



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/54240/2026
EMA/H/C/002450

Holoclar (cellules épithéliales cornéennes humaines autologues amplifiées ex vivo contenant des cellules souches)

Aperçu en langage clair d'Holoclar et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce qu'Holoclar et dans quel cas est-il utilisé?

Holoclar est un traitement à base de cellules souches utilisé dans l'œil pour remplacer les cellules endommagées à la surface (épithélium) de la cornée, la couche transparente devant l'œil recouvrant l'iris (la partie colorée).

Il est utilisé chez les adultes souffrant d'une déficience en cellules souches limbiques modérée à sévère causée par des brûlures oculaires, notamment chimiques. Les patients qui en sont atteints ne disposent pas d'un nombre suffisant de cellules souches limbiques, qui agissent habituellement comme un système de régénération des cellules de la couche externe de la cornée lorsqu'elles sont endommagées et lorsqu'elles vieillissent.

Holoclar est un type de médicament de thérapie innovante dénommé «produit d'ingénierie tissulaire». Il consiste en cellules prélevées dans le limbe du patient (au bord de la cornée), qui sont ensuite amplifiées en laboratoire afin de pouvoir être utilisées pour réparer la surface endommagée de la cornée.

La déficience en cellules souches limbiques due à des brûlures oculaires est rare et Holoclar a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 7 novembre 2008. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le [site web de l'EMA](#).

Comment Holoclar est-il utilisé?

Holoclar n'est délivré que sur ordonnance. Le médicament ne peut être administré qu'au patient dont les cellules limbiques ont été prélevées pour fabriquer le médicament, par un chirurgien ophtalmologue dûment formé et qualifié, et dans un cadre hospitalier.

Au cours de la première phase du traitement, un petit fragment de tissu limbique sain (1–2 mm²) est prélevé chez le patient à l'hôpital et envoyé au fabricant le jour même. Ensuite, les cellules du tissu sont amplifiées en laboratoire et congelées jusqu'à confirmation de la date de l'intervention chirurgicale. Des cellules décongelées sont utilisées pour fabriquer Holoclar, en les amplifiant sur une membrane constituée d'une protéine appelée fibrine. Composé des cellules et de la membrane,

Holoclar est ensuite renvoyé à l'hôpital, où il est immédiatement implanté dans l'œil du patient par chirurgie.

Des antibiotiques destinés à prévenir les infections oculaires doivent être administrés aux patients dès que le tissu limbique a été prélevé. Après l'intervention chirurgicale, le patient doit recevoir des antibiotiques et un anti-inflammatoire approprié.

Bien que le traitement puisse être renouvelé si le médecin l'estime nécessaire, Holoclar est destiné à un traitement unique.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation d'Holoclar, voir la notice ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Comment Holoclar agit-il?

La substance active d'Holoclar est constituée des propres cellules limbiques du patient, à savoir des cellules issues de la surface de la cornée et des cellules souches limbiques amplifiées en laboratoire. Avant d'utiliser Holoclar, le tissu superficiel endommagé de la cornée de l'œil affecté est retiré. Une fois implantées dans l'œil, les cellules cornéennes d'Holoclar contribuent à remplacer la surface cornéenne, tandis que les cellules souches limbiques servent de réservoir de nouvelles cellules qui régénèrent la cornée de manière continue.

Quels sont les bénéfices d'Holoclar démontrés au cours des études?

Holoclar s'est avéré efficace pour restaurer une surface cornéenne stable chez les patients atteints de déficience en cellules souches limbiques modérée à sévère causée par des brûlures dans une étude basée sur les dossiers médicaux antérieurs des patients. Un an après l'implantation d'Holoclar, on a estimé que celle-ci avait fonctionné chez 75 des 104 patients étudiés (72 %), en fonction de la présence d'une surface cornéenne stable sans défauts et peu ou pas de vaisseaux sanguins nouvellement formés (une caractéristique que l'on retrouve fréquemment en cas de déficience en cellules souches limbiques). Une diminution des symptômes, tels que la douleur et l'inflammation, ainsi qu'une amélioration de la vue ont également été observées chez les patients.

Les études réalisées avec Holoclar sont décrites plus en détail dans le rapport d'évaluation du médicament.

Quels sont les effets indésirables et les restrictions associés à Holoclar?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Holoclar, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Holoclar (qui peuvent survenir chez jusqu'à une personne sur 10) sont notamment les suivants: douleurs oculaires, déficit d'épithélium cornéen, hémorragie conjonctivale (saignements des petits vaisseaux sanguins à la surface de l'œil) et blépharite (inflammation de la paupière).

Pourquoi Holoclar est-il autorisé dans l'UE?

Holoclar s'est avéré efficace pour restaurer des surfaces cornéennes endommagées chez des adultes atteints de déficience en cellules souches limbiques modérée à sévère causée par des brûlures, ainsi que pour réduire leurs symptômes et améliorer leur vue. Les formes modérées à sévères de déficience en cellules souches limbiques sont des affections graves qui, si elles ne sont pas traitées, peuvent entraîner une réduction sévère ou une perte totale de la vision. Les effets indésirables observés sous

Holoclar sont généralement gérables. Par conséquent, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices d'Holoclar sont supérieurs aux risques identifiés et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

Une «autorisation conditionnelle» a été initialement délivrée pour Holoclar. L'autorisation a ensuite été requalifiée en autorisation standard, étant donné que la société a fourni les données supplémentaires demandées par l'Agence.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Holoclar?

La société qui commercialise Holoclar fournira aux professionnels de la santé du matériel éducatif expliquant comment utiliser ce traitement de manière sûre, y compris comment sélectionner et suivre les patients et comment notifier les effets indésirables. Du matériel éducatif sera également fourni aux patients traités.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace d'Holoclar ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation d'Holoclar sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés avec Holoclar sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Holoclar:

Une autorisation de mise sur le marché conditionnelle valide dans toute l'UE a été délivrée pour Holoclar le 17 février 2015. L'autorisation de mise sur le marché conditionnelle a été requalifiée en autorisation de mise sur le marché standard le 22 février 2024.

De plus amples informations sur Holoclar, y compris la notice et le rapport d'évaluation, sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/holoclar.

Dernière mise à jour du présent aperçu: 03-2026.