



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/414356/2013
EMEA/H/C/002522

Zusammenfassung des EPAR für die Öffentlichkeit

MACI

Matrixgekoppelte, kultivierte und charakterisierte, autologe Chondrozyten

Dies ist eine Zusammenfassung des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) für MACI. Hierin wird erläutert wie die Agentur das Arzneimittel beurteilt hat, um zu ihren Empfehlungen für die Zulassung des Arzneimittels in der EU und die Anwendungsbedingungen zu gelangen. Diese Zusammenfassung ist nicht als praktischer Rat zur Anwendung von MACI zu verstehen.

Wenn Sie als Patient praktische Informationen über MACI benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Was ist MACI und wofür wird es angewendet?

MACI ist ein Implantat, das zur Reparatur von Knorpeldefekten an den Enden der Knochen im Kniegelenk angewendet wird. Es besteht aus den eigenen Knorpelzellen des Patienten, die sich auf 14,5 cm² großen Kollagenmembranen befinden, welche vom Chirurgen verwendet werden, um die Stellen, an denen der Knorpel geschädigt ist, aufzufüllen.

MACI wird zur Reparatur von Vollschicht-Knorpeldefekten mit einer Größe von 3-20 cm² bei erwachsenen Patienten mit Symptomen (wie etwa Schmerzen oder Probleme beim Bewegen des Knies) angewendet.

MACI gehört zu einer Gruppe von Arzneimitteln für neuartige Therapien, die „Tissue-Engineering-Produkte“ („Produkte aus Gewebezüchtungen“) genannt werden. Dabei handelt es sich um eine Arzneimittelart, die Zellen oder Gewebe enthält, die so behandelt wurden, dass sie zur Reparatur, Regenerierung oder als Ersatz von Gewebe verwendet werden können.

Wie wird MACI angewendet?

In der ersten Phase der Behandlung wird eine Knorpelzelleprobe aus dem Gelenk des Patienten entnommen und in einem Labor in Kultur gezüchtet. Die Zellen werden dann auf eine Kollagenmembran aufgebracht. Etwa 6 Wochen später schneidet der Chirurg die Membran in die



richtige Größe und Form, um sie dem geschädigten Bereich im Knieknorpel anzupassen, und implantiert sie in einem chirurgischen Eingriff. Es wird eine Art Klebstoff, der als Fibrinkleber bezeichnet und aus Blutgerinnungsproteinen hergestellt wird, verwendet, um das Implantat auf dem Knorpel zu fixieren.

MACI sollte ausschließlich von Chirurgen angewendet werden, die eine spezielle Schulung erhalten haben und für dessen Anwendung qualifiziert sind. Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich.

Wie wirkt MACI?

Der Wirkstoff von MACI besteht aus eigenen Knorpelzellen des Patienten, die in den Knorpeldefekt des Knies implantiert werden. Die Zellen werden verwendet, um die Stellen, an denen der Knorpel geschädigt ist, aufzufüllen und somit die geschädigten Bereiche zu regenerieren und dabei zu helfen, die Symptome des Patienten, wie etwa Schmerzen und Probleme beim Bewegen des Knies, aufzulösen.

Welchen Nutzen hat MACI in den Studien gezeigt?

MACI wurde in einer Hauptstudie, in der die Schmerzlinderung und die Verbesserung der Kniefunktion bei Patienten mit Vollschicht-Knorpeldefekten im Knie untersucht wurde, mit operativer Mikrofrakturierung (ein Operationsverfahren, das häufig zur Behandlung von Knorpeldefekten angewendet wird) verglichen. An der Studie nahmen 144 Erwachsene mit Defekten von einer Größe von 3-20 cm² teil. Es wurde eine Standardskala, die sogenannte KOOS-Skala (Knee Injury and Osteoarthritis Outcome Score), verwendet, um die Schmerzen und die Kniefunktion zu messen. Auf dieser Skala stellt 0 extreme Probleme und 100 keine Problemen dar. Die Studie zeigte, dass MACI bei der Schmerzlinderung und Verbesserung der Kniefunktion wirksamer als operative Mikrofrakturierung ist: zwei Jahre nach dem Eingriff hatten die mit MACI behandelten Patienten einen durchschnittlichen Score von 82 in Bezug auf Schmerzen und 61 in Bezug auf die Kniefunktion, während die mit operativer Mikrofrakturierung behandelten Patienten einen durchschnittlichen Score von 71 in Bezug auf Schmerzen und 49 in Bezug auf die Kniefunktion hatten. Sowohl in Bezug auf Schmerzen als auch auf die Kniefunktion wurden bei den mit MACI behandelten Patienten Verbesserungen um etwa 45 Punkte beobachtet, während die Patienten, die sich einer operativen Mikrofrakturierung unterzogen, Verbesserungen um nur etwa 35 Punkte aufwiesen.

Welche Risiken sind mit MACI verbunden?

Zu starkes Knorpelwachstum und Ablösen des Implantats können bei 1 bis 10 von 1.000 mit MACI behandelten Patienten auftreten. Weitere wichtige Risiken sind jene, die mit dem Operationsverfahren selbst verbunden sind, einschließlich Infektion, Entzündung, Hämarthrose (Blutung im Gelenk), Arthrofibrose (Narbengewebe im Gelenk) und thromboembolischer Ereignisse (Blutgerinnsel). Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit MACI berichteten Nebenwirkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

MACI darf nicht bei Patienten mit schwerer Osteoarthritis (Schwellungen und Schmerzen) im Knie, entzündlicher Gelenkerkrankung oder einer angeborenen unbehandelten Blutgerinnungsstörung angewendet werden. MACI darf auch nicht bei Patienten angewendet werden, deren Wachstumsfuge im Oberschenkelknochen nicht vollständig geschlossen ist. Wachstumsfugen schließen (oder verhärten) sich, wenn das Skelett eines Kindes vollständig entwickelt ist und die Knochen nicht mehr wachsen.

Warum wurde MACI zugelassen?

Der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Agentur stellte fest, dass die Hauptstudie gezeigt hat, dass MACI operativer Mikrofrakturierung bei der Behandlung von Patienten mit Knorpeldefekten des Knies überlegen ist. Darüber hinaus hatten mit MACI behandelte Patienten im Vergleich zu mit operativer Mikrofrakturierung behandelten Patienten weniger Nebenwirkungen.

MACI wurde bewertet, um der EU-Verordnung zu neuartigen Therapien zu entsprechen. Die Verordnung legt fest, dass alle neuartigen Therapien in EU-Mitgliedstaaten einer Bewertung durch die EMA unterzogen werden, um eine EU-weite Genehmigung für das Inverkehrbringen zu erhalten. Der Ausschuss stellte fest, dass Behandlungen wie MACI in der klinischen Praxis bereits etabliert sind und die Ergebnisse aus der Hauptstudie mit den Ergebnissen der wissenschaftlichen Literatur übereinstimmen.

Der CHMP gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von MACI gegenüber den Risiken überwiegt, und empfahl, dass es für die Anwendung in der EU zugelassen wird.

Da MACI ein Arzneimittel für neuartige Therapien ist, wurde es zunächst vom Ausschuss für neuartige Therapien (CAT) beurteilt. Die Empfehlung des CHMP basiert auf der ersten Beurteilung durch den CAT.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von MACI ergriffen?

Es wurde ein Risikomanagementplan entwickelt, um sicherzustellen, dass MACI so sicher wie möglich angewendet wird. Auf der Grundlage dieses Plans wurden Sicherheitsinformationen in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage für MACI aufgenommen, einschließlich geeigneter Vorsichtsmaßnahmen für Angehörige der Heilberufe und Patienten.

Darüber hinaus werden Chirurgen und Angehörige der Heilberufe, die an der Behandlung von Patienten mit MACI beteiligt sein werden, Schulungsmaterialien erhalten, die einen ausführlichen Leitfaden zur Anwendung von MACI sowie Informationen zu den Risiken und der Notwendigkeit einer Nachbeobachtung der mit MACI behandelten Patienten enthalten.

Weitere Informationen über MACI

Am 27. Juni 2013 erteilte die Europäische Kommission eine Genehmigung für das Inverkehrbringen von MACI in der gesamten Europäischen Union.

Den vollständigen Wortlaut des EPAR für MACI finden Sie auf der Website der Agentur: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Wenn Sie weitere Informationen zur Behandlung mit MACI benötigen, lesen Sie bitte die Packungsbeilage (ebenfalls Teil des EPAR) oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Diese Zusammenfassung wurde zuletzt im 06-2013 aktualisiert.