



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/282918/2013  
EMA/H/C/002522

## Sammanfattning av EPAR för allmänheten

---

### MACI

matrixapplicerade, karakteriserade, autologa odlade kondrocyter

Detta är en sammanfattning av det offentliga europeiska utredningsprotokollet (EPAR) för MACI. 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 MACI ska användas.

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

### Vad är MACI och vad används det för?

MACI är ett implantat som används för att reparera broskdefekter i änden på benen i knäleden. Det består av patientens egna broskceller på 14,5 cm<sup>2</sup> stora kollagenmembran, som en kirurg använder för att fylla i områdena där brosket är skadat.

MACI används för att reparera defekter vilka omfattar hela broskets djup med en yta på mellan 3 och 20 cm<sup>2</sup> hos vuxna som har symtom (t.ex. smärta och svårigheter att röra knäet).

MACI är ett läkemedel för avancerad terapi som kallas vävnadsteknisk produkt. Det är en typ av läkemedel som innehåller celler eller vävnader som manipulerats så att de kan användas för att återställa, återbilda eller ersätta vävnad.

### Hur används MACI?

Under behandlingens första stadium tas ett prov med broskceller från patientens led för att odlas i ett laboratorium. Cellerna placeras sedan på kollagenmembranet. Omkring sex veckor senare formar kirurgen membranet så att det passar det skadade området i knäbrosket och implanterar det därefter kirurgiskt. En typ av lim som kallas fibrinvävnadslim, som tillverkas av blodkoaguleringsproteiner, används för att hålla implantatet på plats på brosket.

MACI får endast användas av en kirurg som är särskilt utbildad och behörig för att använda det. Läkemedlet är receptbelagt.



## Hur verkar MACI?

Den aktiva substansen i MACI består av patientens egna broskceller som implanteras i broskdefekten i knäet. Cellerna används för att fylla i området där brosket är skadat, och återbildar därigenom de skadade områdena och hjälper till att lindra patientens symtom såsom smärta och svårigheter att röra knäet.

## Vilken nytta med MACI har visats i studierna?

MACI jämfördes med mikrofrakturkirurgi (ett kirurgiskt förfarande som ofta används för behandling av broskdefekter) i en huvudstudie som undersökte smärtlindring och förbättringar av knäfunktionen hos patienter med broskdefekter i knäet vilka omfattar hela broskets djup. I studien ingick 144 vuxna med defekter som varierade i storlek mellan 3 och 20 cm<sup>2</sup>. En standardskala som kallas "knee injury and osteoarthritis outcome score" (KOOS) användes för att mäta smärtan och knäfunktionen, där 0 innebär extrema besvär och 100 innebär frånvaro av besvär. Studien visade att MACI är effektivare än mikrofrakturkirurgi när det gäller att lindra smärta och förbättra knäfunktionen: två år efter operationen hade patienter som behandlats med MACI ett genomsnittligt resultat på 82 för smärta och 61 för knäfunktion, jämfört med 71 respektive 49 för patienter som opererats med mikrofraktur. För både smärta och funktion sågs förbättringar på omkring 45 poäng hos MACI-patienter jämfört med omkring 35 poäng hos patienter som genomgick mikrofrakturkirurgi.

## Vilka är riskerna med MACI?

För mycket brosktillväxt och att implantatet lossnar kan förekomma hos mellan 1 och 10 patienter av 1 000 patienter som behandlas med MACI. De andra betydande riskerna är förknippade med det kirurgiska förfarandet i sig, såsom infektion, inflammation, hemartros (blod i lederna), artrofibros (ärrvävnad i lederna) och tromboemboliska händelser (blodproppar). En fullständig förteckning över biverkningar som rapporterats för MACI finns i bipacksedeln.

MACI får inte ges till patienter med allvarlig osteoartrit (svullnad och smärta) i knäet, inflammatorisk ledsjukdom eller obehandlade, medfödda blodkoagulationsrubbnings. Det får inte heller ges till patienter med tillväxtplattor i lårbenet som inte har helt slutits. Tillväxtplattor sluter sig (eller hårdnar) när barns skelett är moget och deras ben har slutat växa.

## Varför godkänns MACI?

Kommittén för humanläkemedel (CHMP) fann att huvudstudien hade visat att MACI var överlägset mikrofrakturkirurgi när det gäller att behandla patienter med broskdefekter i knäet. Dessutom hade patienter som behandlats med MACI färre biverkningar än patienter som behandlats med mikrofraktur.

MACI bedömdes uppfylla EU:s förordning om läkemedel för avancerad terapi, enligt vilken alla avancerade terapier i EU:s medlemsstater måste genomgå EMA:s utvärdering för att få ett godkännande för försäljning som gäller inom hela EU. Kommittén konstaterade att behandlingar som MACI redan är kliniskt etablerade och att resultaten från huvudstudien överensstämde med resultaten i den vetenskapliga litteraturen.

CHMP fann därför att nyttan med MACI är större än riskerna och rekommenderade att MACI skulle godkännas för försäljning i EU.

Eftersom MACI är ett avancerat terapiläkemedel bedömdes det ursprungligen av kommittén för avancerade terapier (CAT). CHMP:s rekommendation baserar sig på en ursprunglig bedömning av CAT.

## Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av MACI?

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

Dessutom kommer kirurger och vårdpersonal som deltar i behandlingen av patienter med MACI att erhålla utbildningsmaterial som ger dem utförliga riktlinjer om hur MACI ska användas liksom information om dess risker och behovet av att följa upp patienter som behandlas med MACI.

## Mer information om MACI

Den 27 juni 2013 beviljade Europeiska kommissionen ett godkännande för försäljning av MACI som gäller i hela EU.

EPAR finns i sin helhet på EMA:s webbplats [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Mer information om behandling med MACI finns i bipacksedeln (ingår också i EPAR). Du kan också kontakta din läkare eller apotekspersonal.

Denna sammanfattning aktualiserades senast 06-2013.