

MACI blev vurderet til at opfylde EU-reglerne om lægemidler til avanceret terapi. Ifølge disse regler skal alle sådanne lægemidler i EU's medlemsstater vurderes af EMA for at få udstedt markedsføringstilladelse i hele EU. Udvalget konstaterede, at lægemidler som MACI i forvejen er velkendte i klinisk praksis, og at resultaterne af hovedundersøgelsen var i overensstemmelse med resultaterne fra den videnskabelige litteratur.

CHMP afgjorde derfor, at fordelene ved MACI overstiger risiciene, og anbefalede udstedelse af markedsføringstilladelse til anvendelse i EU.

Da MACI er et lægemiddel til avanceret terapi, blev det først vurderet i Udvalget For Avancerede Terapier (CAT). CHMP's anbefalinger er baseret på denne indledende vurdering i CAT.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af MACI?

Der er udarbejdet en risikostyringsplan for at sikre, at MACI anvendes så risikofrit som muligt. Produktresuméet og indlægssedlen for MACI indeholder sikkerhedsoplysninger baseret på denne plan, herunder passende forholdsregler, der skal overholdes af sundhedspersonale og patienter.

Derudover skal der udleveres informationsmateriale til kirurger og sundhedspersoner, der er inddraget i behandlingen af patienterne med MACI. Materialet skal indeholde detaljeret vejledning i anvendelsen af MACI og information om risiciene og nødvendigheden af opfølgning af patienter, der er behandlet med MACI.

Andre oplysninger om MACI

Europa-Kommissionen udstedte en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele Den Europæiske Union for MACI den 27. juni 2013.

Den fuldstændige EPAR for MACI findes på agenturets websted under: [ema.europa.eu/Find/medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find/medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Hvis du ønsker yderligere oplysninger om behandling med MACI, kan du læse indlægssedlen (også en del af denne EPAR) eller kontakte din læge eller dit apotek.

Dette sammendrag blev sidst ajourført i 06-2013.