



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Holoclar (őssejteket tartalmazó ex vivo expandált autológ humán cornealis epitheliumsejtek)

A Holoclar-ra vonatkozó közérthető áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Holoclar és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Holoclar egy őssejt-kezelés, amelyet a szemben a szaruhártya – a szem elülső részén található, a szivárványhártyát (a színes részt) borító áttetsző réteg – felszínén (epithelium) található károsodott sejtek helyettesítésére alkalmaznak.

Olyan felnőtteknél alkalmazzák, akiknél a szem égése, beleértve a vegyi égést is, okozta közepesen súlyos vagy súlyos limbális őssejt-hiány áll fenn. Az ebben a betegségben szenvedő betegek szervezetében nem található elegendő limbális őssejt, amely normál esetben regenerációs rendszerként működik, és a károsodás esetén és a kor előrehaladtával feltölti a szaruhártya külső sejtjeit.

A Holoclar a fejlett terápiás gyógyszerek egy típusa, amelyet „módosított szövet alapú készítménynek” neveznek. A gyógyszer a beteg (szaruhártya szélén található) limbusából vett sejtekből áll, amelyeket laboratóriumban tenyésztnek annak érdekében, hogy felhasználhatók legyenek a sérült szaruhártya felületének javítására.

Mivel a szem égési sérülése okozta limbális őssejt-hiány „ritkának” minősül, ezért a Holoclar-t 2008. november 7-én „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

Hogyan kell alkalmazni a Holoclar-t?

A Holoclar csak receptre kapható. A gyógyszert kizárólag megfelelően képzett és képzett szemsebész adhatja be kórházban, és annak a betegnek, akinek a limbális sejtjeit a gyógyszer előállításához felhasználták.

A kezelés első szakaszában az egészséges limbális szövet egy kis részét (1–2 mm²-es méretben) a betegről leveszik és ugyanazon a napon elküldik a gyártónak. Ezt követően a szövetben lévő sejteket laboratóriumban nevelik és a műtét időpontjának megerősítéséig lefagyasztják. A kiolvasztott sejteket a Holoclar előállításához használják fel úgy, hogy a fibrin nevű fehérjéből készült membránon tenyésztik azokat. A sejtekből és a membránból álló Holoclart ezt követően visszaküldik a kórházba, ahol műtéti úton azonnal beültetik a beteg szemébe.

A limbális szövet kivételét követően a betegeknek a szemfertőzés megelőzésére antibiotikumokat kell adni. A műtétet követően a betegnek antibiotikumot és megfelelő gyulladáscsökkentő gyógyszert kell kapnia.

A Holoclar egyszeri kezelésre szolgál, de a kezelés megismételhető, ha az orvos szükségesnek tartja.

A Holoclar alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejt ki hatását a Holoclar?

A Holoclar hatóanyagát a beteg saját limbális sejtjei jelentik, amelyek magukban foglalják a szaruhártya felszínéről származó sejteket és a laboratóriumban tenyésztett limbális őssejteket. A Holoclar alkalmazása előtt az érintett szem károsodott szaruhártya-felületi szövetét eltávolítják. A szembe történő beültetést követően a Holoclar szaruhártya sejtjei segítenek a szaruhártya felületének pótlásában, míg a limbális őssejtek az új sejtek tárolóiként szolgálnak, amelyek folyamatosan feltöltik a szaruhártyát.

Milyen előnyei voltak a Holoclar alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy, a betegek korábbi egészségügyi nyilvántartásaival végzett vizsgálatban a Holoclar hatásosnak bizonyult a stabil szaruhártya-felület helyreállításában közepesen súlyos vagy súlyos, égési sérülés okozta limbális őssejt-hiányban szenvedő betegeknél. Egy évvel a holoklaráció beültetése után 104 vizsgált beteg közül 75-nél (72%) ítélték sikeresnek a beültetést a felületi hibák nélküli stabil szaruhártya-felület és a kevés vagy egyáltalán nem benőtt vérerek jelenléte alapján (a limbális őssejt-hiány gyakori jellemzője). Emellett csökkentek a betegek tünetei, például a fájdalom és a gyulladás, és javult a látás.

A Holoclar-ral végzett vizsgálatokat a gyógyszer értékelő jelentése ismerteti részletesebben.

Milyen mellékhatásokkal és korlátozásokkal jár a Holoclar alkalmazása?

A Holoclar alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Holoclar leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet) a szemfájdalom, a szaruhártya felhámjának károsodása, a kötőhártya vérzése (a szem felszínén lévő kis vérerekből származó vérzés) és a blefaritisz (a szemfedő gyulladása).

Miért engedélyezték a Holoclar forgalomba hozatalát az EU-ban?

A Holoclar hatásosnak bizonyult az égési sérülések által okozott közepesen súlyos vagy súlyos limbális őssejt-hiányban szenvedő felnőttek egészséges szaruhártya-felületeinek helyreállításában, valamint tüneteik és látásuk javításában. A limbális őssejt-hiány közepesen súlyos vagy súlyos formái olyan súlyos állapotok, amelyek kezelés nélkül súlyos látáscsökkenéshez vagy teljes látásvesztéshez vezethetnek. A Holoclar mellékhatásai általában kezelhetők. Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Holoclar alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, és alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

A Holoclar-t eredetileg „feltételes forgalombahozatali engedéllyel” engedélyezték. Az engedélyt később teljes érvényű forgalombahozatali engedélyre változtatták, mivel a vállalat benyújtotta az Ügynökség által kért további adatokat.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Holoclar biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Holoclar-t forgalmazó vállalat oktatóanyagot fog biztosítani az egészségügyi szakemberek számára a kezelés biztonságos alkalmazásáról, többek között a betegek kiválasztásáról és nyomon követéséről, valamint a mellékhatások bejelentéséről. A kezelés alatt álló betegeknek oktatóanyagot is biztosítanak.

A Holoclar biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Holoclar alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Holoclar alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Holoclar-ral kapcsolatos egyéb információ

2015. február 17-én a Holoclar az Európai Unió egész területére érvényes feltételes forgalombahozatali engedélyt kapott. A feltételes forgalombahozatali engedélyt 2024. február 22-én teljes érvényű forgalombahozatali engedéllyé változtatták.

A Holoclar-ral kapcsolatban további információ, a betegtájékoztatót és az értékelő jelentést is beleértve, az Ügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/holoclar.

Az összefoglaló utolsó aktualizálása: 03-2026.