



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/414364/2013
EMA/H/C/002522

Riassunto destinato al pubblico

MACI

condrociti autologhi caratterizzati, coltivati e applicati su matrice

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per MACI. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di MACI.

Per informazioni pratiche sull'uso di MACI, i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

Che cos'è e per che cosa si usa MACI?

MACI è un impianto utilizzato per riparare difetti della cartilagine alle estremità delle ossa dell'articolazione del ginocchio. È costituito da cellule della cartilagine poste su una membrana di collagene di 14,5 cm², utilizzate dal chirurgo per riempire gli spazi in cui la cartilagine è danneggiata.

MACI è utilizzato per la riparazione di difetti a tutto spessore, con una superficie compresa tra 3 e 20 cm², in adulti che presentano sintomi (quali dolore e problemi di movimento del ginocchio).

MACI è un medicinale per terapie avanzate denominato "prodotto di ingegneria tissutale". Si tratta di un tipo di medicina contenente cellule o tessuti sottoposti a manipolazione, in modo da potere essere impiegati per riparare, rigenerare o sostituire i tessuti.

Come si usa MACI?

Nella prima fase del trattamento, un campione di cellule cartilaginee viene prelevato dall'articolazione del paziente e coltivato in laboratorio. Le cellule vengono poi collocate sulla membrana di collagene. Circa 6 settimane dopo, il chirurgo modella la membrana perché si adatti all'area danneggiata nella cartilagine del ginocchio, quindi la impianta mediante una procedura chirurgica. Per fissare in sede l'impianto sulla cartilagine, si utilizza un tipo di colla nota come sigillante a base di fibrina, realizzata con le proteine della coagulazione del sangue.



MACI deve essere utilizzato esclusivamente da un chirurgo con formazione specifica ed esperienza nell'uso di MACI e il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica.

Come agisce MACI?

Il principio attivo contenuto in MACI è costituito dalle cellule cartilaginee del paziente, che vengono impiantate nel difetto cartilagineo nel ginocchio. Le cellule vengono utilizzate per riempire lo spazio in cui la cartilagine è stata danneggiata, rigenerando così le aree danneggiate e aiutando a risolvere i sintomi del paziente, quali dolore e problemi di movimento del ginocchio.

Quali benefici di MACI sono stati evidenziati negli studi?

MACI è stato confrontato con la tecnica delle microfratture (una procedura chirurgica comunemente impiegata per il trattamento dei difetti cartilaginei), in uno studio principale che ha esaminato il sollievo del dolore e il miglioramento della funzionalità del ginocchio, in pazienti con difetti a tutto spessore della cartilagine del ginocchio. Lo studio ha coinvolto 144 adulti con difetti di superficie compresa tra 3 e 20 cm². Per misurare il dolore e la funzionalità del ginocchio, è stata utilizzata una scala standard, nota come KOOS (*Knee Injury and Osteoarthritis Outcome Score*) [scala di valutazione per lesioni e artrosi del ginocchio], dove 0 rispecchia problemi estremi e 100 assenza di problemi. Lo studio ha dimostrato che MACI è più efficace delle microfratture nel sollievo del dolore e nel miglioramento della funzionalità del ginocchio: due anni dopo l'intervento chirurgico, i pazienti trattati con MACI avevano un punteggio medio di 82 per il dolore e di 61 per la funzionalità del ginocchio, in confronto a rispettivamente 71 e 49 per i pazienti trattati con microfratture. Sia per il dolore che per la funzionalità, miglioramenti di circa 45 punti sono stati osservati nei pazienti trattati con MACI, rispetto a circa 35 punti nei pazienti sottoposti a microfratture.

Quali sono i rischi associati a MACI?

Un'eccessiva crescita cartilaginea e il distacco dell'impianto possono verificarsi in 1-10 pazienti su 1.000 trattati con MACI. Gli altri rischi importanti sono quelli correlati alla procedura chirurgica in sé, tra cui infezione, infiammazione, emartrosi (sangue nelle articolazioni), artrofibrosi (tessuto cicatriziale nelle articolazioni) ed eventi tromboembolici (coaguli di sangue). Per l'elenco completo di tutti gli effetti indesiderati rilevati con MACI, vedere il foglio illustrativo.

MACI non deve essere utilizzato in pazienti con osteoartrite (edema e dolore) di grado severo del ginocchio, malattia infiammatoria delle articolazioni o alterazioni congenite non corrette della coagulazione del sangue. Inoltre, MACI non deve essere usato in pazienti con piastra di crescita femorale non ancora completamente saldata. Le piastre di crescita si saldano (o induriscono) quando un bambino acquisisce uno scheletro maturo e le ossa hanno smesso di crescere.

Perché MACI è approvato?

Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha osservato che lo studio principale aveva dimostrato una superiorità di MACI rispetto alla tecnica delle microfratture, nel trattamento di pazienti con difetti della cartilagine del ginocchio. Inoltre, i pazienti trattati con MACI avevano meno effetti indesiderati rispetto ai pazienti trattati con microfratture.

MACI è stato giudicato conforme al Regolamento CE sulle terapie avanzate, che prevede che tutte le terapie avanzate negli Stati membri dell'UE siano sottoposte a una valutazione dell'EMA, al fine di ottenere l'autorizzazione all'immissione in commercio a livello UE. Il Comitato ha osservato che trattamenti come MACI sono già affermati nella pratica clinica e che i risultati dello studio principale erano coerenti con i risultati presenti nella letteratura scientifica.

Il CHMP ha pertanto concluso che i benefici di MACI sono superiori ai rischi e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE.

Poiché MACI è un medicinale per terapie avanzate, è stato inizialmente valutato dal Comitato per le terapie avanzate (CAT). La raccomandazione del CHMP si basa su una valutazione iniziale del CAT.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di MACI?

È stato elaborato un piano di gestione del rischio per garantire che MACI sia usato nel modo più sicuro possibile. In base a tale piano, al riassunto delle caratteristiche del prodotto e al foglio illustrativo di MACI sono state aggiunte le informazioni relative alla sicurezza, ivi comprese le opportune precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono prendere.

Inoltre, i chirurghi e gli operatori sanitari coinvolti nel trattamento dei pazienti con MACI riceveranno materiale educativo, contenente linee guida dettagliate sulla modalità di impiego di MACI, oltre a informazioni sui rischi e sulla necessità di eseguire un follow-up dei pazienti trattati con MACI.

Altre informazioni su MACI

Il 27 giugno 2013 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per MACI, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR di MACI consultare il sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports. Per maggiori informazioni sulla terapia con MACI, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 06-2013.