



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/6865/2015
EMA/H/C/002450

Resumen del EPAR para el público general

Holoclar

Células epiteliales corneales humanas autólogas, expandidas *ex vivo*, que contienen células madre

El presente documento resume el Informe Público Europeo de Evaluación (EPAR) de Holoclar. En él se explica cómo la Agencia ha evaluado dicho medicamento y emitido un dictamen favorable a la autorización de comercialización en la UE y sus condiciones de uso. No está destinado a proporcionar consejos prácticos sobre cómo utilizar Holoclar.

Para más información sobre el tratamiento con Holoclar, el paciente deberá leer el prospecto (también incluido en el EPAR) o consultar a su médico o farmacéutico.

¿Qué es Holoclar y para qué se utiliza?

Holoclar es un tratamiento con células madre que se utiliza en el ojo para sustituir a las células dañadas de la superficie (el epitelio) de la córnea, la capa transparente de la parte frontal del ojo que cubre el iris (la parte coloreada).

Se utiliza en pacientes adultos con deficiencia de células madre limbares de moderada a grave debida a quemaduras, como por ejemplo quemaduras químicas, en los ojos. Los pacientes con esta enfermedad no tienen una cantidad suficiente de células madre limbares, que normalmente actúan como un sistema de regeneración reemplazando a las células corneales externas cuando se dañan y cuando envejecen.

Holoclar es un tipo de medicamento de terapia avanzada denominado «medicamento de ingeniería tisular». Consiste en células que se biopsian (se toman) del limbo del paciente (en el borde de la córnea) y después se cultivan en un laboratorio, de manera que se puedan utilizar para reparar el epitelio corneal dañado.

Dado que el número de pacientes afectados por deficiencia de células madre limbares debido a quemaduras de los ojos es escaso, esta enfermedad se considera «rara», por lo que Holoclar fue



designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 7 de noviembre de 2008.

¿Cómo se usa Holoclar?

Holoclar debe administrarse únicamente en un centro hospitalario por un cirujano ocular convenientemente cualificado y formado, y su uso está restringido a los pacientes cuyas células limbares se utilizaron para fabricar el medicamento.

En la primera etapa del tratamiento, se biopsia una pequeña porción de tejido limbar sano (1–2 mm²) del paciente en el hospital y se envía al fabricante el mismo día. A continuación, las células del tejido se cultivan en un laboratorio y se congelan hasta que se confirme la fecha de la cirugía. Para fabricar Holoclar se utilizan las células descongeladas, que se cultivan sobre una membrana hecha de una proteína denominada fibrina. Holoclar, que incluye las células y la membrana, se envía al hospital, donde se implanta inmediatamente en el ojo del paciente mediante un procedimiento quirúrgico.

Tras la biopsia del tejido limbar, se deben administrar antibióticos al paciente para evitar la infección ocular. Después de la cirugía, se deben administrar al paciente antibióticos, así como un medicamento antiinflamatorio no esteroideo adecuado.

Holoclar está destinado a un único tratamiento, aunque el tratamiento puede repetirse si el médico lo considera necesario. Para más información, consulte el Resumen de las Características del Producto (también incluido en el EPAR).

¿Cómo actúa Holoclar?

El principio activo de Holoclar son las propias células limbares del paciente, que incluyen células del epitelio corneal y células madre limbares cultivadas en un laboratorio. Antes de utilizar Holoclar, se retira el tejido dañado de la superficie corneal del ojo afectado. Una vez que Holoclar se implanta en el ojo, las células corneales ayudan a sustituir el epitelio corneal, mientras que las células madre limbares actúan como un reservorio de nuevas células que repone de forma continua la córnea.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Holoclar en los estudios realizados?

En un estudio retrospectivo de series de casos de pacientes, Holoclar ha demostrado ser eficaz para restaurar de forma estable el epitelio corneal en pacientes con deficiencia de células madre limbares moderada o grave causada por quemaduras. Un año después de la implantación de Holoclar, se consideró que los implantes habían tenido éxito en 75 de los 104 pacientes estudiados (72 %), basándose en la presencia de un epitelio corneal estable, sin lesiones superficiales y con poca o ninguna neovascularización (una característica frecuente de la deficiencia de células madre limbares). Hubo también reducciones de los síntomas de los pacientes, tales como el dolor y la inflamación, y mejoras de la visión.

¿Cuál es el riesgo asociado a Holoclar?

El efecto adverso más frecuente de Holoclar (observado en más de 1 paciente de cada 10) es la blefaritis (inflamación del párpado). Para consultar la lista completa de efectos adversos y restricciones, ver el prospecto.

¿Por qué se ha aprobado Holoclar?

El Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia llegó a la conclusión de que el tratamiento con Holoclar era eficaz para restaurar un epitelio corneal sano en pacientes con deficiencia

de células madre limbares moderada o grave causada por quemaduras, así como para mejorar los síntomas y la pérdida de visión. El Comité señaló que las formas moderadas o graves de deficiencia de células madre limbares son enfermedades serias que, si no se tratan, puede dar lugar a una reducción intensa o una pérdida completa de la visión. Como los efectos secundarios del tratamiento con Holoclar son generalmente controlables, el CHMP llegó a la conclusión de que los beneficios de Holoclar son mayores que los riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

La conclusión sobre la relación beneficio/riesgo de Holoclar se basa en los resultados de dos ensayos retrospectivos (utilizando series de casos de pacientes); además, la empresa proporcionará más datos procedentes de un estudio prospectivo (que registra los resultados obtenidos en el transcurso del estudio).

Por tanto, Holoclar ha obtenido una «autorización condicional», lo que significa que queda pendiente la presentación, por parte de la empresa, de datos complementarios sobre el medicamento. Cada año, la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) revisará la nueva información disponible y el presente resumen se actualizará cuando sea necesario.

¿Qué información falta todavía sobre Holoclar?

Dado que a Holoclar se le ha concedido una autorización condicional, la empresa que lo comercializa proporcionará más datos sobre el medicamento. La empresa debe proporcionar datos sobre los beneficios y riesgos de Holoclar procedentes de un estudio clínico prospectivo.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Holoclar?

Se ha elaborado un plan de gestión de riesgos para garantizar que Holoclar se administra de una forma lo más segura posible. Basándose en este plan, se ha incluido en el Resumen de las Características del Producto y el prospecto de Holoclar la información sobre seguridad que incluye las precauciones pertinentes que deben adoptar los profesionales sanitarios y los pacientes.

Además, la empresa que fabrica Holoclar proporcionará a los profesionales sanitarios material formativo sobre el uso seguro de este tratamiento, incluyendo la selección y el seguimiento de los pacientes y la notificación de efectos adversos. También se facilitará material formativo a los pacientes sometidos al tratamiento.

Encontrará más información en el [resumen del plan de gestión de riesgos](#).

Otras informaciones sobre Holoclar

La Comisión Europea emitió una autorización de comercialización válida en toda la Unión Europea para el medicamento Holoclar el 17 de febrero de 2015.

El EPAR completo y el resumen del plan de gestión de riesgos de Holoclar pueden consultarse en el sitio web de la agencia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Para mayor información sobre el tratamiento con Holoclar, lea el prospecto (también incluido en el EPAR) o consulte a su médico o farmacéutico.

El resumen del dictamen del Comité de Medicamentos Huérfanos sobre Holoclar puede consultarse en el sitio web de la Agencia: ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/Rare_disease_designation.

Fecha de la última actualización del presente resumen: 02-2015.