



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/414373/2013
EMA/H/C/002522

Povzetek EPAR za javnost

MACI

na matriks nanaseni karakterizirani avtologni gojeni hondrociti

To je povzetek evropskega javnega poročila o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo MACI. Pojasnjuje, kako je agencija ocenila zdravilo, na podlagi česar je priporočila njegovo odobritev v EU in pogoje njegove uporabe. Povzetek ni namenjen zagotavljanju praktičnih nasvetov o njegovi uporabi.

Za praktične informacije o uporabi zdravila MACI naj bolniki preberejo navodilo za uporabo ali se posvetujejo z zdravnikom ali farmacevtom.

Kaj je zdravilo MACI in za kaj se uporablja?

Zdravilo MACI je vsadek, ki se uporablja za popraviljanje okvar hrustanca na skrajnih delih kosti kolenskega sklepa. Sestavljajo ga bolnikove lastne hrustančne celice na kolagenskih membranah površine 14,5 cm², ki jih kirurg vstavi na mesta, kjer je hrustanec poškodovan.

Zdravilo MACI se uporablja za odpravljanje okvar po vsej debelini v obsegu od 3 do 20 cm² pri odraslih s simptomi, kot so bolečina in težave pri premikanju kolena.

Zdravilo MACI je vrsta zdravila za napredno zdravljenje, ki se imenuje „izdelek tkivnega inženirstva“. Gre za skupino zdravil, ki vsebujejo celice ali tkiva, ki so bili spremenjeni tako, da se lahko uporabljajo za obnovitev, regeneracijo ali nadomeščanje tkiva.

Kako se zdravilo MACI uporablja?

V prvi fazi zdravljenja se iz bolnikovega sklepa odvzame vzorec hrustančnih celic in razmnoži v laboratoriju. Celice se nato nanesejo na kolagensko membrano. Po približno 6 tednih kirurg oblikuje membrano tako, da se prilega poškodovanemu mestu v kolenskem hrustancu, in jo vsadi s kirurškim posegom. Vsadek se na hrustanec pritrdi s fibrinskim lepilom, izdelanim iz beljakovin, ki povzročajo strjevanje krvi.



Zdravilo MACI lahko vsadi le kirurg, ki je posebej usposobljen za njegovo uporabo, izdaja zdravila pa je le na recept.

Kako zdravilo MACI deluje?

Zdravilna učinkovina zdravila MACI je sestavljena iz bolnikovih lastnih hrustančnih celic, ki se vsadijo v okvarjen hrustanec v kolenu. Celice so namenjene zapolnjevanju prostora, kjer je hrustanec poškodovan, s čimer se obnovijo poškodovana mesta in olajšajo bolnikovi simptomi, kot so bolečina in težave pri premikanju kolena.

Kakšne koristi je zdravilo MACI izkazalo v študijah?

Zdravilo MACI so primerjali s postopkom mikrofrakture (kirurški poseg, ki se pogosto uporablja za zdravljenje okvar hrustanca) v glavni študiji, v kateri so preučevali lajšanje bolečine in izboljšanje funkcije kolena pri bolnikih z okvarami kolenskega hrustanca po vsej debelini. V študijo je bilo vključenih 144 odraslih s poškodbami velikosti od 3 do 20 cm². Za merjenje bolečine in funkcije kolena je bila uporabljena standardna lestvica KOOS (merjenje izida ob poškodbi kolena in osteoartritisu), pri čemer 0 odraža izjemne težave, 100 pa odsotnost težav. Študija je pokazala, da je zdravilo MACI učinkovitejše od postopka mikrofrakture pri lajšanju bolečin in izboljševanju funkcije kolena: dve leti po posegu so bolniki, zdravljeni z zdravilom MACI, imeli povprečen rezultat 82 za bolečino in 61 za funkcijo kolena v primerjavi z 71 točkami za bolečino in 49 točkami za funkcijo kolena pri bolnikih, zdravljenih s postopkom mikrofrakture. V skupnem seštevku je bilo pri bolnikih, zdravljenih z zdravilom MACI, ugotovljeno izboljšanje v vrednosti približno 45 točk v primerjavi s približno 35 točkami pri bolnikih, zdravljenih s postopkom mikrofrakture.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom MACI?

Od 1 do 10 bolnikov od 1 000, zdravljenih z zdravilom MACI, lahko prizadeneta pretirana rast hrustanca in odcepitev vsadka. Druga pomembna tveganja so povezana s samim kirurškim posegom, vključujejo pa okužbo, vnetje, hemartrozo (krvavitev v sklepih), artrofibrozo (brazgotino v sklepih) in tromboembolične dogodke (krvne strdke). Za celoten seznam neželenih učinkov, o katerih so poročali pri uporabi zdravila MACI, glejte navodilo za uporabo.

Zdravilo MACI se ne sme uporabljati pri bolnikih s hudim osteoartritisom (oteklostjo in bolečino) kolena, vnetno boleznijo sklepa ali nekorrigirano prirojeno motnjo strjevanja krvi. Zdravilo MACI se prav tako ne sme uporabljati pri bolnikih, katerih rastne ploščice v stegenski kosti se še niso povsem zaprle. Rastne ploščice se zaprejo (ali utrdijo), ko otrokovo okostje dozori in njegove kosti prenehajo rasti.

Zakaj je bilo zdravilo MACI odobreno?

Odbor za zdravila za uporabo v humani medicini (CHMP) agencije je menil, da je glavna študija pokazala, da bilo zdravilo MACI učinkovitejše od postopka mikrofrakture pri zdravljenju bolnikov z okvarami hrustanca v kolenu. Poleg tega so imeli bolniki, zdravljeni z zdravilom MACI, manj neželenih učinkov v primerjavi z bolniki, zdravljenimi s postopkom mikrofrakture.

Za zdravilo MACI je bilo ocenjeno, da je skladno z uredbo EU o naprednih zdravljjenjih, ki za vsa napredna zdravljenja v državah članicah EU zahteva, da jih Evropska agencija za zdravila oceni, da bi pridobila dovoljenje za promet, ki velja za celotno EU. Odbor je ugotovil, da so zdravila, kot je MACI,

že uveljavljena v klinični praksi in da so rezultati glavne študije skladni z rezultati v znanstveni literaturi.

CHMP je tako zaključil, da so koristi zdravila MACI večje od z njim povezanih tveganj, in priporočil, da se odobri za uporabo v EU.

Ker je zdravilo MACI izdelek za napredno zdravljenje, ga je naprej ocenil Odbor za napredno zdravljenje (CAT). Priporočilo CHMP temelji na prvotni oceni Odbora za napredno zdravljenje.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila MACI?

Za zagotovitev čim varnejše uporabe zdravila MACI je bil pripravljen načrt obvladovanja tveganj. V skladu s tem načrtom so bile v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo za zdravilo MACI vključene informacije o varnosti, vključno s previdnostnimi ukrepi, ki jih morajo upoštevati zdravstveni delavci in bolniki.

Poleg tega bodo kirurgi in zdravstveni delavci, ki bodo vključeni v zdravljenje bolnikov z zdravilom MACI, prejeli izobraževalno gradivo s podrobnimi napotki glede uporabe zdravila MACI ter informacijami o z njim povezanih tveganjih in potrebi po spremljanju bolnikov, zdravljenih z zdravilom MACI.

Druge informacije o zdravilu MACI

Evropska komisija je dovoljenje za promet z zdravilom MACI, veljavno po vsej Evropski uniji, odobrila 27 junija 2013.

Celotno evropsko javno poročilo o oceni zdravila (EPAR) za zdravilo MACI je na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Za več informacij o zdravljenju z zdravilom MACI preberite navodilo za uporabo (ki je prav tako del EPAR) ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 06-2013.