



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/414363/2013  
EMA/H/C/002522

## EPAR-összefoglaló a nyilvánosság számára

---

### MACI

mátrix alapú, karakterizált, autológ tenyésztett porcsejtek

Ez a MACI-ra vonatkozó európai nyilvános értékelő jelentés (EPAR) összefoglalója. Azt mutatja be, hogy az Ügynökségnek a gyógyszerre vonatkozó értékelése miként vezetett az EU-ban érvényes forgalomba hozatali engedély kiadását támogató véleményéhez és az alkalmazási feltételekre vonatkozó ajánlásaihoz. A dokumentum nem tekinthető gyakorlati útmutatónak a MACI alkalmazására vonatkozóan.

Amennyiben a MACI alkalmazásával kapcsolatos gyakorlati információra van szüksége, olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez!

### Milyen típusú gyógyszer a MACI és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A MACI a térdízület csontjainak végén előforduló porcdefektusok helyreállítására alkalmazott implantátum. A beteg saját porcsejtjeit tartalmazza 14,5 cm<sup>2</sup>-es kollagénmembránon, amelynek segítségével a sebész feltölti a károsodott porcterületeket.

A MACI-t a térdporc teljes vastagságát érintő, 3–20 cm<sup>2</sup> területű, szimptomatikus (pl. fájdalommal és a térd mozgatásának nehézségével járó) károsodás helyreállítására alkalmazzák felnőtteknél.

A MACI a fejlett terápiás gyógyszerek egy típusa, amelyet „módosított szövet alapú készítménynek” hívnak. Ez a gyógyszertípus olyan sejteket vagy szöveteket tartalmaz, amelyeket úgy manipuláltak, hogy fel lehessen azokat használni szövet helyreállítására, regenerálására vagy helyettesítésére.

### Hogyan kell alkalmazni a MACI-t?

A kezelés első fázisában porcsejtmintát vesznek a beteg ízületéből és azt laboratóriumban kitenyésztik. A sejteket ezt követően kollagénmembránra helyezik. Mintegy 6 héttel később a sebész formára vágja a membránt úgy, hogy az illeszkedjen a térdporc sérült területére, majd sebészeti eljárással beülteti azt. Az implantátumot egyfajta ragasztóanyaggal, a véralvadási fehérjékből készülő fibrin szövetragasztóval rögzítik a porcon.

---

7 Westferry Circus • Canary Wharf • London E14 4HB • United Kingdom

Telefon +44 (0)20 7418 8400 Fax +44 (0)20 7418 8416

E-mail [info@ema.europa.eu](mailto:info@ema.europa.eu) Honlap [www.ema.europa.eu](http://www.ema.europa.eu)

Az Európai Unió ügynöksége



Az implantátumot kifejezetten a MACI beültetésére igazoltan képzett sebész alkalmazhatja, és a készítmény kizárólag orvosi rendelvényre kapható.

## Hogyan fejt ki hatását a MACI?

A MACI hatóanyaga a beteg saját porcsejtjeiből áll, amelyet a térdporc defektusának területére ültetnek be. A sejtekkel töltik fel azokat a területeket, ahol a porc sérült, ezáltal regenerálva a károsodott részeket és enyhítve a beteg tüneteit, így a fájdalmat és a térd mozgatásával kapcsolatos nehézséget.

## Milyen előnyei voltak a MACI alkalmazásának a vizsgálatok során?

A MACI-t mikrofraktúra műtéttel hasonlították össze (ez a porcdefektusok kezelésére elterjedten alkalmazott sebészeti eljárás) egy fővizsgálatban, amely a fájdalom enyhülését és a térd funkciójának javulását értékelte a térdporc teljes vastagságát érintő károsodásban szenvedő betegeknél. A vizsgálatban 144 felnőtt vett részt, akiknél a defektus nagysága 3–20 cm<sup>2</sup> területű volt. A fájdalmat és a térd funkcióját a „Knee injury and Osteoarthritis Outcome Score” (KOOS) (Térsérülés és oszteoartrózis kimeneteli pontszám) standard skála segítségével mérték, ahol a 0 jelenti a szélsőséges problémákat a 100 pedig a problémák teljes hiányát. A vizsgálat szerint a MACI hatékonyabban enyhítette a fájdalmat és javította a térdfunkciót, mint a mikrofraktúra műtét: két évvel a műtét után a MACI-val kezelt betegek átlagos pontszáma 82 volt a fájdalom és 61 a térdfunkció esetében, míg a mikrofraktúra műtéttel kezelt betegeknél a pontszám 71 és 49 volt. A MACI-val kezelt betegeknél a fájdalom és a funkció szempontjából egyaránt kb. 45 pontos javulás mutatkozott, míg a mikrofraktúra műtéten átesett betegeknél a javulás kb. 35 pont volt.

## Milyen kockázatokkal jár a MACI alkalmazása?

1000 MACI-val kezelt beteg közül 1-10-nél fokozott porcnövekedés és az implantátum leválása fordulhat elő. Az egyéb lényeges kockázatok magával a műtéti eljárással vannak összefüggésben: fertőzés, gyulladás, hemartrózis (ízületi vérzés), artrofibrózis (hegszövet kialakulása az ízületben) és tromboemboliás események (vérrögképződés). A MACI alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás teljes felsorolását lásd a betegtájékoztatóban!

A MACI nem alkalmazható súlyos térd oszteoarthritisben (duzzanat és fájdalom), gyulladásos ízületi betegségben vagy kezeletlen, veleszületett véralvadási zavarban szenvedő betegeknél. A MACI nem alkalmazható olyan betegeknél sem, akiknek a combcsontjában lévő növekedési lemezek még nem kapcsolódtak össze teljesen. A növekedési lemezek akkor kapcsolódnak össze (vagy keményednek meg), amikor a gyermek csontváza teljesen kifejlődik és a csontjai már nem nőnek tovább.

## Miért engedélyezték a MACI forgalomba hozatalát?

Az Ügynökséghez tartozó emberi felhasználásra szánt gyógyszerek bizottsága (CHMP) megállapítása szerint a fővizsgálat igazolta, hogy a MACI a mikrofraktúra műtétnél hatékonyabb a térdporc defektusaival rendelkező betegek kezelésében. A MACI-val kezelt betegeknél kevesebb mellékhatás is jelentkezett, mint a mikrofraktúrával kezelt betegeknél.

A MACI-t a fejlett terápiákra vonatkozó Európai Uniói jogszabályoknak való megfelelés szempontjából is értékelték, amelyek az Európai Unió tagállamaiban alkalmazott összes fejlett terápia esetén előírják az EMA általi értékelést ahhoz, hogy kiadható legyen az Európai Unióban érvényes forgalomba hozatali engedély. A bizottság megállapította, hogy a MACI-hoz hasonló kezelések már elfogadottak a klinikai gyakorlatban, valamint, hogy a fővizsgálat eredményei összhangban voltak a szakirodalmi adatokkal.

A CHMP ezért megállapította, hogy a MACI alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért javasolta annak engedélyezését az Európai Unióban való alkalmazásra.

A MACI fejlett terápiás készítmény és először a fejlett terápiákkal foglalkozó bizottság (CAT) értékelt. A CHMP ajánlása a CAT eredeti értékelésén alapul.

### **Milyen intézkedéseket hoztak a MACI biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?**

A MACI lehető legbiztonságosabb alkalmazásának biztosítása céljából kockázatkezelési tervet dolgoztak ki. A terv alapján a MACI alkalmazási előírásában és betegtájékoztatóban a biztonsági információkat, többek között az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő megfelelő óvintézkedéseket tüntettek fel.

Emellett a MACI-val történő kezeléseknél részt vevő sebészek és egészségügyi szakemberek oktatási anyagokat fognak kapni, amelyek részletes útmutatót tartalmaznak a MACI alkalmazásának módjáról, valamint információkkal szolgálnak a készítmény kockázatairól és arról, hogy a MACI-val kezelt betegek utánkövetése szükséges.

### **A MACI-val kapcsolatos egyéb információ:**

2013. június 27-én az Európai Bizottság a MACI-ra vonatkozóan kiadta az Európai Unió egész területére érvényes forgalomba hozatali engedélyt.

A MACI-ra vonatkozó teljes EPAR az Ügynökség weboldalán található: [ema.europa.eu/Find\\_medicine/Human\\_medicines/European\\_public\\_assessment\\_reports](http://ema.europa.eu/Find_medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports). Amennyiben a MACI-val történő kezeléssel kapcsolatban bővebb információra van szüksége, olvassa el a (szintén az EPAR részét képező) betegtájékoztatót, illetve forduljon orvosához vagy gyógyszerészéhez!

Az összefoglaló legutóbbi frissítésének dátuma: 2013. június.